



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0197/2024**

Rio de Janeiro, 08 de fevereiro de 2024.

Processo nº 5001741-75.2024.4.02.5102,  
ajuizado por

representado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **3ª Vara Federal de Niterói**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Vosoritida 0,4mg** (Voxzogo®).

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com os documentos médicos do Instituto Nacional Fernandes Figueira e do Hospital Universitário Pedro Ernesto (Evento 1, ANEXO8, Página 1; Evento 1, ANEXO9, Páginas 1-9), emitidos em 12 de dezembro de 2023, pela médica , consta que o autor apresenta uma síndrome malformativa associada ao nanismo tipo **acondroplasia** (CID10: Q87.1) confirmada pelo estudo radiológico; o estudo molecular revelando presença da mutação G380R no gene FGFR3. O requerente, 1 ano e 4 meses de idade, o diagnóstico de acondroplasia foi confirmado pelo teste genético. Suas medidas antropométricas compreendem: 70 cm de estatura, PC 51 cm e 9 kg. Desenvolvimento dos caracteres sexuais secundários segundo: Tanner G1P1, testículos 2 cm bilateralmente.

2. Consta prescrito ao autor, o uso contínuo: **vosoritida 0,4mg** (Voxzogo®) – dose de 0,30 ml, aplicar subcutâneo pela manhã em rodízio.

**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 Niterói, em consonância com as legislações mencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais – REMUME-NITERÓI 2023 - Portaria FMS/FGA Nº 014/2023.
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

<sup>1</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Biblioteca Virtual em Saúde. Nanismo. Publicado: terça, 30 de junho de 2020, 08h35. Disponível em: <<http://bvsm.s.saude.gov.br/dicas-em-saude/3219-nanismo>>. Acesso em: 08 fev. 2024.

<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: 08 fev. 2024.



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. A **Vosoritida** (Voxzogo<sup>®</sup>) é um peptídeo natriurético modificado tipo C (CNP), atua como um regulador positivo do crescimento endocondral do osso, pois promove a proliferação e diferenciação dos condrócitos. Está indicado para o tratamento da acondroplasia em pacientes pediátricos a partir de 6 meses de idade cujas e epífises não estão fechadas. O diagnóstico de acondroplasia deve ser confirmado por teste genético apropriado<sup>3</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. O autor com 1 ano de idade, apresenta diagnóstico de **acondroplasia**, sendo solicitado o medicamento **vosoritida 0,4mg** (Voxzogo<sup>®</sup>), via subcutânea.

2. Neste sentido, cumpre informar que o medicamento pleiteado **vosoritida 0,4mg** (Voxzogo<sup>®</sup>) **possui indicação em bula**<sup>3</sup> para o tratamento da acondroplasia, em pacientes pediátricos a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas, caso clínico apresentado pelo autor.

3. No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, informa-se que **vosoritida 0,4mg** (Voxzogo<sup>®</sup>) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Niterói e Estado do Rio de Janeiro.

4. Destaca-se que o medicamento pleiteado **vosoritida**, até o presente momento, **não foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC<sup>4</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>5</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

<sup>3</sup>Bula do medicamento Vosoritida (Voxzogo<sup>®</sup>) por BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=VOXZOGO>>. Acesso em: 08 fev. 2024.

<sup>4</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: 08 fev. 2024.

<sup>5</sup>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](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 08 fev. 2024.



cuidado das pessoas com doenças raras<sup>6</sup>. Entretanto, ainda **não há** Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)<sup>7</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>8</sup>.

9. Dentre as **terapias farmacológicas**, o hormônio de crescimento humano 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>3,8,9</sup>.

10. O medicamento pleiteado apresenta registro ativo na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Destaca-se ainda 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>10</sup>. Ademais, por se tratar de uma necessidade médica não atendida atualmente, este produto **foi priorizado** de acordo com os critérios da Resolução - RDC N<sup>o</sup> 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>11</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>12</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<sup>o</sup> 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4<sup>o</sup> da Resolução n<sup>o</sup> 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<sup>o</sup> 6, de 2013.

<sup>6</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: 08 fev. 2024.

<sup>7</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: 08 fev. 2024.

<sup>8</sup>WROBEL W, PACH E, BEN-SKOWRONEK I. Advantages and Disadvantages of Different Treatment Methods in Achondroplasia: A Review. Int J Mol Sei. 2021;22(11):5573. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8197470/>>. Acesso em: 08 fev. 2024.

<sup>9</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: 08 fev. 2024.

<sup>10</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: 08 fev. 2024.

<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: 08 fev. 2024.

<sup>12</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: 08 fev. 2024.



**GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

13. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, a **vosoritida 0,4mg (Voxzogo®)** solução injetável com 10 seringas possui preço de fábrica R\$ 52.063,29 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 40.854,06, para o ICMS 20%<sup>13</sup>.

**É o parecer.**

**À 3ª Vara Federal de Niterói, 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