



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1857/2024

Rio de Janeiro, 24 de outubro de 2024.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME]

O Autor, 08 anos (DN: 07/10/2016), com diagnóstico de apresenta uma síndrome malformativa associada ao nanismo do tipo acondroplasia/hipocondroplasia (grupo FGFR3) confirmada pelo estudo radiológico e pelo estudo genético molecular revelando presença de variante patogênica no gene FGFR3 (p.1620C>A; p.Asn540Lys). Sendo prescrito, em uso contínuo, o medicamento Vosoritida 0,56mg (Voxzogo®) - (Evento 1_LAUDO11, páginas 1 e 2; Evento 1_LAUDO15, páginas 1 a 6 e Evento 1_LAUDO17, página 1).

Destaca-se que o medicamento pleiteado Vosoritida (Voxzogo®) possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e está indicado em bula ao manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor - [NOME], conforme relatado em documentos médicos.

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, informa-se que Vosoritida 0,56mg (Voxzogo®) não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Duque de Caxias e do Estado do Rio de Janeiro.

O medicamento pleiteado Vosoritida (Voxzogo®) até o momento não foi submetido à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS).

Ademais, informa-se que este Núcleo não identificou Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicado para acondroplasia - quadro clínico apresentado pelo Autor e, portanto, não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

Acrescenta-se que a acondroplasia é considerada uma doença rara, estima-se que a ocorrência seja de um em cada 10.000 e um em 30.000 nascimentos, e acomete cerca de 250.000 pessoas em todo o mundo,. 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 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.

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. Entretanto, reitera-se que ainda não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)⁴ publicado para o manejo da acondroplasia.

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. 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.

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.^{1,9,10}

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 final.

Destaca-se ainda que o medicamento Vosoritida 0,56mg (Voxzogo®) foi registrado como um produto biológico novo (medicamento biológico que contém molécula com atividade biológica conhecida, ainda não registrada no Brasil). Assim, seu foi registro aprovado pela ANVISA em 29 de novembro de 2021. Ademais, por se tratar de uma necessidade médica não atendida atualmente, este produto foi priorizado de acordo com os critérios da Resolução



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

- RDC N° 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 medicamentos¹².

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).

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 n° 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4° da Resolução n° 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° 6, de 2013.

Assim, considerando a regulamentação vigente, m consulta a Tabela de Preços CMED, a Vosoritida 0,56mg (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% 14.

É o parecer.

À 1ª Vara Federal de Duque de Caxias, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.