



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NAT – FEDERAL Nº 0488/2022**

Rio de Janeiro, 01 de junho de 2022.

Processo nº 5038980-87.2022.4.02.5101,  
ajuizado por **Marcele Mendes e Silva**.

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **4ª Vara Federal** do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Risdiplam** (Evrysdi®).

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com os documentos médicos da Rede SARAH de Hospitais de Reabilitação e Hospital Universitário Gaffrée e Guinle (Evento 1\_EXMMED11/12\_Página 1), emitidos pelas médicas [REDACTED]

[REDACTED], a Autora, 30 anos, tem diagnóstico de **atrofia muscular espinhal do tipo 3**, confirmado por teste genético. Os sintomas tiveram início no segundo ano de vida. Clinicamente, a Autora apresenta **tetraparesia flácida** e arreflexa, de predomínio proximal. A locomoção é realizada exclusivamente através de cadeira de rodas motorizada. É dependente do auxílio de terceiros para a realização da maioria das atividades de vida diária. Trata-se de deficiência física grave de caráter permanente. Classificações Internacionais de Doenças (CID-10): **G12.1 – Outras atrofias musculares espinhais hereditárias** e **G82.3 – Tetraplegia flácida**. Foi prescrito à Autora:

- **Risdiplam 0,75mg/mL** (Evrysdi®) – tomar 5mg diariamente.

**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. A Resolução SMS nº 3733 de 14 de junho de 2018, definiu o elenco de medicamentos, saneantes, antissépticos, vacinas e insumos padronizados para uso nas unidades da Secretaria Municipal de Saúde do Rio de Janeiro, compreendendo os Componentes Básico, Hospitalar, Estratégico e Básico e Hospitalar, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais no âmbito do Município do Rio de Janeiro (REMUME-RIO), em consonância com as legislações supramencionadas.
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.

## **DA PATOLOGIA**

1. A **atrofia muscular espinhal (AME 5q)** é uma doença neurodegenerativa, rara, com herança genética autossômica recessiva e apresenta uma incidência de aproximadamente 1 em cada 10.000 nascimentos. A doença é causada por uma deleção ou mutação homocigótica do gene 1 de sobrevivência do motoneurônio (SMN<sub>1</sub>), localizado na região telomérica do cromossomo 5q, sendo que o número de cópias de um gene semelhante a ele (SMN<sub>2</sub>), localizado na região centromérica, é o principal determinante da severidade da doença. Essa alteração genética no gene SMN<sub>1</sub> é responsável pela redução dos níveis da proteína de sobrevivência do motoneurônio (SMN). O gene SMN<sub>2</sub> não compensa completamente a ausência da expressão do SMN<sub>1</sub> porque produz apenas 25% da proteína SMN. A falta da proteína SMN leva à degeneração de motoneurônios alfa ( $\alpha$ ) localizados no corno anterior da medula espinhal, o que resulta em fraqueza e paralisia muscular proximal progressiva e simétrica. A doença é classificada conforme a gravidade e a época do início dos sintomas em pelo menos quatro subtipos principais: severa (tipo I, AME aguda ou doença de Werdnig-Hoffmann); intermediária (tipo II ou AME crônica); **branda (tipo 3, AME juvenil ou doença de Kugelberg-Welander)**; e tipo IV (AME adulta). A mortalidade e a morbidade são relacionadas diretamente com a idade do início das manifestações<sup>1,2</sup>.

<sup>1</sup> BAIONI M.T.C., AMBIEL C.R., ET AL, Atrofia muscular espinhal: diagnóstico, tratamento e perspectivas futuras. J Pediatr. (Rio J) Vol 86, no4 Porto Alegre July/Aug. 2010. Disponível em: <[http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci\\_arttext&pid=S0021-75572010000400004](http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0021-75572010000400004)>. Acesso em: 31 mai. 2022

<sup>2</sup> ZANOTELI, P. et al. Atrofia Muscular Espinhal (AME) - Diagnóstico e aconselhamento genético. Projeto Diretrizes. Associação Médica Brasileira (AMB). Disponível em: <<https://amb.org.br/wp-content/uploads/2021/08/ATROFIA-MUSCULAR-ESPINHAL-FINAL-01.02.2021.pdf>>. Acesso em: 31 mai. 2022.



2. A AME tipo 3, AME juvenil ou doença de Kugelberg-Welander, possui um quadro clínico mais brando, com início das manifestações ocorrendo após 18 meses de vida. Clinicamente, caracteriza-se por fraqueza e atrofia muscular das porções proximais dos membros, hipotonia, e arreflexia tendínea profunda. Os pacientes chegam a deambular em algum momento da vida. A marcha tem um padrão anserina devido a fraqueza proximal nos membros inferiores, e usualmente observa-se o sinal de *Gowers*. Disfunção bulbar é mínima e ocorre tardiamente no curso da doença. Apesar do curso mais benigno do tipo 3, observa-se uma piora lentamente progressiva do quadro motor podendo ocorrer perda da capacidade para marcha na evolução da doença, embora a sobrevida seja próxima da normalidade<sup>2</sup>.

### DO PLEITO

1. **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>) é um modificador do *splicing* (maturação) do pré-mRNA de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2) desenvolvido para tratar a atrofia muscular espinhal (AME) causada por mutações no gene SMN1 presente no cromossomo 5q que levam à deficiência na síntese da proteína SMN. A deficiência na proteína SMN funcional é o mecanismo fisiopatológico de todos os tipos de AME. **Risdiplam** aumenta e mantém os níveis funcionais da proteína SMN. Está indicado para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME)<sup>3</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. Refere-se a Autora com diagnóstico clínico e molecular de **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 3** e **tetraparesia flácida**. Apresenta solicitação médica para tratamento com **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>).

2. Diante do exposto, informa-se que o medicamento pleiteado **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>) está indicado em bula<sup>3</sup> para tratamento do quadro clínico apresentado pela Autora – **atrofia muscular espinhal**.

3. Destaca-se que o medicamento **Risdiplam** foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC) para o tratamento de pacientes com **atrofia muscular espinhal (AME)** dos tipos 1, 2 e 3, com as seguintes decisões vigentes:

- Portaria SCTIE/MS nº 19 de 14 de março de 2022 – incorpora, no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, o Risdiplam para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) tipo 1<sup>4</sup>.
- Portaria SCTIE/MS nº 17, de 11 de março de 2022 – incorpora o **Risdiplam** para o tratamento da **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 2**, e não incorpora o Risdiplam para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) tipo 3a, no âmbito do SUS<sup>5</sup>. Portanto, o tipo de AME apresentado pela Autora não está contemplado.

3 ANVISA. Bula do medicamento Risdiplam (Evrysdi<sup>®</sup>) por Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A.. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=101000670>>. Acesso em: 31 mai. 2022.

4 DOU – Diário Oficial da União. Portaria SCTIE/MS nº 19 de 14 de março de 2022.

Disponível em: <[http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2022/20220314\\_Portaria\\_19.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2022/20220314_Portaria_19.pdf)>. Acesso em: 01 abr. 2022.

5 DOU – Diário Oficial da União. Portaria SCTIE/MS nº 17, de 11 de março de 2022. Disponível em:

<[http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2022/20220314\\_Portaria\\_17.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2022/20220314_Portaria_17.pdf)>. Acesso em: 31 mai. 2022.



4. Para o tratamento da atrofia **muscular espinhal**, o Ministério da Saúde publicou, por meio da Portaria Conjunta SAS/SCTIE nº 03, de 18 de janeiro de 2022, o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da atrofia muscular espinhal 5q tipos 1 e 2<sup>6</sup>**. Para o tratamento da **atrofia muscular espinhal 5q do tipo 3** ainda **não foi publicado PCDT**, portanto, ainda não lista de medicamentos padronizados no SUS para o tipo 3.

5. Acrescenta-se ainda que **AME** é uma doença neuromuscular de manifestação clínica variável, genética e **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 Raras<sup>7</sup>** tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos.

6. 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 raras.

7. 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)<sup>8</sup>**.

8. De acordo com publicação da CMED<sup>9</sup>, o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e 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.

9. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, tem-se:<sup>10</sup>

<sup>6</sup> CONITEC. Portaria conjunta nº03, de 18 de janeiro de 2022. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2. Disponível em: <[http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20220201\\_PORTAL\\_Portaria\\_Conjunta\\_3\\_PCDT\\_AME\\_5q\\_Tipos\\_IeII.pdf](http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20220201_PORTAL_Portaria_Conjunta_3_PCDT_AME_5q_Tipos_IeII.pdf)>. Acesso em: 31 mai. 2022.

<sup>7</sup> BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível: <[http://bvsm.sau.gov.br/bvsm/sau/legis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsm.sau.gov.br/bvsm/sau/legis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 31 mai. 2022.

<sup>8</sup> 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: 31 mai. 2022.

<sup>9</sup> 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 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](http://portal.anvisa.gov.br/documents/374947/5866895/LISTA_CONFORMIDADE_GOV_2020_05_v1.pdf/3a41630f-7344-42ec-b8bc-8f98bba7c205)>. Acesso em: 31 mai. 2022.

<sup>10</sup> BRASIL 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](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: 31 mai. 2022.



**GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

- **Risdiplam** (Evryssi®) – apresenta preço de fábrica correspondente a R\$ 64.230,45 e preço de venda ao governo correspondente a R\$ 50.401,64.

**É o parecer.**

**À 4ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**GABRIELA CARRARA**

Farmacêutica  
CRF-RJ 21.047  
ID: 5083037-6

**MARCELA MACHADO DURAÓ**

 Assistente de Coordenação  
CRF-RJ 11517  
ID. 4.216.255-6

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**

Assessor-chefe  
CRF-RJ 10.277  
ID. 436.475-02