



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0647/2025.

Rio de Janeiro, 13 maio de 2025.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME]

Refere-se a Autora, 1 ano de idade (DN: 13/02/2024), apresenta diagnóstico de amiotrofia espinhal progressiva tipo 1 (0 de cópias de SMN1 e 2 cópias de SMN2). Apresenta cognitivo adequado para idade, hipotonia global, fraqueza muscular de predomínio proximal, mais acentuada em membros inferiores, fasciculação de língua e polimioclonias. Adquiriu a capacidade de sustentar o pescoço parcialmente, não adquiriu a capacidade de sentar sem apoio e apresentou involução dos marcos adquiridos. No momento paciente não se encontra em ventilação mecânica invasiva e não faz uso de Bipap (ventilação não invasiva). Se alimenta no momento por GTM e se encontra internada aguardando o suporte necessário para alta. Não obteve resposta adequada a medicação atual disponível no SUS. Devido suas características clínicas atuais temos evidência científica robusta para uso de Onasemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma®). O medicamento será administrado com uma dose única intravenosa, com necessidade de monitoramento por 2 a 3 meses. Não é um medicamento que terá que ser usado por tempo indeterminado ou pelo resto da vida. Sendo prescrito, o medicamento Onasemnogeno Abeparvoveque A 2.10^{13} GV/ML - aplicar intravenoso 4 frascos de 8,3mL e 1 frasco 5,5mL (5 frascos). Consta ainda prescrito, o medicamento Risdiplam 0,75mg/mL x 80mL – administrar 2,7mL via GTT, diariamente, á noite (Evento 1_RECEIT7, Página 2, Evento 1_LAUDO8 página 1 e 2 e Evento 11_ANEXO2, página 1).

Desse modo, informa-se que o medicamento pleiteado Onasemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma®) assim como sua aplicação estão indicados em bula para o manejo do quadro clínico apresentado pela Autora - atrofia muscular espinhal do tipo 1 em menores de 2 anos, conforme relato médico.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, insta mencionar que onasemnogeno abeparvoveque foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC).

Acrescenta-se que onasemnogeno abeparvoveque foi incorporado no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS para o tratamento de pacientes pediátricos até 6 meses de idade com Atrofia Muscular Espinhal (AME) do tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia. Contudo, o medicamento onasemnogeno abeparvoveque ainda não integra, uma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Iguaba Grande e do Estado do Rio de Janeiro.

Para o tratamento da atrofia muscular espinhal, cumpre salientar que, em 20 de março de 2025, o Ministério da Saúde atualizou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2, no qual preconizou os seguintes medicamentos: Nusinersena: solução injetável de 2,4mg/mL; Onasemnogeno abeparvoveque: $2,0 \times 10^{13}$ gv/mLb e Risdiplam: pó para solução oral de 0,75mg/mL.

Contudo, de acordo com o protocolo supracitado, para o tratamento com onasemnogeno abeparvoveque, dentre outros, devem ser observados os seguintes critérios de exclusão: idade superior a 6 meses na data da apresentação do pedido do medicamento à unidade de saúde responsável no SUS, uma vez que não foram estabelecidos estudos de segurança e eficácia para essa população e idade superior a 7 meses na data de infusão do medicamento. Portanto, a idade apresentada pela Requerente: 1 ano e 03 meses (DN: 13/02/2024) constitui um critério de exclusão e, portanto, não está contemplada para tratamento pelo Protocolo Ministerial³.

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 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



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 Brasil³. 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. Tal PCDT foi descrito acima no presente parecer.

Ademais, o Onasemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma®) foi registrado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) em 17 de agosto de 2020 e está autorizado ao uso, sob condições de monitoramento e produção de dados e provas adicionais comprobatórias de eficácia clínica. Por ser um medicamento novo e embora as pesquisas tenham indicado eficácia e segurança aceitáveis, mesmo que indicado e utilizado corretamente, podem ocorrer eventos adversos imprevisíveis ou desconhecidos¹. Nesse sentido, é importante que a Autora seja reavaliado pelo médico [NOME], a fim de comprovar a efetividade do tratamento.

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 Onasemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma®) é uma terapia gênica aprovada pela Food and Drug



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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, m consulta a Tabela de Preços CMED, o Onasemnogeno Abeparvoveque 2,0x10E13 GV/ML (Zolgensma®) suspensão injetável com 1 frasco ampola x 5,5mL + 5 frascos ampola possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 6.547.610,19, alíquota ICMS 0%.

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.

A título de informação, em consulta ao nosso banco de dados, este Núcleo recebeu o [REMOVIDO], com trâmite também na 33ª Vara Federal do Rio de Janeiro da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, ajuizado pela mesma Autora – Dominic Barbosa Preste



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Souto – com o mesmo pleito Onasemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma®). Para o referido processo foi emitido o PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 2216/2024, elaborado em 18 de dezembro de 2024 e o PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0232/2025, elaborado em 13 de fevereiro de 2025, tais pareceres estão acostados ao presente processo (Evento 12_PARECER1, Página 1 a 4 e Evento 1_PARECER9, Página 1), respectivamente.

É o parecer.

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