



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1506/2022

Rio de Janeiro, 22 de dezembro de 2022.

Processo nº 5094699.88.2021.4.02.5101,
ajuizado por [REDACTED], neste
ato representada 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 **Onasemnogeno Abeparvoveque 2,0 x 10¹³gv/mL (Zolgensma[®])**.

I – RELATÓRIO

1. Apensado aos autos (Evento 6_PARECER1, páginas. 1 a 9), encontra-se PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0874/2021, emitido 03 de setembro de 2021, no qual foi esclarecido os aspectos relativos às legislações vigentes, ao quadro clínico apresentado pela Autora (de **atrofia muscular espinhal tipo 1**), e quanto a indicação e disponibilização do medicamento **Onasemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma[®])** e a sua **aplicação**.

2. Após a emissão do parecer supramencionado, foi acostado ao processo laudo de evolução clínica da Axxcare Atenção Domiciliar (Evento 97_PRONT2, pág. 1), emitido em 08 de junho de 2022, pela [REDACTED], a Autora, 1 ano e 7 meses, com quadro de **ame tipo 1**, com início de evolução de sintomas de atrofia muscular a partir de 18 dias de vida, com hepatotoxicidade, evoluindo com disfagia a partir de 3 meses de idade. A partir daí várias internações e diagnóstico de ame tipo 1. Em uso de Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza[®]), 5ª aplicação e em 26/09/2022, com melhora progressiva de movimentos em membros superiores, com isso terá melhoras em uso de **Onasemnogeno Abeparvoveque 2,0 x 10¹³gv/mL (Zolgensma[®])** sendo indicado o uso para uma boa evolução de doença e melhora da qualidade de vida da criança.

3. Em documento médico da ProntoBaby (Evento 97_OUT3, págs. 1 a 3), emitido em 26 de maio de 2022, pela pediatra [REDACTED], segundo resumo de alta da UTI, a Autora interna no referido hospital em 28 de dezembro de 2021, recebe alta em 26 de maio de 2022 para casa, tem diagnóstico de **ame tipo 1** – ausência do **éxon 7** em **SM**, fez traqueostomia e gastrostomia (27/08/2022), traqueíte resolvida (28/04 a 08/5/2022), ITU resolvida (18/04-25/04/2022), aplicação de Botox em 06/01/2022 e 26/06/2022, aplicação de Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza[®]) em 26/01/2022. A manutenção do Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza[®]) deve ser administrada a cada 4 meses – doses feitas: 29/11/2021, 13/12/2021, 26/01/2022, 26/05/2022, próxima dose em 26/09/2022.



II – ANÁLISE DA LEGISLAÇÃO

Em atualização ao abordado em PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0874/2021, emitido 03 de setembro de 2021 (Evento 6_PARECER1, páginas. 1 a 9), tem-se:

1. 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/ DO PLEITO

1. Conforme abordados em PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0874/2021, emitido 03 de setembro de 2021 (Evento 6_PARECER1, páginas 1 a 9).

III – CONCLUSÃO

1. Anexado aos autos Evento 6_PARECER1, páginas 1 a 9, encontra-se o PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0874/2021, emitido 03 de setembro de 2021.

2. Reitera-se que o medicamento **Onasemnogeno Abeparvoveque 2,0 x 10¹³gv/mL (Zolgensma[®])** **está indicado em bula¹** para o manejo do quadro clínico apresentado pela Autora - **atrofia muscular espinhal tipo 1**, conforme relato médico.

3. Em atualização ao parecer supracitado, informa-se que o medicamento **Onasemnogeno Abeparvoveque 2,0 x 10¹³gv/mL (Zolgensma[®])** **foi analisado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC para o tratamento de **atrofia muscular espinhal (AME)**, a qual, recomendou no dia **01 de dezembro de 2022 a incorporação ao SUS do onasemnogeno abeparvoveque** para o tratamento de **pacientes pediátricos com até 6 meses de idade com AME tipo I em que estejam fora de ventilação mecânica invasiva acima de 16 horas por dia, conforme protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde e Acordo de Compartilhamento de Risco²**.

4. Assim, no que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento **Onasemnogeno Abeparvoveque 2,0 x 10¹³gv/mL (Zolgensma[®])**, o mesmo **foi incorporado ao SUS²**, para o tratamento de **atrofia muscular espinhal (AME)**, conforme protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde e Acordo de Compartilhamento de Risco, conforme disposto na Portaria SCTIE/MS Nº 172, de 06 de dezembro de 2022. Acrescenta-se que, de acordo com o Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011³, **há um prazo de 180 dias, a partir da data da publicação, para efetivar a oferta desse medicamento no SUS**. Portanto, o referido medicamento **ainda não está disponível** para o

¹Bula do medicamento Onasemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma[®]) por Novartis Biociências S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Zolgensma>>. Acesso em: 22 dez. 2022.

²Brasil. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME). Relatório de Recomendação Nº 793, Dezembro/2022. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207_relatorio_zolgensma_ame_tipo_i_793_2022.pdf>. Acesso em: 22 dez. 2022.

³BRASIL Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011. Dispõe sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no sistema único de Saúde e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo Sistema Único de Saúde – SUS, e dá outras providências. Disponível em: <http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2011/Decreto/D7646.htm>. Acesso em: 22 dez. 2022.



tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME), no SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro.

5. Convém ressaltar que, segundo Relatório de Recomendação², o **Onasemnogeno Abeparveque foi incorporado ao SUS** para o tratamento de pacientes pediátricos com até 6 meses de idade com AME tipo I. Destaca-se que a Autora nasceu em 30 de abril de 2021 (Evento 1_CERTNASC6, página 1) e, portanto, apresenta atualmente 1 ano e 7 meses.

6. Para o tratamento da **AME**, o Ministério da Saúde atualizou em janeiro/2022, o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da **Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos I e 2**⁴. Por conseguinte, a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ) atualmente disponibiliza através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) aos pacientes que se enquadram nos critérios de inclusão do referido protocolo e ainda conforme o disposto na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 (Título IV) e na Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, que estabelecem as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS, o medicamento Nusinersena 12mg/5mL.

7. Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que a Autora está cadastrada no CEAF para recebimento do medicamento Nusinersena 12mg/5mL (ampola), tendo efetuado a última retirada em 09 de novembro de 2022. Assim, observa-se que o **medicamento padronizado já está sendo utilizado no plano terapêutico da Autora**.

8. Cabe ressaltar que **não há avaliação pela Conitec sobre a eficácia no uso do Onasemnogeno Abeparveque após o uso do Nusinersena. Sendo assim, não há como garantir benefícios no uso do medicamento pleiteado**.

9. Ademais, em caráter informativo, ressalta-se que, conforme observado em consulta ao sítio eletrônico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), atualmente foi Encaminhado para publicação o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Atrofia Muscular Espinhal Tipo I e II⁵.

10. 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)⁶.

11. De acordo com publicação da CMED⁹, 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.

⁴BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta Nº 03, de 18 de janeiro de 2022. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos I e II. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20220201_portal_portaria_conjunta_3_pcdt_ame_5q_tipos_ieii.pdf>. Acesso em: 22 dez. 2022.

⁵BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Protocolos e Diretrizes do Ministério da Saúde. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/pcdt-em-elaboracao-1>>. Acesso em: 22 dez. 2022.

⁶BRASIL 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: 22 dez. 2022.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

12. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o **Onasemnogeno Abeparvoque 2,0 x 10¹³gv/mL** (Zolgensma[®]) possui preço de fábrica R\$ 9279961,88 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 7281986,09, para o ICMS 20%⁹.

13. No momento, não há novas informações a serem abordadas por este Núcleo, renovam-se as informações dispostas no PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL N° 0874/2021, emitido 03 de setembro de 2021 (Evento 6_PARECER1, páginas 1 a 9).

É o parecer.

A 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