



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0437/2025

Rio de Janeiro, 27 de março de 2025.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME]

Refere-se à Autor, 07 anos (DN: 23/01/2018), com diagnóstico de atrofia muscular espinhal (AME) do tipo 3 após exame molecular de éxon 7 e 8 = deleção do gene SMN1 e 3 cópias do gene SMN2. Irmã com AME. Respiração sem suporte, em ar ambiente com sO₂ 99%, nunca houve necessidade de suporte ventilatório. Está em fisioterapia motora e psicomotricidade, não consegue pular ou correr. Foi prescrito o medicamento Risdiplam 0,75mg/mL ou 60mg/80mL – 5mg ou 6,6mL, uma vez ao dia pela manhã. Total de 03 frascos ao mês. Foi mencionado o código da Classificação Internacional de Doenças (CID-10): G12.1 – Outras atrofias musculares espinhais hereditárias (Evento 1_ANEXO11 página 1 e 2 e Evento 1_ANEXO12-15, página 1).

Desse modo, informa-se que o medicamento pleiteado Risdiplam possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e está indicado em bula para o manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor – [NOME], conforme relato médico.

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, insta mencionar que Risdiplam 0,75mg/mL atualmente é disponibilizado pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), aos pacientes que se enquadrem nos critérios de inclusão do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Atrofia Muscular Espinhal 5q Tipo I e Tipo II, e conforme o disposto na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, que estabelecem as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS. .

- Risdiplam 0,75mg/mL é disponibilizado pelo CEAF perfazendo o grupo de financiamento 1A do referido componente: medicamentos com aquisição



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal,.

Os medicamentos do CEAF somente serão autorizados e disponibilizados para as doenças descritas na Classificação Internacional de Doenças (CID-10) contempladas. Assim, a doença do Demandante, a saber, atrofia muscular espinhal (AME) do tipo 3 não está dentre as contempladas para a retirada do medicamento pela via do CEAF, impossibilitando a obtenção do Risdiplam 0,75mg/mL de forma administrativa.

Quanto ao quadro clínico do Autor, cumpre esclarecer que a atrofia muscular espinhal é uma doença neurodegenerativa, com herança genética autossômica recessiva. O Autor apresenta atrofia muscular espinhal tipo III.

Em relação ao tratamento da atrofia muscular espinhal, cumpre salientar que, em 15 de maio de 2023, o Ministério da Saúde aprovou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2. Contudo, o protocolo supracitado preconiza tratamento aos portadores de atrofia muscular espinhal 5q tipos 1 e 2. O tipo apresentado pelo Autor – atrofia muscular espinhal tipo III constitui um critério de exclusão e, portanto, não está contemplada para tratamento pelo Protocolo Ministerial⁶.

Salienta-se que, até o momento, o Ministério da Saúde ainda não publicou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas que verse sobre a atrofia muscular espinhal tipo III – quadro clínico apresentado pelo Autor e, portanto, não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

Acrescenta-se ainda que a atrofia muscular espinhal (AME) é considerada uma doença rara. 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 Brasil⁶. 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



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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. Contudo, reitera-se que não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)⁷ publicado para o manejo do tipo de atrofia muscular apresentada pelo Requerente, a saber, atrofia muscular tipo III.

Ressalta-se ainda que o medicamento Risdiplam foi analisado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) tipo II e III, a qual, recomendou pela não incorporação no SUS do Risdiplam para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo IIIa.

Os membros do Plenário da CONITEC deliberaram que a matéria fosse disponibilizada em consulta pública com recomendação preliminar não favorável à incorporação no SUS do Risdiplam para o tratamento da AME tipos II e IIIa. O Plenário considerou que apesar das evidências científicas analisadas serem de boa qualidade, há uma grande incerteza quanto a magnitude e precisão do efeito nos desfechos considerados críticos. O impacto orçamentário mostrando um alto valor ao final de cinco anos, também foi concludente para a recomendação. A matéria foi disponibilizada em consulta pública. Na recomendação final da CONITEC deliberaram por unanimidade recomendar a incorporação ao SUS do Risdiplam para tratamento de pacientes diagnosticados com Atrofia Muscular Espinhal (AME) do tipo II conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde e deliberaram por unanimidade recomendar a não incorporação ao SUS do Risdiplam para tratamento de pacientes diagnosticados com AME do tipo IIIa. Não foram apresentadas novas evidências ou argumentação que alterassem a recomendação preliminar da Comissão para AME tipo IIIa¹⁰.

Ademais, o Risdiplam foi registrado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) em 17 de março de 2021. Por ser um medicamento novo e embora as pesquisas tenham indicado eficácia e segurança aceitáveis, mesmo que



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

indicado e utilizado corretamente, podem ocorrer eventos adversos imprevisíveis ou desconhecidos¹. Nesse sentido, é importante que o Autor seja reavaliado pelo médico [NOME], a fim de comprovar a efetividade do tratamento.

Quanto ao questionamento sobre a existência de medicamentos genéricos correspondentes, informa-se que o medicamento Risdiplam 0,75mg/mL não possui genérico correspondente.

Em relação à evidência científica da eficácia no tratamento proposto, informa-se que o medicamento pleiteado possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Assim, destaca-se que o registro de medicamentos é um dos meios estabelecidos pela Política Nacional de Medicamentos pelo qual a autoridade sanitária avalia a relevância terapêutica do medicamento, analisando sua eficácia e segurança.

No que refere à qual o ente federativo responsável por sua dispensação, reitera-se que a Risdiplam 0,75mg/mL é disponibilizado pelo CEAf perfazendo o grupo de financiamento 1A do referido componente: medicamento com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecido às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal^{3,4}.

No que tange ao preço estimado, 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, o Risdiplam 0,75mg/mL (Evrysdi®) solução oral possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 43.136,03, alíquota ICMS 0%.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

É o parecer.

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