



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0396/2022

Rio de Janeiro, 12 de maio de 2022.

Processo nº 5003080-40.2022.4.02.5102,
ajuizado por [REDACTED]
[REDACTED] neste ato representado por
[REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **1ª Vara Federal** de Niterói, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Vosoritida 1,2mg** (Voxzogo[®]).

I – RELATÓRIO

1. Acostados no Evento 1_LAUDO7_Páginas 1/3 e Evento 1_RECEIT8_Página 1, encontram-se laudo e receituário médicos emitidos em impresso do Instituto Fernandes Figueira, emitidos em 23 de março de 2022, pelo médico [REDACTED] informando que o Autor, 08 anos e 06 meses, apresenta **síndrome malformativa associada ao nanismo tipo acondroplasia**, confirmada por estudo radiológico e estudo molecular revelando **presença da mutação G380R** no gene **FGFR3**. A doença do Autor é geneticamente determinada, tendo como consequência uma baixa estatura extrema, grande desproporção dos membros, tanto superiores como inferiores, alcance e acessibilidade prejudicados. Há complicações clínicas reconhecidas com impacto à sua qualidade de vida. Foi participada que o Autor apresenta idade óssea em torno dos 07 – 08 anos, sem estirão puberal, corroborado pelas gonadotrofinas baixas. Suas medidas antropométricas compreendem: peso 33,5kg, sentado 52cm, braço 15cm, antebraço 14cm, perna 44cm e PC 56cm.

2. Desse modo, foi prescrito tratamento com **Vosoritida 1,2mg** (Voxzogo[®]), aplicando **0,25mL** subcutâneo pela manhã. Uso contínuo. Foi citada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **Q87.1 – Síndromes com malformações congênicas associadas predominantemente com nanismo**.

II – ANÁLISE DA

LEGISLAÇÃO

1. A Política Nacional de Medicamentos e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica estão dispostas, respectivamente, na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Resolução nº 338/CNS/MS, de 6 de maio de 2004.

2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, dispõe, também, sobre a organização da assistência farmacêutica em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado. E, define as normas para o financiamento dos componentes estratégico e especializado da assistência farmacêutica.



3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, estabelece, inclusive, as normas de financiamento e de execução do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS.
4. A Portaria nº 2.979, de 12 de novembro de 2019, institui o Programa Previne Brasil, que estabelece o novo modelo de financiamento de custeio da Atenção Primária à Saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde.
5. A Deliberação CIB-RJ nº 1.589, de 09 de fevereiro de 2012 relaciona os medicamentos disponíveis no âmbito do Estado do Rio de Janeiro e/ou Municípios definindo a Relação Estadual dos Medicamentos Essenciais (REME-RJ).
6. A Deliberação CIB-RJ nº 5.743 de 14 de março de 2019 dispõe sobre as normas de execução e financiamento do Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF) no âmbito do SUS no Estado do Rio de Janeiro e, em seu artigo 4º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.
7. A Deliberação CIB-RJ nº 6.059 de 09 de janeiro de 2020 atualiza a Deliberação CIB nº 5.743 de 14 de março de 2019, no que tange aos repasses de recursos da União destinados ao Componente Básico da Assistência farmacêutica.
8. No tocante ao Município de Niterói, em consonância com as legislações mencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais (“REMUME-Niterói”). Foi realizada em 2021, revisão e atualização da REMUME, sendo publicada em 31 de março/2021, no diário oficial do município.
9. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, Anexo XXXVIII, institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e as Diretrizes para a Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS. Para efeito deste Anexo, considera-se doença rara aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos.

DO QUADRO CLÍNICO

1. A **acondroplasia** é a forma mais comum de displasia esquelética em humanos. É uma doença **genética** autossômica dominante causada por mutações genéticas, e apesar da incidência ao nascimento ser incerta estima-se que a ocorrência seja de 01 em cada 10.000 e 01 em 30.000 nascimentos, e acomete cerca de 250.000 pessoas em todo o mundo. Clinicamente a **acondroplasia** é caracterizada pelo tronco longo e estreito, os membros são curtos, principalmente na região proximal (rizomélico), a cabeça é grande com protuberância frontal e a porção medial da face é hipoplásica. Observa-se hiperextensão das articulações, principalmente de joelho e mãos, que também são curtas e apresentam os dedos largos. Na infância é comum a criança apresentar uma hipotonia leve a moderada, em muitos casos a hipotonia é secundária à compressão da medula espinhal na região cervical, que contribui para o atraso do desenvolvimento motor. O estreitamento do forame magno e a estenose espinhal são relativamente comuns e frequentemente requerem correções neurocirúrgicas¹.

¹ BRASIL. Ministério da Mulher, da Família e dos Direitos Humanos. Secretaria Nacional dos Direitos da Criança e do Adolescente. Secretaria Nacional dos Direitos da Pessoa com Deficiência. Diagnóstico no SUS e primeiros cuidados numa perspectiva multiprofissional. Disponível em: <<https://www.gov.br/mdh/pt-br/navegue-por-temas/crianca-e-adolescente/acoes-e>>





DO PLEITO

1. **Vosoritida** (Voxzogo[®]) é um peptídeo natriurético tipo C (CNP) modificado, indicado para o tratamento da acondroplasia em pacientes com idade igual ou superior a 2 anos, cujas epífises não estão fechadas. O diagnóstico de **acondroplasia** deve ser confirmado por testes genéticos apropriados².

III – CONCLUSÃO

1. Trata-se de Autor, 08 anos e 06 meses, com diagnóstico de **acondroplasia confirmada por exame genético**, apresentando solicitação médica para tratamento com o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]).

2. Nos documentos médicos acostados aos autos, foi mencionado que o Autor tem idade óssea entre 07 – 08 anos, sem estirão puberal, corroborado pelas gonadotrofinas baixas, **sem estirão puberal**, corroborado pelas **gonadotrofinas baixas**, caracterizando o **não fechamento de suas epífises**. O desenvolvimento puberal é acompanhado de aceleração da velocidade de crescimento, o chamado “estirão da puberdade”, ao qual se segue um período de desaceleração e, finalmente, a parada do crescimento resultante do fechamento das epífises ósseas³.

3. Isso posto, considerando o quadro descrito para o Autor, bem como as características que atestam o **não fechamento de suas epífises**, informa-se que o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]) **possui indicação**² para o caso em tela.

4. No que tange à disponibilização do medicamento no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, destaca-se que a **Vosoritida** (Voxzogo[®]) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação, no âmbito do Município de Niterói e do Estado do Rio de Janeiro.

5. Em continuidade, informa-se que até o presente momento, a **Vosoritida** (Voxzogo[®]) **não foi avaliada** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC, para o tratamento da **acondroplasia**⁴.

6. Acrescenta-se que a **acondroplasia** é uma doença genética rara. Nesse sentido, o Ministério da Saúde instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovando as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do SUS e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras⁵ tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da

programas/DIAGNOSTICONOSUSEPRIMEIROS CUIDADOS NUMA PERSPECTIVA MULTIPROFISSIONAL.pdf>. Acesso em: 11 mai. 2022.

² Informações sobre o medicamento Vosoritida (Voxzogo[®]) por BioMarin International Limited. Disponível em: <https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/voxzogo-epar-product-information_pt.pdf>. Acesso em: 11 mai. 2022.

³ SILVA, A. C. C. S. & ADAN, L. F. F. Crescimento em meninos e meninas com puberdade precoce. Arquivos Brasileiros de Endocrinologia & Metabologia. 2003, v. 47, n. 4, pp. 422-431. Disponível em: <<https://www.scielo.br/j/abem/a/PYTr7Lv9XgL8mmp6RTPTQRv/?lang=pt#ModalArticles>>. Acesso em: 11 mai. 2022.

⁴ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao>>. Acesso em: 11 mai. 2022.

⁵ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 11 mai. 2022.



qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos.

7. Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de PCDT, recomendações de cuidado para tratamento de doenças raras, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras⁶. Entretanto, **não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**⁷ – publicado para o manejo da acondroplasia.

8. Em consulta as bases de dados científicas, verificou-se que os métodos para o tratamento da **acondroplasia** podem ser agrupados em terapias cirúrgicas e farmacológicas. A intervenção cirúrgica consiste no alongamento dos membros inferiores com aparelho de *Ilizarov* ou fixador externo monolateral. Tal terapia envolve múltiplos procedimentos passíveis de complicações graves⁸.

9. Dentre as terapias farmacológicas, o hormônio de crescimento humano recombinante (somatotropina recombinante) é um dos métodos de tratamento sintomático da baixa estatura na acondroplasia, como terapia de curto prazo (o que não se enquadra ao tratamento prescrito). Contudo, até o momento, somente o medicamento **Vosoritida** possui indicação aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária para o tratamento da **acondroplasia**⁹.

10. Destaca-se que o medicamento **Vosoritida** foi registrado como um **produto biológico novo** (medicamento biológico que contém molécula com atividade biológica conhecida, ainda não registrada no Brasil). Assim, seu registro foi aprovado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) em 29 de novembro de 2021.¹⁰ Ademais, por se tratar de uma necessidade médica não atendida atualmente, este produto foi **priorizado** de acordo com os critérios da Resolução – RDC N° 204, de 27 de dezembro de 2017, a qual dispõe sobre o enquadramento na categoria prioritária, de petições de registro, pós-registro e anuência prévia em pesquisa clínica de medicamentos².

11. No que concerne ao valor, no Brasil, para um medicamento ser comercializado é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)¹¹.

12. De acordo com publicação da CMED¹², o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e

⁶ CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação – Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Março/2015. Disponível em: <http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/RelatRio_PCDT_DoenasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf>. Acesso em: 11 mai. 2022.

⁷ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>>. Acesso em: 11 mai. 2022.

⁸ WROBEL W, PACH E, BEN-SKOWRONEK I. Advantages and Disadvantages of Different Treatment Methods in Achondroplasia: A Review. *Int J Mol Sci*. 2021;22(11):5573. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8197470/>>. Acesso em: 11 mai. 2022.

⁹ PAULI, R.M. Achondroplasia: a comprehensive clinical review. *Orphanet J Rare Dis* 14, 1 (2019). Disponível em: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6318916/> Acesso em: 11 mai. 2022.

¹⁰ MINISTÉRIO DA SAÚDE. Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA Voxzogo (vosoritida): novo registro. Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/voxzogo-vosoritida-novo-registro>>. Acesso em: 11 mai. 2022.

¹¹ BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<http://portal.anvisa.gov.br/cmed/apresentacao>>. Acesso em: 11 mai. 2022.

¹² BRASIL. Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Preços máximos de medicamentos por princípio ativo, para compras públicas. Preço fábrica (PF) e preço





os medicamentos não se encontrarem relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4º da Resolução nº 3 de 2011, e o **Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG)** é utilizado como referência quando a compra for motivada por ordem judicial, e sempre que a aquisição contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

13. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, tem-se¹³.

- **Vosoritida 1,2mg** (Voxzogo[®]) – possui preço de fábrica correspondente a R\$ 70.132,71 e, preço máximo de venda ao governo correspondente a R\$ 55.033,14 (caixa com 10 frascos).

É o parecer.

À 1ª Vara Federal de Niterói, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

MARCELA MACHADO DURAO

Assistente de coordenação

CRF-RJ 11517

ID. 4.216.255-6

GABRIELA CARRARA

Farmacêutica

CRF- RJ 21.047

ID:5083037-6

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

Assessor-chefe

CRF-RJ 10.277

ID. 436.475-02

máximo de venda ao governo (PMVG). Disponível em:

<http://portal.anvisa.gov.br/documents/374947/5866895/LISTA_CONFORMIDADE_GOV_2020_05_v1.pdf/3a41630f-7344-42ec-b8bc-8f98bba7c205>. Acesso em: 11 mai. 2022.

¹³BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Lista de Preços de Medicamentos. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/arquivos/lista_conformidade_gov_2022_05_v1.pdf/@@download/file/LISTA_CONFORMIDADE_GOV_2022_05_v1.pdf>. Acesso em: 11 mai. 2022.