



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0880/2024

Rio de Janeiro, 03 de junho de 2024.

Processo nº 5030910-13.2024.4.02.5101,
ajuizado por

neste ato representada por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **28ª Vara Federal** da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma®) e das despesas e **aplicação do medicamento** zolgesma (enfermagem).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documentos médicos do Hospital Municipal Albert Schweitzer e em impresso próprio (Evento 1, OUT7, Páginas 1-2; Evento 1, OUT9, Páginas 1-4) emitidos em 08 de maio de 2024 e 01 de fevereiro de 2024, pelos médicos a Autora, 1 ano e 8 meses (DN: 06/09/2022), apresenta **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 1**, diagnóstico aos 4 meses com exame de DNA o qual evidenciou 2 cópias de SMN2 e nenhuma cópia de SMN1, hoje sustento cefálico débil, movimentação ativa de mãos e pés não senta sozinha, faz o uso do respirador BIPAP por traqueostomia, movimentação ativa de pernas, porém não fica em pé devido a fraqueza muscular. Consiste em doença degenerativa e progressiva, com perda do controle muscular e também da força, incapacidade/dificuldade de manter a cabeça. Incapacidade de locomoção, dificuldade de movimentação, além de hipotonia severa, causados pela doença. A doença impede o corpo de produzir uma proteína essencial para a sobrevivência dos neurônios motores, que são responsáveis por movimentos como respirar, engolir e também pela movimentação. Desta forma a paciente precisará de ajuda em tarefas basais, como respirar e deglutir, mantendo dispositivos de traqueostomia e gastrostomia para respirar e se alimentar, respectivamente. A menor encontra-se internada neste hospital desde 08/06/2023, no CTI pediátrico.

2. A autora já fez 4 (quatro) doses do medicamento nusinersena (Spinraza®), sendo a última dose em fevereiro deste ano. Paciente realizou no dia 26/10/2023 cirurgia de Bypass em diamond shape por atresia de duodeno. No momento aguardando *Home Care*, para alta hospitalar. Para fins de *Home Care* a paciente precisa, para a preservação de sua saúde, receber diariamente 05 cuidados de equipe multidisciplinar listados abaixo:

- Fisioterapia motora diária;
- Fisioterapia respiratória 5x na semana;
- Fonoaudióloga 4x na semana;
- Terapia ocupacional 3x na semana;
- Técnico de enfermagem diário;
- Visita de enfermeiro 3x semana;
- Visita médica semanal por tempo indeterminado;
- Cilindro de ar comprimido;
- Cilindro de oxigênio e concentrador de oxigênio;
- Aspirador e circuito de aspiração;



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

- Sondas de aspiração (6 sondas/dia = 42 sondas por semana);
- Fraldas geriátricas (7 fraldas/dia = 49 fraldas por semana);
- Luva de procedimento (1 caixa/dia = 7 caixas por semana);
- Gaze não estéril (1 pacote/semana);
- Algodão (1 rolo grande a cada 2 dias = 3 rolos por semana);
- Cama leito automática - colchão pneumático.

3. Hoje a autora, 16 meses de idade, necessita fazer uso do medicamento **onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma[®]) até 2 anos de idade. O quanto antes fizer o medicamento, menos sequelas apresentará. **Onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma[®]) é um medicamento que fornece o gen SMN1 (terapia gênica), enquanto o nusinersena (Spinraza[®]) deixa a proteína SMN2 um pouco mais estável (não é terapia gênica); portanto são medicamentos diferentes, seja no mecanismo de ação, seja na terapêutica proposta. Foi informado que o **onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma[®]) demonstrou um mecanismo de ação mais efetivo em relação ao nusinersena (Spinraza[®]), pois entregará o gen SMN1 (terapia genica) sendo o medicamento mais eficaz. Paciente traqueostomizada necessita de transporte UTI até o centro aplicador.

4. Consta prescrito **Onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma[®]) 2.10¹³ GV/ML aplicar 2 frascos de 5,5 ml e 4 frasco de 8,3 ml infundir em bomba em 1 hora.

5. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.0 – Atrofia muscular espinhal infantil tipo I [Werdnig-Hoffman]**.

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 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).

5. 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.

6. 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.

7. A Resolução SMS nº 3733 de 14 de junho de 2018, definiu o elenco de medicamentos, saneantes, antissépticos, vacinas e insumos padronizados para uso nas unidades da



Secretaria Municipal de Saúde do Rio de Janeiro, compreendendo os Componentes Básico, Hospitalar, Estratégico e Básico e Hospitalar, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais no âmbito do Município do Rio de Janeiro (REMUME-RIO), em consonância com as legislações supramencionadas.

8. Portaria GM/MS Nº 3.132, de 19 de fevereiro de 2024 altera o Anexo XXXVIII da Portaria de Consolidação GM/MS nº 2, de 28 de setembro de 2017, para instituir a Câmara Técnica Assessora de Doenças Raras - CTA de Doenças Raras, no âmbito do Ministério da Saúde.

9. A Portaria de Consolidação nº 3/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, contém as diretrizes para a organização da Atenção à Saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) visando superar a fragmentação da atenção e da gestão nas Regiões de Saúde e aperfeiçoar o funcionamento político-institucional do SUS com vistas a assegurar ao usuário o conjunto de ações e serviços que necessita com efetividade e eficiência.

10. A Portaria de Consolidação nº 1/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, publica a Relação Nacional de Ações e Serviços de Saúde (RENASES) no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e dá outras providências.

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 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 encefálico. A AME 5q é a causa mais frequente de morte infantil decorrente de uma condição monogênica, apresentando uma prevalência de 1-2 em 100.000 pessoas e incidências de 1 a cada 6.000 até 1 a cada 11.000 nascidos vivos, conforme verificado em estudos realizados fora do Brasil. Já as AME não-5q são um grupo em expansão e heterogêneo de doenças do neurônio motor, com aspectos clínicos e genéticos complexos, que atingem outros genes que não SMN1¹.

2. A **AME 5q tipo 1** tem início precoce e é a mais grave e também a mais comum, representando 58% dos casos. Os pacientes apresentam hipotonia, controle insuficiente da cabeça, redução de reflexos ou arreflexia antes dos 6 meses de idade, hipotonia profunda e geralmente nunca são capazes de se sentar sem auxílio. A fraqueza dos músculos intercostais é evidenciada pela observação de um padrão de respiração paradoxal do tipo abdominal, com a relativa preservação do diafragma, geralmente evoluindo para uma insuficiência respiratória antes dos 2 anos de vida. Fraqueza na deglutição e fasciculações de língua estão frequentemente presentes, e, à medida que a língua e os músculos faríngeos se enfraquecem, esses pacientes correm risco de aspiração. Apesar de todos estes sintomas, a cognição é normal¹.

DO PLEITO

1. O **Onasemnogeno Abeparvoveque** (Zolgensma[®]) é uma terapia gênica baseada em um vetor viral adeno-associado, indicada para o tratamento de pacientes pediátricos *abaixo de 2 anos de idade* com atrofia muscular espinhal (AME), com: mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) e diagnóstico clínico de AME do tipo I, ou; mutações bialélicas no

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/20230522_portariacconjuntano6atrofiamuscularespinhal5qtipos1e2.pdf>. Acesso em: 29 mai. 2024.



gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) e até 3 cópias do gene de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2)².

2. A **aplicação medicamentosa** consiste no ato de administrar medicamentos, por paciente, independente da quantidade de medicação administrada, prescritos nas consultas/atendimentos, incluindo as consultas/atendimentos realizadas no domicílio³. A **administração de medicamento por via endovenosa** consiste na administração de medicamento(s) por via endovenosa, por paciente, independente da quantidade administrada no atendimento, exceto para a administração de antibiótico(s) e reidratação endovenosa⁴.

III – CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento **onasemnogeno abeparveque** (Zolgensma[®]), assim como sua aplicação **estão indicados** em bula para tratamento do quadro clínico apresentado pela Autora – diagnóstico clínico de AME do tipo 1 em menores de 2 anos.

2. Quanto ao fornecimento pelo SUS, cabe elucidar que **onasemnogeno abeparveque** foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec), sendo deliberado, por unanimidade, **recomendar a incorporação ao SUS** do **onasemnogeno abeparveque** para o tratamento de pacientes pediátricos até **6 meses de idade** (a Autora encontra-se com 1 ano e 8 meses) com Atrofia Muscular Espinhal (AME) do tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia.

3. Acrescenta-se que, de acordo com o Decreto n° 7.646, de 21 de dezembro de 2011⁵, há um prazo de 180 dias, a partir da data da publicação, para efetivar a oferta desse medicamento no SUS. Porém, embora tal prazo já tenha findado, o **medicamento onasemnogeno abeparveque ainda não está sendo ofertado pelo SUS**, conforme consulta ao Sistema de gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS – SIGTAP, na competência de 05/2024.

4. Cabe ressaltar que, considerando que a doença da Autora constitui **doença rara**, neste contexto, 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**⁶ 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.

5. 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,

² Bula do medicamento onasemnogeno abeparveque (Zolgensma[®]) por Novartis Biociências S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Zolgensma>>. Acesso em: 29 mai. 2024.

³ SIGTAP. Sistema de Gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS. Procedimento: Administração de medicamentos na atenção especializada. Disponível em: <<http://sigtap.datasus.gov.br/tabela-unificada/app/sec/procedimento/exibir/0301100012/02/2023>>. Acesso em: 03 jun. 2024.

⁴ SIGTAP. Sistema de Gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS. Procedimento: Administração de medicamentos na atenção especializada. Disponível em: <<http://sigtap.datasus.gov.br/tabela-unificada/app/sec/procedimento/exibir/0301100195/02/2023>>. Acesso em: 03 jun. 2024.

⁵ Decreto n° 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: 29 mai. 2024.

⁶ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria n° 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 29 mai. 2024.



levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras.

6. No que se refere à existência de substitutos terapêuticos ofertados pelo SUS, cabe elucidar que o Ministério da Saúde publicou o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas das AMEs¹ 5q tipo I e II**, conforme Portaria Conjunta SAES/SECTICS/MS nº 06, de 15 de maio de 2023. Por conseguinte, a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES-RJ) disponibiliza, por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), aos pacientes que perfeçam os critérios de inclusão do referido PCDT, os medicamentos risdiplam 0,75 mg/ml e nusinersena 2,4 mg/ml.

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 2,4 mg/ml, sendo efetuada a última dispensação do referido medicamento em 26/02/2024.

8. Com base no relato médico (Evento 1, OUT7, Páginas 1-2; Evento 1, OUT9, Páginas 1-4) “... **Onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma[®]) é um medicamento que fornece o gen SMN1 (terapia genica), enquanto o nusinersena (Spinraza[®]) deixa a proteína SMN2 um pouco mais estável (não é terapia genica); portanto são medicamentos diferentes seja no mecanismo de ação, seja na terapêutica proposta. Estamos com 2 medicamentos diferentes; não que o nusinersena (Spinraza[®]) seja falho, porém nas crianças até 2 anos de idade o **onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma[®]) demonstrou um mecanismo de ação mais efetivo, pois entregará o gen SMN1 (terapia genica) sendo o medicamento mais eficaz”.

9. Isto posto, apesar do médico assistente mencionar que a autora já fez 4 (quatro) doses do medicamento nusinersena (Spinraza[®]), “não que o nusinersena (Spinraza[®]) seja falho, porém nas crianças até 2 anos de idade o **onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma[®]) demonstrou um mecanismo de ação mais efetivo”, frente ao medicamento nusinersena, (disponibilizado no SUS), entretanto, não foi mencionado contraindicação e/ou falta de efetividade dos medicamentos atualmente fornecidos pelo SUS. Dessa forma, **recomenda-se que ao médico assistente avalie o uso dos medicamentos preconizados no PCDT**.

10. Informa-se ainda que, não foram identificadas novas informações sobre quando o **onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma[®]) será fornecido, contudo, observou-se que o mesmo foi alocado no Grupo 1A do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica, sendo tal grupo de competência de aquisição e fornecimento pelo Ministério da Saúde, seguindo o PCDT que estabelece como critério a idade – até 6 meses (Autora já possui mais de 1 ano).

11. O medicamento aqui pleiteado possui registro válido na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

12. No que concerne ao valor dos medicamentos pleiteados, 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)⁷.

13. De acordo com publicação da CMED⁸, o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os

⁷BRASIL 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: 29 mai. 2024.

⁸BRASIL 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: 29 mai. 2024.



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.

14. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de preços CMED para o ICMS de 20%¹⁹:

- **Onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma[®]) 2,0X10E¹³ GV/ML SUS INJ CT 1 FA PLAS TRANS X 5,5ML + 3 FA PLAS TRANS X 8,3ML possui preço de fábrica R\$ 10.240.623,53 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 8.035.817,28.

15. Quanto à aplicação do medicamento pleiteado, informa-se que está coberto pelo SUS, conforme Tabela de Procedimentos, Medicamentos, Órteses/Próteses e Materiais Especiais do Sistema Único de Saúde - SUS (SIGTAP), na qual consta: administração de medicamentos por via endovenosa, sob o código de procedimento: 03.01.10.019-5, considerando o disposto na Relação Nacional de Ações e Serviços de Saúde (RENASES).

16. Destaca-se que, de acordo com a bula do fármaco Onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma[®]), este medicamento deve ser infundido **apenas por um profissional de saúde**, administrado por **via intravenosa** e manuseado de **forma asséptica sob condições estéreis**². Assim, considerando que a Autora é atendida pelo Hospital Municipal Albert Schweitzer (Evento 1, OUT7, Páginas 1-2; Evento 1, OUT9, Páginas 1-4), após a aquisição do fármaco, informa-se que tal unidade poderá realizar tal procedimento.

É o parecer.

À 28ª Vara Federal do Rio de Janeiro, 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

VIRGINIA GOMES DA SILVA
Enfermeira
COREN/RJ 321.417
ID. 4.455.176-2

FLÁVIO AFONSO BADARÓ
Assessor-chefe
CRF-RJ 10.277
ID. 436.475-02