



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NAT-FEDERAL Nº 0473/2023**

Rio de Janeiro, 12 de abril de 2023.

Processo nº 5004464-77.2023.4.02.5110,  
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **5ª Vara Federal** de São João de Meriti, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Risdiplam** (Evrysdi®).

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com os documentos médicos (Evento 1\_ANEXO17) do Hospital Geral de Bonsucesso (Páginas 1 a 2), datado de 24 de fevereiro de 2023, e Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos – LME (Página 3), não datado, todos assinados pelo médico , o Autor tem diagnóstico de **atrofia muscular espinhal do tipo 2**, apresentando tetraparesia, arreflexia generalizada e atrofia dos 4 membros de predomínio distal. Em virtude de seu quadro clínico e tendo em vista as terapias atuais disponíveis para a doença, tem indicação de uso de **Risdiplam 0,75mg/mL** (Evrysdi®) – tomar 6,6mL, uma vez ao dia (total de 03 frascos/mês). Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12 – atrofia muscular espinhal e síndromes correlatas**.

**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 Mesquita, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais, REMUME – Mesquita 2021.
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 **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 homozigótica 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 do tipo II** apresenta sintomatologia menos intensa, com início das manifestações ocorrendo antes dos 18 meses de vida, sendo o atraso motor o sinal mais evidente, especialmente para sentar-se e para ficar de pé. As crianças são capazes de sentar sem apoio, porém não chegam a deambular. São crianças com uma expressão facial normal, mas com grave comprometimento dos membros, mais facilmente observado nos músculos proximais, especialmente de membros inferiores. Frequentemente se associa com deformidades osteoesqueléticas, tais como retrações musculares e escoliose. Tremor fino postural dos dedos é frequentemente observado, assim como fasciculações na língua e arreflexia tendínea profunda. A sobrevida é variável, com o óbito ocorrendo devido a complicações respiratórias<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 Autor com diagnóstico clínico e molecular de **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 2**. Apresenta solicitação médica para tratamento com **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>).

2. Diante do exposto, informa-se que o medicamento pleiteado **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>) possui registro válido na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e está indicado em bula<sup>3</sup> para tratamento da patologia apresentada pelo Autor.

3. Destaca-se que o medicamento **Risdiplam foi incorporado no SUS** para o tratamento da **AME tipo II**, conforme Portaria SCTIE/MS nº 17, de 11 de março de 2022.

4. A partir da publicação da decisão do Secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE) do Ministério da Saúde no Diário Oficial da União (art. 23 do Decreto n. 7.646/2011), começa-se a contar o prazo de 180 dias para efetivar-se a disponibilização da tecnologia incorporada pelo SUS (art. 25 do Decreto n. 7.646/2011).

5. Em consulta ao Sistema de Gerenciamento da tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS – SIGTAP, na competência de 04/2023, verifica-se que o referido medicamento ainda **não integra** nenhuma relação oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS.

6. Para que ocorra a efetiva inclusão do medicamento no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - CEAF e a posterior disponibilização aos

<sup>3</sup> 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.



pacientes do SUS, se faz necessária a sua pactuação financeira na Comissão Intergestores Tripartite (CIT) e publicação do PCDT em sua versão final.

7. Entretanto, embora a *versão atualizada* do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da AME Tipo I e II tenha sido encaminhada ao Ministério da Saúde para publicação final, ela ainda não se encontra disponível.

8. De acordo com o resumo executivo da 5ª Reunião Ordinária da CIT 2022, foi pactuada a proposta apresentada, na qual o medicamento Risdiplam foi incluído no Grupo de Financiamento 1A do CEAF: medicamento com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal<sup>4</sup>.

9. No que se refere à existência de substitutos terapêuticos no âmbito do SUS, destaca-se que há **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PDCT) da AME Tipo 1 e 2<sup>1</sup>**, publicado pela Ministério da Saúde conforme Portaria SAS/MS nº 03, de 18 de janeiro de 2022<sup>5</sup>, o qual ainda está vigente. Por conseguinte, a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro, disponibiliza, atualmente, por meio do CEAF, o medicamento: Nusinersena 2,4mg/mL – solução injetável.

10. Em consulta ao Sistema Nacional de Gestão da Assistência Farmacêutica – HÓRUS, do Ministério da Saúde, verificou-se que o Autor **não possui cadastrado** no CEAF (tampouco houve solicitação de cadastro) para a retirada desse medicamento.

11. Portanto, recomenda-se avaliação médica acerca da possibilidade de o Autor fazer uso do medicamento fornecido, no momento, para o tratamento da AME Tipo II. Assim, caso positivo e estando dentro dos critérios de inclusão do PCDT-AME Tipo I e II, o Requerente ou seu representante legal deverá efetuar cadastro no CEAF (unidade e documentos necessários em ANEXO I).

12. *Com relação à gravidade da doença do Autor*, vale explicitar que a AME possui vários tipos, de acordo com as mutações genéticas e os sintomas observados, a idade da manifestação inicial da doença e o seu curso de avanço. A AME Tipo I apresenta os sintomas mais graves e pode levar à morte ainda nos primeiros anos de vida; já os tipos II e III aparecem tardiamente na infância e estão associados à sobrevivência na idade adulta e ao potencial de manter uma vida com qualidade (gravidade variada). Dentre esses dois tipos, a tipo II é aquele que apresenta pior função motora com comprometimento importante e progressivo, por exemplo, os pacientes com melhor desenvolvimento conseguem ficar em pé quando apoiados, mas não adquirem a habilidade de andar independentemente<sup>6</sup>.

13. *Com relação ao risco de morte caso não faça uso do medicamento aqui pleiteado, cumpre explicar que a AME é uma doença neurodegenerativa progressiva e os cuidados de suporte e tratamentos médicos especializados são fundamentais para aumentar a qualidade e a expectativa de vida do paciente, tais como suporte nutricional, cuidados*

<sup>4</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Secretaria Executiva da Comissão Intergestores Tripartite. Resumo Executivo da 5ª Reunião Ordinária da CIT 2022. Disponível em: < [https://www.gov.br/saude/pt-br/aceso-a-informacao/gestao-do-sus/articulacao-interfederativa/cit/pautas-de-reunioes-e-resumos/2022/maio/resumo\\_cit\\_maio\\_2022.pdf/view](https://www.gov.br/saude/pt-br/aceso-a-informacao/gestao-do-sus/articulacao-interfederativa/cit/pautas-de-reunioes-e-resumos/2022/maio/resumo_cit_maio_2022.pdf/view)>. Acesso em: 11 abr. 2023.

<sup>5</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Secretaria de Atenção Especializada à Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Portaria Conjunta nº 03, de 18 de janeiro de 2022. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da AME Tipo 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](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20220201_portal_portaria_conjunta_3_pcdt_ame_5q_tipos_ieii.pdf)>. Acesso em: 11 abr. 2023.

<sup>6</sup> CONITEC. Relatório de Recomendação nº 710. Fevereiro/2022. Risdiplam para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) tipo II e III. Disponível em: < [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2022/20220314\\_relatorio\\_710\\_risdiplam\\_ametipoieiii.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2022/20220314_relatorio_710_risdiplam_ametipoieiii.pdf)>. Acesso em: 11 abr. 2023.



respiratórios e ortopédicos. E com relação ao tratamento farmacológico, ao menos que o tratamento medicamentoso seja instituído pré-sintomaticamente, quando a disfunção do neurônio motor ainda pode ser reversível e consiga induzir de forma expressiva os níveis de SMN em neurônios motores da medula espinhal, é provável que o processo degenerativo progressivo não seja completamente estabilizado, e apenas desacelerado<sup>6</sup>.

14. *Os laudos médicos acostados aos autos estão de acordo com as alegações formuladas pelo Autor.*

15. 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.

16. 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.

17. 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>.

18. 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.

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

<sup>7</sup> BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<[http://bvsmis.saude.gov.br/bvsmis/saudeflegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsmis.saude.gov.br/bvsmis/saudeflegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 11 abr. 2023.

<sup>8</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/cmmed>>. Acesso em: 11 abr. 2023.

<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/cmmed/precos/arquivos/lista\\_conformidade\\_pmv\\_2023\\_02\\_v2-1.pdf/@download/file/lista\\_conformidade\\_pmv\\_2023\\_03\\_v2.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed/precos/arquivos/lista_conformidade_pmv_2023_02_v2-1.pdf/@download/file/lista_conformidade_pmv_2023_03_v2.pdf)>. Acesso em: 11 abr. 2023.



**GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

- **Risdiplam 0,75mg/mL – 80mL** (Evryssi®) – apresenta preço de fábrica correspondente a R\$ 64.230,45 e preço de venda ao governo correspondente a R\$ 50.401,64.

20. Ressalta-se que o esquema posológico indicado ao Autor é de 6,6mL ao dia (198mL ao mês), o que perfaz em média 3 frascos/mês.

**É o parecer.**

**À 5ª Vara Federal de São João de Meriti, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**LEOPOLDO JOSÉ DE OLIVEIRA NETO**

Farmacêutico  
CRF-RJ 15023  
ID.5003221-6

**KARLA SPINOZA C. MOTA**

Farmacêutica  
CRF- RJ 10829  
ID. 652906-2

**MILENA BARCELOS DA SILVA**

Farmacêutica  
CRF- RJ 9714  
ID. 4391185-4

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**

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





**ANEXO I**

<p><b><u>Unidade:</u></b> Rio Farnes Nova Iguaçu</p>
<p><b><u>Endereço:</u></b> Av. Governador Roberto Silveira, 206 - Centro/Nova Iguaçu Tel.: (21) 98169-4917/98175-1921. Horário de atendimento: 08-17h</p>
<p><b><u>Documentos pessoais:</u></b> Original e Cópia de Documento de Identidade ou da Certidão de Nascimento, Cópia do Cartão Nacional de Saúde/ SUS, Cópia do comprovante de residência.</p>
<p><b><u>Documentos médicos:</u></b> Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos (LME), em 1 via, emitido a menos de 90 dias, Receita Médica em 2 vias, com a prescrição do medicamento feita pelo nome genérico do princípio ativo, emitida a menos de 90 dias.</p>
<p><b><u>Observações:</u></b> O LME deverá conter a descrição do quadro clínico do paciente, menção expressa do diagnóstico, tendo como referência os critérios de inclusão previstos nos PCDT do Ministério da Saúde, nível de gravidade, relato de tratamentos anteriores (medicamentos e período de tratamento), emitido a menos de 90 dias e Exames laboratoriais e de imagem previstos nos critérios de inclusão do PCDT.</p>