



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1306/2022**

Rio de Janeiro, 21 de novembro de 2022.

Processo nº 5085643.94.2022.4.02.5101,  
ajuizado por [REDACTED],  
representado por [REDACTED].

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 **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®).

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com formulário médico da Defensoria Pública da União (Evento 1\_ANEXO2, págs. 12 a 16), emitido em 05 de outubro de 2022, pela geneticista [REDACTED], o Autor 05 anos, aos 02 meses de idade foi identificado que estava abaixo das curvas de peso e comprimento, além de membros curtos. Desde então foi feita suspeita clínica de **acondroplasia**, confirmada molecularmente aos 02 anos de idade. Evolui com baixa estatura desproporcionada e rizomélica, com macrocefalia. Não realizou nenhum tratamento medicamentoso até o momento, sendo indicado **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®), via subcutânea até o fechamento das epífises ósseas, sem data ou idade precisa. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **Q77.4 – Acondroplasia**.

2. Em documentos médicos do Instituto de Puericultura e Pediatria Martagão Gesteira (Evento 1\_ANEXO2, págs. 17 a 22) emitidos em 17 de agosto de 2022, pela geneticista [REDACTED], o Autor 05 anos, peso: 14,300Kg, altura: 89,6cm, apresenta **acondroplasia**, encaminhado ao referido hospital inicialmente devido à suspeita de nanismo. Por ocasião da primeira consulta notado macrocrania, estreitamento torácico e encurtamento rizomélico de membros superiores. A estatura encontra-se abaixo do z score -3 e o peso abaixo do z score -2. Estudo radiológico de esqueleto (01/08/2022), revelou cifose dorsolombar e acentuação do ângulo lombossacro; tomografia computadorizada de crânio e colunar cervical (17/06/2022) desproporção craniofacial com aspecto macrocefálico. Teste molecular para acondroplasia com pesquisa de mutações no gene FGFR3: presença de mutação em heterozigose, G1138A no gene FGFR3. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10):

**Q77.4 – Acondroplasia**, e prescrito o medicamento:

- **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®) – reconstituir 1 frasco em 0,7mL de solvente (concentração de 0,8mg/mL) e aplicar 0,35mL desta solução 1 vez ao dia.



## 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/RJ 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.

## 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<sup>1</sup>. 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<sup>2</sup>.

2. 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 medicamento<sup>1</sup>. 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<sup>2</sup>. 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 essenciais<sup>1</sup>.

## DO PLEITO

1. **Vosoritida** (Voxzogo<sup>®</sup>) 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) modificado<sup>3</sup>. 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 apropriado<sup>4</sup>.

## III – CONCLUSÃO

1. O Autor 05 anos, apresenta **acondroplasia** confirmada molecularmente aos 02 anos de idade. Sendo indicado **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo<sup>®</sup>), via subcutânea até o fechamento das epífises ósseas, sem data ou idade precisa.

2. Informa-se que o medicamento **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo<sup>®</sup>) possui indicação em bula<sup>4</sup> 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**.

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

<sup>2</sup>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: 17 nov 2022

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

<sup>4</sup>Informações sobre o medicamento Vosoritida (Voxzogo<sup>®</sup>) 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<sup>®</sup>) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município e Estado do Rio de Janeiro.

4. Destaca-se que o medicamento pleiteado **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo<sup>®</sup>), até o presente momento, **não foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC<sup>5</sup>.

5. Acrescenta-se que a acondroplasia é considerada uma doença rara, que acomete cerca de 1 a cada 25000 pessoas<sup>1</sup>. 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 Raras<sup>6</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<sup>7</sup>. Entretanto, ainda **não há** Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)<sup>8</sup> 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 farmacológicas<sup>8</sup>.

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 graves<sup>9</sup>.

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<sup>4,9,10</sup>.

10. Destaca-se que o medicamento **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo<sup>®</sup>) **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 ANVISA em 29 de novembro de 2021<sup>4</sup>. Ademais, por se tratar de uma necessidade médica não

<sup>5</sup>Comissão 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.

<sup>6</sup>BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível em: <[http://bvms.saude.gov.br/bvms/saudelegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvms.saude.gov.br/bvms/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 17 nov. 2022.

<sup>7</sup>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: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio\\_pcdt\\_doenasraras\\_cp\\_final\\_142\\_2015.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf)>. Acesso em: 17 nov. 2022.

<sup>8</sup>Comissão 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.

<sup>9</sup>WROBEL W, PACHE 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.

<sup>10</sup>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: 17 nov. 2022



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 medicamentos<sup>4</sup>.

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)<sup>11</sup>.

12. De acordo com publicação da CMED<sup>11</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 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%<sup>11</sup>.

**É o parecer.**

**Á 4ª Vara Federal do Rio de Janeiro, 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

<sup>11</sup>BRASIL 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.