

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0891/2025

Rio de Janeiro, 25 de junho de 2025.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME].

Refere-se à Autora, 25 anos, com diagnóstico de atrofia muscular espinhal (AME) do tipo 2. Apresenta relato de ser filha de pais não consanguíneos com início dos sintomas aos 12 meses de idade quando apresentou hipotonia de marcha e queda de cabeça. Procurou atendimento médico para investigação na rede Sarah quando foi diagnosticada com AME tipo II (Teste Genético para atrofia muscular espinhal, em 26/08/2002, onde foi detectada deleção dos éxons 7 e/ou 8 no gene SMN, responsável pela AME) e iniciado tratamento com fisioterapia. Realizou cirurgia para escoliose aos 12 anos sem intercorrências. A AME é uma doença geneticamente determinada, com padrão de herança autossômica recessiva (AR), com degeneração progressiva dos neurônios motores alfa e consequentes fraqueza, atrofia muscular proximal e bulbar. Há relatos que prejuízos consecutivos à musculatura de suporte ventilatório podem levar a insuficiência respiratória e redução na expectativa de vida dos pacientes. Ventila bem em ar ambiente, com um episódio de intubação orotraqueal prévia com duração maior que 24h por dificuldade durante cirurgia para correção de escoliose em 2012. Assim, foi prescrito o medicamento Risdiplam 0,75mg/mL – 5mg, uma vez ao dia, por tempo indeterminado. (Evento 1, ANEXO7, Páginas 1-2).

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 pela Autora – atrofia muscular espinhal, conforme relato médico.

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, insta mencionar que Risdiplam 0,75mg/mL 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.

O Risdiplam 0,75mg/mL é disponibilizado pelo CEAF perfazendo o grupo de financiamento 1A do referido componente: medicamentos com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal.

Em relação ao tratamento da atrofia muscular espinhal, cumpre salientar que, conforme Portaria Conjunta SAES/SECTICS Nº 3, de 20 de março de 2025, o Ministério da Saúde atualizou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2.

Serão incluídos os indivíduos de ambos os sexos, com diagnóstico genético confirmado de AME 5q tipo 1 ou 2, com até três cópias de SMN2, além de cumprir os critérios a seguir, de acordo com a sua situação clínica: Para pacientes com AME 5q do tipo 2: *Pré-sintomáticos: diagnóstico genético confirmado de AME 5q e presença de até três cópias de SMN226; *Sintomáticos: início dos sintomas entre 6 e 18 meses de vida, confirmado por diagnóstico genético e presença de até três cópias de SMN226; e até 12 anos de idade no início do tratamento; ou mais de 12 anos de idade no início do tratamento e preservada a capacidade de se sentar sem apoio e a função dos membros superiores⁵.

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que a Autora não está cadastrada no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) para o recebimento do medicamento pleiteado.

Para ter acesso ao medicamento Risdiplam 0,75mg/mL, a Autora perfazendo os critérios estabelecidos no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2, deverá solicitar seu cadastro no CEAF, comparecendo à Policlínica Regional Carlos Antônio da Silva, localizada na Avenida Jansen de Mello, s/nº –São

Lourenço – Niterói, tel. (21) 2622-9331, portando as seguintes documentações: Documentos Pessoais – Original e Cópia de Documento de Identidade ou da Certidão de Nascimento, Cópia do Cartão Nacional de Saúde/ SUS, Cópia do comprovante de residência. Documentos médicos – Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos (LME), em 1 via, receita Médica em 2 vias (validade de 30 dias para medicamentos sob regime especial de controle – PT 344/1998/ANVISA), com a prescrição do medicamento feita pelo nome genérico do princípio ativo. O Laudo de Solicitação deverá conter a descrição do quadro clínico da paciente, menção expressa do diagnóstico, tendo como referência os critérios de inclusão previstos nos PCDT do Ministério da Saúde, nível de gravidade, relato de tratamentos anteriores (medicamentos e período de tratamento) e exames laboratoriais e de imagem previstos nos critérios de inclusão do PCDT.

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 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.

Em relação à evidência científica da eficácia no tratamento proposto, em revisão sistemática e meta-análise foi demonstrado que, em pacientes com AME tipo 2/3,

Risdiplam proporcionou aumentos médios de 2,09 pontos no MFM32, 1,73 pontos no Revised Upper Limb Module (RULM) e 1,00 ponto no HFMSE após 12 meses de tratamento. A eficácia sobre a função respiratória foi variável, mas o perfil de segurança foi considerado favorável, com eventos adversos leves em cerca de 16% dos pacientes. Outra meta-análise comparou Risdiplam a outras terapias gênicas, mostrando que Risdiplam apresenta taxas elevadas de melhora funcional e sobrevida em AME tipo 2. Ademais, como já foi informado, o medicamento pleiteado possui registro na ANVISA, desta maneira, cumpre destacar 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 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\$ 45.318,72, alíquota ICMS 0%.

É o parecer.

À 6ª Vara Federal de Niterói, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

Secretaria de
Saúde



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde