



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1305/2022

Rio de Janeiro, 22 de novembro de 2022.

Processo nº 5008412.40.2022.4.02.5117,
ajuizado por
representado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **3ª Vara Federal** de São Gonçalo, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documentos médicos do Instituto Fernandes Figueira/Fiocruz (Evento 1_RECEIT13, págs. 1 e 2) e (Evento 23_LAUDO2, págs. 1 a 3), emitidos em 21 de setembro de 2022, pelo médico o Autor 09 anos e 06 meses, apresenta uma síndrome malformativa associada ao nanismo tipo **acondroplasia** confirmada pelo estudo radiológico e pelo estudo genético molecular revelando presença da mutação G380R no gene FGFR3. Suas medidas antropométricas compreendem: peso – 26,5kg; estatura sentada - 74cm; braço - 13cm; antebraço - 12cm; perna 43cm; fêmur -21cm; tíbia – 19cm; envergadura – 104cm e PC 55,5cm. Apresenta idade óssea em torno de 08 anos e 6 meses. Apresenta baixa estatura extrema para sua idade, desproporção dos membros, tanto superiores como inferiores, macrocefalia, fronte saliente, terço médio da face hipoplásico, importante hipomobilidade de mãos e pés, alcance e acessibilidade prejudicados, importante lordose com horizontalização do sacro, acromicria das mãos e pés.

2. Ressonância magnética da junção crânio-cervical mostrou não haver necessidade de descompressão da junção crânio-cervical, estando livre dessa complicação. Há queixas relacionadas ao sono por conta da respiração prejudicada. Otites médias recorrentes com perda parcial da audição. A terapia com o medicamento **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®) está recomendada de forma imediata, as epífises do Autor não estão fechadas. Foi mencionado que a urgência está no mérito das placas de crescimento ainda abertas responderem amplamente ao medicamento com uma janela terapêutica satisfatória. Minimizando, assim, os efeitos das complicações. O uso do hormônio do crescimento não está indicado para o tratamento da Acondroplasia. Foram mencionadas as Classificações Internacionais de Doenças (CID-10): **Q87.1 - Síndromes com malformações congênitas associadas predominantemente com nanismo e Q77.4 - Acondroplasia**, e prescrito, em uso contínuo, o medicamento:

- **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®) – aplicar subcutâneo diário em rodízio: dorso do braço, coxas, nádegas, periumbilical.

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 Portaria nº 007 de 25 de janeiro de 2018 da Secretaria Municipal de Saúde da Cidade de São Gonçalo dispõe sobre a relação dos medicamentos que farão parte da grade de medicamentos da rede de atenção básica, os quais deverão estar disponíveis nas Unidades Básicas de Saúde, a saber, a REMUME – São Gonçalo.
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**, considerada uma doença rara, o tipo mais comum de nanismo desproporcional é uma síndrome genética que impede o crescimento normal dos ossos longos (fêmur e úmero, especialmente), porque acelera o processo de ossificação das cartilagens formadoras de ossos. Isso faz com que as diferentes partes do corpo cresçam de maneira desigual. Nos indivíduos com acondroplasia, os sintomas típicos são: baixa estatura; pernas e braços curtos, especialmente se comparados com o tamanho normal do tronco; cabeça grande (macrocefalia), com testa proeminente e achatamento na parte de cima do nariz; dedos curtos e grossos; mãos pequenas; pés planos, pequenos e largos; arqueamento das pernas; mobilidade comprometida na



articulação do cotovelo; cifose e lordose (problemas de curvatura na coluna vertebral) acentuadas; deslocamento da mandíbula para a frente; desalinhamento dos dentes; demora para começar a caminhar, o que pode ocorrer entre os 18 e os 24 meses de idade. Quando a baixa estatura está correlacionada com a ausência ou a pequena produção do hormônio do crescimento (GH), a administração desse hormônio já demonstrou produzir efeitos benéficos. O tratamento pode estender-se por vários anos e deve ser acompanhado de perto por um médico especialista na área, porque podem ocorrer reações adversas ao uso do medicamento¹. 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 mundo². Para a acondroplasia ainda não existe um tratamento específico que possibilite reverter o quadro, porém, a atenção a essa enfermidade deve ser multidisciplinar e os cuidados precoces são essenciais¹.

DO PLEITO

1. **Vosoritida** (Voxzogo[®]) pertence ao grupo farmacoterapêutico de fármacos para o tratamento de doenças ósseas, outros medicamentos que afetam a estrutura e a mineralização óssea. É um peptídeo natriurético tipo C (CNP) modificado³. Está indicado para o tratamento de acondroplasia (ACH) em pacientes a partir de 2 anos de idade e cujas epífises não estão fechadas. O diagnóstico de acondroplasia deve ser confirmado por teste genético apropriado⁴.

III – CONCLUSÃO

1. O Autor 09 anos e 06 meses, apresenta uma síndrome malformativa associada ao nanismo tipo **acondroplasia** confirmada pelo estudo radiológico e pelo estudo genético molecular. Apresenta baixa estatura extrema e idade óssea em torno de 08 anos e 6 meses. Foi prescrito o medicamento **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo[®]), de forma imediata, as epífises do Autor não estão fechadas.

2. Informar que o medicamento **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo[®]) **possui indicação em bula**⁴ aprovada pela ANVISA, para o tratamento da acondroplasia, em pacientes a partir de 2 anos de idade e cujas **epífises não estão fechadas, caso clínico apresentado pelo Autor**.

¹BRASIL. Ministério da Saúde. Biblioteca Virtual em Saúde. Nanismo. Publicado: terça, 30 de junho de 2020, 08h35. Disponível em: <<http://bvsm.s.saude.gov.br/dicas-em-saude/3219-nanismo>>. Acesso em: 17 nov. 2022.

²BRASIL. 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: 17 nov 2022

³Resumo das características do medicamento Vosoritida (Voxzogo[®]) por BioMarin Pharmaceutical Inc. Disponível em: <https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/voxzogo-epar-product-information_pt.pdf>. Acesso em: 17 nov. 2022.

⁴Informações sobre o medicamento Vosoritida (Voxzogo[®]) por BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/voxzogo-vosoritida-novo-registro>>. Acesso em: 17 nov. 2022



3. No que tange à disponibilização, informa-se que **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de São Gonçalo e Estado do Rio de Janeiro.
4. Destaca-se que o medicamento pleiteado **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®), até o presente momento, **não foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC⁵.
5. Acrescenta-se que a acondroplasia é considerada uma doença rara, que acomete cerca de 1 a cada 25000 pessoas¹. Assim, cumpre salientar que 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 Raras⁶ 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 raras⁷. Entretanto, ainda **não há** Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)⁸ publicado para o manejo da **acondroplasia**.
7. Em consulta as bases de dados científicas, informa-se que os métodos para o tratamento da acondroplasia podem ser agrupados em terapias cirúrgicas e farmacológicas⁸.
8. 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 graves⁹.
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 (ANVISA) para o tratamento da acondroplasia^{4,9,10}.
10. Destaca-se que o medicamento **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®) **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

⁵Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 17 nov. 2022.

⁶BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível: <http://bvms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 17 nov. 2022.

⁷CONITEC. 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: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 17 nov. 2022.

⁸Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 17 nov. 2022.

⁹WROBEL 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: 17 nov. 2022.

¹⁰PAULI, 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: 17 nov. 2022



ANVISA em 29 de novembro de 2021⁴. 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 medicamentos⁴.

11. No que concerne ao valor do medicamento pleiteado, no Brasil para um medicamento ser comercializado no país 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 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, que regulamenta o artigo 4° da Resolução n° 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 n° 6, de 2013.

13. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, a **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®) com 10 seringas possui preço de fábrica R\$ 70132,71 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 55033,14, para o ICMS 20%¹¹.

É o parecer.

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

CHEILA TOBIAS DA HORA BASTOS

Farmacêutica
CRF-RJ 14680
ID. 4459192-6

VANESSA DA SILVA GOMES

Farmacêutica
CRF- RJ 11538
Mat. 4.918.044-1

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

¹¹BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>>. Acesso em: 17 nov 2022.