



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1309/2023

Rio de Janeiro, 20 de setembro de 2023.

Processo nº 5007496-14.2023.4.02.5103,
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da 3ª **Vara Federal** de Campos, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Risdiplam** (Evrysdi®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com os documentos médicos em impresso próprio (Evento 1, LAUDO5, Página 1; Evento 18, LAUDO2, Página 1, Evento 18, RECEIT3, Página 1), emitidos pelo médico em 10 de janeiro e 27 de julho de 2023, a Autora, 36 anos, tem diagnóstico clínico e molecular de **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 3** cadeirante comunitária e possui bom cognitivo, está no momento sem tratamento medicamentoso, o que faz com que a doença progrida deixando-a cada vez mais fraca, o quanto antes iniciar o medicamento melhor para preservar as forças da Autora, nos últimos anos a doença progrediu com engasgos e disfagia. A Autora possui escoliose acima de 45 graus o que impossibilita a aplicação de medicamentos intratecais como o nusinersena. A amiotrofia espinhal é uma doença neuromuscular progressiva devido a mutações no cromossomo 5q no gene SMN1 que produz a proteína SMN, a Requerente tem o gene SMN1 inativo e não produz essa proteína que dá força ao músculo. Um segundo gene SMN2, localizado perto de SMN1, é responsável por uma pequena quantidade de produção de proteína SMN. Então o medicamento **Risdiplam** (Evrysdi®) age fazendo aumentando a produção da proteína de SMN produzida pelo SMN2; melhorando a força muscular do paciente. O medicamento **Risdiplam** (Evrysdi®) é aprovado pela Anvisa, é via oral.

2. Foi prescrito a Autora o tratamento com **Risdiplam** 0,75mg/ml na posologia de 6,5mg após almoço, uso contínuo. Código da Classificação Internacional de Doenças (CID-10), citado: **G12.1 – outras atrofia 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.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 Campos dos Goytacazes, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos – REMUME - Campos dos Goytacazes 2016.
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. As **atrofias musculares espinhais** são um grupo diverso de desordens genéticas que afetam o neurônio motor espinhal. As diferentes formas de atrofia 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

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: 20 set. 2023.



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.

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 Autora com diagnóstico clínico e molecular de **atrofia muscular espinhal tipo 3**, apresentando solicitação médica para tratamento com o medicamento **Risdiplam 0,75mg/ml** (Evrysdi®).

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

3. No que tange à disponibilização pelo SUS insta mencionar que o medicamento **Risdiplam foi incorporado ao SUS** apenas para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5Q Tipo I e II. Sendo disponibilizado pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro, por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), aos pacientes que se enquadram nos critérios de inclusão definidos no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da AME tipos I e II. Entretanto, a requerente apresenta **AME tipo 3**, assim, **não terá acesso ao medicamento por vias administrativas**.

4. Para o tratamento da **atrofia muscular espinhal**, o Ministério da Saúde atualizou, 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

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: 20 set. 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: 20 set. 2023.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

acomete a Autora, **não há PCDT⁴ publicado, em elaboração⁵ ou em atualização** e, portanto, **não há lista oficial de medicamentos** que possa ser implementada nesta circunstância.

5. Tendo em vista a classificação da **AME** apresentada pela 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**. 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 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.

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 Raras⁷** 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. O medicamento pleiteado possui registro da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

9. 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**.

10. 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

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: 20 set. 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: 20 set. 2023.

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_ametipoiieiii.pdf>. Acesso em: 20 set. 2023.

⁷ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível: <http://bvsm.sau.gov.br/bvsm/sau/legis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 20 set. 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: 20 set. 2023.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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.

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

- **Risdiplam 75mg/ml** (Evrysdi®) solução oral frasco com 80ml – 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 3ª Vara Federal de Campos, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro,
para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

ALINE PEREIRA DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 13065
ID. 4.391.364-4

MILENA BARCELOS DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 9714
ID. 4391185-4

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

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/cmed/precos/arquivos/lista_conformidade_pmvg_2023_06_v1.pdf/@@download/file>. Acesso em: 20 set. 2023.