



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0749/2023

Rio de Janeiro, 07 de junho de 2023.

Processo nº 5011260-84.2023.4.02.5110,
ajuizado por .

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **6ª Vara Federal** de São João de Meriti, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Risdiplam** e sua **aplicação**.

I – RELATÓRIO

1. De acordo com os documentos médicos do Hospital Universitário Gaffrée e Guinle (Evento 1_LAUDO7/8_Página 1), emitidos pela médica em 01 de março de 2023, o Autor tem diagnóstico clínico e molecular de **atrofia muscular espinhal tipo 3** e, atualmente, apresenta-se com pouca mobilização dos membros superiores e inferiores, evidenciando a progressão da doença, além de escoliose grave, tendo realizado artrodese de coluna em 2013.
2. Devido à dificuldade de administração do medicamento Nusinersena em pacientes com escoliose, a médica assistente indica ao Autor tratamento com **Risdiplam** na posologia de 5mg ao dia, por tempo indeterminado. A eficácia do tratamento está relacionada ao uso contínuo do medicamento.
3. Foi mencionado o seguinte código da Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.1 – outras atrofias musculares espinhais hereditárias**

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 Queimados, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais – REMUME-QUEIMADOS-RJ, publicada pela Resolução nº 004/SEMUS/2012, de 25 de maio de 2012.
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.

DA PATOLOGIA

1. As **atrofias musculares espinhais** são um grupo diverso de desordens genéticas que afetam o neurônio motor espinhal. As diferentes formas de atrofias musculares espinhais estão associadas a numerosas mutações genéticas e significativa variabilidade fenotípica. A **atrofia muscular espinhal (AME) 5q** é a forma mais comum nesse grupo de doenças neuromusculares hereditárias autossômicas recessivas caracterizadas pela degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e no tronco encefálico¹.
2. A classificação clínica da **AME 5q** é dada pela idade de início e máxima função motora adquirida, podendo ser classificada em quatro tipos. A AME 5q tipo 1 tem início precoce e é a mais grave e também a mais comum, representando 58% dos casos. Já a AME 5q tipo 2 é caracterizada pela manifestação dos sintomas entre 6 e 18 meses de idade e estima-se que representa 27% dos casos de AME 5q. Os **tipos 3** e 4 da AME 5q afetam cerca de 13% e menos de 5% dos portadores da mutação, respectivamente. De forma geral, os pacientes apresentam mais de três cópias de SMN2, com início dos sintomas após os 18 meses de vida. Nesses subtipos, a maioria dos pacientes alcança a vida adulta, com expectativa de vida variável entre os tipos. O alcance de marcos motores é bem distinto entre as classificações, sendo que o tipo 3 apresenta pior função motora e o tipo 4 o melhor desenvolvimento motor¹.

¹ BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta Nº 6, de 15 de maio de 2023. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20230522_portariaconjuntano6atrofiamuscularespinhal5qtipos1e2.pdf>. Acesso em: 07 jun. 2023.



3. A **AME tipo 3** (também chamada de AME juvenil ou doença de Kugelberg-Welander) aparece após os 18 meses, porém a idade de início varia muito. Com o passar dos anos, os indivíduos com **AME tipo 3** podem desenvolver escoliose. A principal característica desses pacientes é que eles conseguem andar independentemente, e a expectativa de vida é indefinida².

DO PLEITO

1. **Risdiplam** 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)³.

III – CONCLUSÃO

1. Refere-se a Autor com diagnóstico clínico e molecular de **atrofia muscular espinhal tipo 3**, apresentando solicitação médica para tratamento com o medicamento **Risdiplam**.

2. Diante do exposto, informa-se que o medicamento pleiteado **Risdiplam está indicado em bula**³ para tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor – **atrofia muscular espinhal**.

3. Para o tratamento da **atrofia muscular espinhal**, o Ministério da Saúde atualizou recentemente, por meio da Portaria Conjunta SAES/SCTICS n° 6, de 15 de maio de 2023, o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q dos tipos 1 e 2**¹. Entretanto, no que tange à **atrofia muscular espinhal do tipo 3** – quadro clínico que acomete o Autor, **não há PCDT⁴ publicado, em elaboração⁵ ou em atualização** e, portanto, **não há lista oficial de medicamentos** que possa ser implementada nesta circunstância.

4. Tendo em vista a classificação da **AME** apresentada pelo Requerente, destaca-se que o medicamento **Risdiplam foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC) para o tratamento de pacientes com **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 3a** [quando o aparecimento da doença ocorre antes dos 3 anos de idade]. A Comissão deliberou por unanimidade a **não incorporação do Risdiplam para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) tipo 3a, no âmbito do SUS**. O

² BAIONI MTC, AMBIEL CR. Atrofia muscular espinhal: diagnóstico, tratamento e perspectivas futuras. J Pediatr (Rio J) [Internet]. 2010Jul;86(4):261–70. Disponível em: <<https://www.scielo.br/j/jped/a/wfPCsMcS4z6xcRVNxt8bt/?lang=pt#>>. Acesso em: 07 jun. 2023.

³ ANVISA. Bula do medicamento Risdiplam (Evrysdi®) por Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A.. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q?numeroRegistro=101000670>>. Acesso em: 07 jun. 2023.

⁴ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 07 jun. 2023.

⁵ BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. PCDT em elaboração. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/pcdt-em-elaboracao-1>>. Acesso em: 07 jun. 2023.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Plenário considerou que apesar das evidências científicas analisadas serem de boa qualidade, há uma grande incerteza quanto a magnitude e precisão do efeito nos desfechos considerados críticos. O impacto orçamentário mostrando um alto valor ao final de cinco anos, também foi concludente para a recomendação⁶.

5. Quanto a solicitação advocatícia quanto do “...*medicamento Risdiplam (...)* e **local para aplicação** indicados pela médica assistente...” (Evento 1_INIC1_Página 26), insta esclarecer que, conforme orientação do fabricante, Risdiplam **é administrado por via oral** uma vez ao dia, aproximadamente no mesmo horário todos os dias³.

6. Acrescenta-se que a **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**⁷ 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, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras.

8. 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)**⁸.

9. De acordo com publicação da CMED, 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.

10. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, tem-se⁹:

⁶ CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação. 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>. Acesso em: 07 jun. 2023.

⁷ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível em: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 07 jun. 2023.

⁸ 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/precos/>>. Acesso em: 07 jun. 2023.

⁹ 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_06_v1.pdf/@download/file>. Acesso em: 07 jun. 2023.



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

- **Risdiplam** (Evryssi®) – apresenta preço de fábrica correspondente a R\$ 67.827,36 e preço de venda ao governo correspondente a R\$ 53.224,13.

É o parecer.

À 6ª Vara Federal de São João de Meriti, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

GABRIELA CARRARA

Farmacêutica
CRF-RJ 21.047
ID: 5083037-6

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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