



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0957/2022

Rio de Janeiro, 13 de setembro de 2022.

Processo nº 5006438-13.2022.4.02.5102,
ajuizado por neste ato
representada por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **3ª Vara Federal de Niterói**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Vosoritida** (Voxzogo®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com o documento médico (Evento 1, ANEXO7, Página 6 a 8) datado de 03 e 31 de agosto de 2022 pelo médico a Autora apresenta uma síndrome malformativa **acondroplasia** confirmada pelo estudo radiológico e molecular revelando presença da mutação G380R no gene FGFR3. No dia 03/08/2022 o peso dela era de 10,5 kg (0,9 desvios padrão abaixo da média), o comprimento era de 75,7 em (-2,45DP). o perímetro cefálico era de 55 em e a relação altura sentada/altura era de 0,67. A terapia medicamentosa com o peptídeo natriurético tipo C de longa duração **Vosoritida** (Voxzogo®) está recomendada, a partir dos 2 anos de idade. Sendo prescrito: **Vosoritida** (Voxzogo®) - 0,4 mg - 30 frascos por mês - Diluir conforme a bula. Aplicar 0.24mg (0,3ml) por via subcutânea, diariamente, à noite, 7 dias por semana. Medicação de uso contínuo. Foi citada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **Q87.1 – Síndromes com malformações congênitas associadas predominantemente com nanismo** e **Q77.4 - Acondroplasia**

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. O crescimento dos ossos é determinado por vários fatores que vão desde a herança genética às alterações na produção hormonal. O crescimento se dá até o fechamento das cartilagens ósseas. **O fechamento das cartilagens ósseas (epífises), ocorre no final da puberdade, em geral, entre 15 e 20 anos de idade.** 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.

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 Autora, **01 ano e 11 meses**, com diagnóstico de **acondroplasia confirmada por exame genético**, apresentando solicitação médica para tratamento com o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]).

2. Considerando o quadro descrito para a Autora, bem como as características que atestam o **não fechamento de suas epífises (idade)**, informa-se que o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]) **possui indicação²** para o caso em tela.

3. 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 **acondroplasia³**.

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 Raras⁴ 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.

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,

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-programas/DIAGNOSTICONOSUSEPRIMEIROSCUIDADOSNUMAPERSPECTIVAMULTIPROFISSIONAL.pdf>>. Acesso em: 13 set. 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: 13 set. 2022.

³ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao>>. Acesso em: 13 set. 2022.

⁴ 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: 13 set. 2022.



levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras⁵. Entretanto, ainda **não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)⁶ – publicado para o manejo da acondroplasia.**

8. Em consulta às 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 graves⁷.

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). Ademais, até o momento, somente o medicamento **Vosoritida** possui indicação aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária para o tratamento da **acondroplasia**⁸.

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 2021.⁹ 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)¹⁰.

12. De acordo com publicação da CMED¹¹, 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 n° 6, de 2013,

⁵ 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/Relatorio_PCDT_DoenasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf>. Acesso em: 13 set. 2022.

⁶ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em:

<<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>>. Acesso em: 13 set. 2022.

⁷ 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: 13 set. 2022.

⁸ 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: 13 set. 2022.

⁹ 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: 13 set. 2022.

¹⁰ 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/cmcd/apresentacao>>. Acesso em: 13 set. 2022.

¹¹ 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>. Acesso em: 13 set. 2022.



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 à Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, tem-se¹².

- **Vosoritida 0,56mg (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.

A 3ª Vara Federal de Niterói, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

FERNANDO ANTÔNIO DE ALMEIDA GASPAR

Médico

CRM/RJ 52.52996-3

MARIA FERNANDA DE ASSUNÇÃO

BARROZO

Farmacêutica

CRF- RJ 9554

ID:5082525-9

MARCELA MACHADO DURAO

Assistente de coordenação

CRF-RJ 11517

ID. 4.216.255-6

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

Assessor-chefe

CRF-RJ 10.277

ID. 436.475-02

¹² 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/cmmed/precos/arquivos/lista_conformidade_gov_2022_05_v1.pdf/@download/file/LISTA_CONFORMIDADE_GOV_2022_05_v1.pdf>. Acesso em: 13 set.. 2022.