



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0977/2024

Rio de Janeiro, 14 de junho de 2024.

Processo nº 5036115-23.2024.4.02.5101,
ajuizado por

neste ato representado por

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

I – RELATÓRIO

1. De acordo com o documento médico do Instituto Nacional Fernandes Figueira (Evento 1_OUT4_Páginas 2/6), emitido em 21 de maio de 2024, pelo médico o Autor apresenta uma síndrome malformativa associada ao nanismo (CID10: Q87.1) tipo **acndroplasia** (CID-10: Q77.4) confirmada por estudo radiológico e por estudo genético molecular, revelando presença da mutação *G380R* no gene *FGFR3*. O Autor tem 13 anos e 03 meses. Suas medidas antropométricas compreendem: peso de 30,7kg, 110,5cm de estatura, estatura sentada de 72cm, braço 10cm, antebraço 15cm, fêmur 25cm, envergadura 96cm e PC 61,5cm. Idade óssea 12 anos e 06 meses. Impúbere: mamas Tanner I, pelos I. Tem estatura muito baixa para a sua idade. Como suas epífises não estão fechadas, apresenta indicação para tratamento com **Vosoritida** (Voxzogo®).

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.

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 desigual¹. 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 idade².
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 medicamento¹. Estima-se que a ocorrência seja de 01 em cada 10.000 e 01 em 30.000 nascimentos, e acomete cerca de 250.000 pessoas em todo o mundo². Para a acondroplasia ainda não existe um tratamento específico que possibilite reverter o quadro, porém, a atenção a essa condição deve ser multidisciplinar e os cuidados precoces são essenciais¹.

¹ 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: 14 de jun. 2024.

² 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: 14 de jun. 2024.



DO PLEITO

1. A **Vosoritida** (Voxzogo[®]) 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 condrocitos. 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 apropriado³.

III – CONCLUSÃO

1. O Autor, 13 anos e 03 meses, tem síndrome malformativa associada ao nanismo, tipo **acondroplasia**. Apresenta, nesta ação, solicitação médica para tratamento com o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]).

2. Neste sentido, cumpre informar que o medicamento pleiteado **Vosoritida** (Voxzogo[®]) **possui indicação prevista em bula**³ 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** (Voxzogo[®]) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município e do 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 – CONITEC⁴.

5. Acrescenta-se que a acondroplasia é considerada uma doença rara, que acomete cerca de 1 a cada 25000 pessoas¹. 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 Raras⁵ 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 cuidado das pessoas com doenças raras⁶. Entretanto, ainda **não há Protocolo Clínico e Diretrizes**

³ Bula do medicamento Vosoritida (Voxzogo[®]) por BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=173330005>>. Acesso em: 14 jun. 2024.

⁴ 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: 14 jun. 2024.

⁵ 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: 14 jun. 2024.

⁶ 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>. Acesso em: 14 jun. 2024.



Terapêuticas (PCDT)⁷ publicado para o manejo da acondroplasia, e, portanto, não há lista oficial de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

7. Em consulta as bases de dados científicas, verificou-se que os métodos para o tratamento da acondroplasia podem ser agrupados em terapias cirúrgicas e farmacológicas.

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 graves⁸.

9. Dentre as terapias farmacológicas, o hormônio de crescimento humano recombinante (somatotropina 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^{3,8,9}.**

10. Ressalta-se ainda que, de acordo com a CONITEC, os resultados disponíveis, até a última atualização deste alerta, foram promissores e subsidiaram o registro da **Vosoritida** em vários países, inclusive no Brasil. Mas é importante destacar que devido à variabilidade do crescimento e ao menor pico de crescimento durante a puberdade, em crianças com acondroplasia, os efeitos a longo prazo da Vosoritida só serão conhecidos quando as crianças atingirem a altura adulta final¹⁰.

11. O medicamento **Vosoritida (Voxzogo[®])** **apresenta registro** da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

12. Destaca-se a importância da avaliação periódica do Autor a fim de avaliar a resposta, caso ocorra o tratamento com o medicamento **Vosoritida (Voxzogo[®])**.

13. 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)¹¹.

14. De acordo com publicação da CMED¹², 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**

⁷ 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: 14 jun. 2024.

⁸ WROBEL W, PACH E, BEN-SKOWRONEK I. Advantages and Disadvantages of Different Treatment Methods in Achondroplasia: A Review. Int J Mol Sci. 2021;22(11):5573. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8197470/>>. Acesso em: 14 jun. 2024.

⁹ 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: 14 jun. 2024.

¹⁰ CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Alerta – Monitoramento do Horizonte Tecnológico. Vosoritida para o tratamento de Acondroplasia Outubro/2022. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/noticias/2022/outubro/alerta-de-mht-traz-informacoes-sobre-novo-medicamento-para-tratamento-de-doenca-rara-conhecida-como-nanismo>>. Acesso em: 14 jun. 2024.

¹¹ 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/cmcd/precos>>. Acesso em: 14 jun. 2024.

¹² 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/cmcd/precos>>. Acesso em: 14 jun. 2024.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

(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.

15. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, a **Vosoritida 1,2mg** (Voxzogo[®]) solução injetável com 10 seringas possui preço de fábrica R\$ 54.406,14 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 42.692,50, para o ICMS 20%¹³.

É o parecer.

À 4ª Vara Federal do Rio de Janeiro, 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