



## **PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 2216/2024**

**Rio de Janeiro, 18 de dezembro de 2024.**

Processo nº 5104776-54.2024.4.02.5101,  
ajuizado por [NOME]

O caso em pauta apresenta a Autora, com diagnóstico de amiotrofia espinhal progressiva tipo 1 (0 de cópias de SMN1 e 2 cópias de SMN2) com quadro clínico de hipotonia global, fraqueza muscular de predomínio proximal, fasciculação de língua e polimioclonias. Adquiriu a capacidade de sustentar o pescoço parcialmente, contudo, não adquiriu a capacidade de sentar sem apoio e apresentou involução dos marcos adquiridos. No momento não está em ventilação mecânica invasiva e não faz uso de Bipap (ventilação não invasiva). Alimenta-se por gastrostomia e está internada aguardando o suporte necessário para alta. Apresenta indicação para reeber o medicamento onasemnogeno aberpavovec (Zolgensma®) (Evento 1\_LAUDO6\_Páginas 1/2).

Dito isto, informa-se que o medicamento onasemnogeno aberpavoveque (Zolgensma®), assim como sua aplicação estão indicados em bula para tratamento do quadro clínico apresentado pela Autora – AME do tipo 1 em menores de 2 anos.

Quanto ao fornecimento pelo SUS, cabe elucidar que onasemnogeno aberpavoveque foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), sendo deliberado, por unanimidade, recomendar pela incorporação ao SUS para o tratamento de pacientes pediátricos até 6 meses de idade (a Autora encontra-se com 10 meses de idade) com atrofia muscular espinhal do tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia.

Os membros do Plenário consideraram para esta recomendação que, apesar de a proposta de incorporação e a bula da terapia gênica indicarem o uso do onasemnogeno aberpavoveque em pacientes de até 2 anos de idade, a evidência clínica disponível sobre eficácia e segurança sugere sucesso do tratamento apenas para uma população de até 6 meses de idade, não submetidas ao uso de ventilação mecânica invasiva permanente2.

Acrescenta-se que, de acordo com o Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011, 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 aberpavoveque ainda não está sendo oferecido pelo SUS, conforme consulta ao Sistema de gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS – SIGTAP, na competência de 12/2024.

Cabe ressaltar que, considerando que a Autora apresenta uma 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 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.

No que se refere à existência de substitutos terapêuticos oferecidos pelo SUS, cabe elucidar que o Ministério da Saúde publicou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas das AMEs 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 perfaçam os critérios de inclusão do referido PCDT, os medicamentos risdiplam 0,75 mg/mL e nusinersena 2,4 mg/mL.

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS), verificou-se que a Autora solicitou cadastro para receber ambos os medicamentos disponibilizados no SUS – risdiplam 0,75 mg/mL e nusinersena 2,4 mg/mL, tendo sua solicitação deferida apenas para o primeiro medicamento, com status atual “aguardando autorização”.

Acrescenta-se que, o onasemnogeno aberpavoveque (Zolgensma®) foi alocado ao grupo 1A de financiamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – medicamentos com aquisição



centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal, sendo delas a responsabilidade pela programação, armazenamento, distribuição e dispensação para tratamento das doenças contempladas no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica.

O medicamento onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma®) apresenta registro válido na Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA.

Em atenção ao Despacho/Decisão Judicial (Evento 6), informa-se que não há contraindicações ao medicamento, conforme descrito em bula1.

Quanto à possibilidade de possibilidade de risco de dano irreparável ou de difícil reparação à saúde da parte autora, informa-se que a atrofia muscular espinhal tipo 1 é uma doença neurodegenerativa grave que, sem tratamento, resulta em morte ou necessidade de ventilação permanente em até 90% dos pacientes,. O tratamento com onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®) é uma terapia gênica aprovada pela Food and Drug Administration – FDA para crianças com menos de dois anos de idade com mutações bialélicas no gene SMN1. Esta terapia demonstrou alterar significativamente a história natural da doença, melhorando a função motora7.

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 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.

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, para o ICMS de 20%, tem-se10:

- onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma®) – possui preço de fábrica correspondente a R\$ 10.240.623,53 e preço máximo de venda ao governo correspondente a R\$ 8.035.817,28.

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).

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. Assim, considerando que a Autora apresentou documento médico de atendimento particular e não conveniado ao SUS (Evento 1\_LAUDO6\_Páginas 1/2), para acesso à aplicação do medicamento em questão, pelo SUS, sugere-se que a Suplicante se dirija à uma unidade básica de saúde, mais próxima de sua residência, para requerer encaminhamento, pela via administrativa, à uma unidade de saúde habilitada à aplicação do medicamento onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma®).

Encaminha-se à 33ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.