



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1022/2025

Rio de Janeiro, 22 de julho de 2025.

Processo nº 5070868.69.2025.4.02.5101,
ajuizado por **E. S. D. C.**

Trata-se de Autor, 1 ano e 8 meses (DN: 24/10/2023), apresenta uma síndrome malformativa associada ao nanismo do tipo **acondroplasia/hipocondroplasia** confirmada pelo estudo radiológico e pelo estudo genético molecular revelando presença de mutação o G380R no gene FGFR3. Sendo prescrito, em uso contínuo, o medicamento **Vosoritida 0,4mg** (Voxzogo®) - (Evento 1_ATESTMED7, páginas 1 a 4; Evento 1_RECEIT8, 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**¹ ao manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor – **acondroplasia**, conforme relatado em documento médico.

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado, no âmbito do SUS, informa-se que **Vosoritida 0,4mg** (Voxzogo®) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município 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)².

Ademais, informa-se que este Núcleo não identificou Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT³) publicado⁴ 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^{5,6}. Assim, cumpre salientar que o Ministério da Saúde instituiu a **Política**

¹Bula do medicamento Vosoritida (Voxzogo®) por BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=VOXZOGO>>. Acesso em: 22 jul. 2025.

²BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 22 jul. 2025.

³Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 22 jul. 2025.

⁴BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Protocolos e Diretrizes do Ministério da Saúde. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/pcdt-em-elaboracao-1>>. Acesso em: 22 jul. 2025.

⁵BRASIL. Ministério da Saúde. Biblioteca Virtual em Saúde. Nanismo. Publicado: terça, 30 de junho de 2020, 08h35. Disponível em: <<http://bvsmis.saude.gov.br/dicas-em-saude/3219-nanismo>>. Acesso em: 22 jul. 2025.

⁶BRASIL. Ministério da Mulher, da Família e dos Direitos Humanos. Secretaria Nacional dos Direitos da Criança e do Adolescente. Secretaria Nacional dos Direitos da Pessoa com Deficiência. Diagnóstico no SUS e primeiros cuidados numa perspectiva multiprofissional. Disponível em: <<https://www.gov.br/mdh/pt-br/navegue-por-temas/crianca-e-adolescente/acoes-e-programas/DIAGNOSTICONOSUSEPRIMEIROSCUIDADOSNUMAPERSPECTIVAMULTIPROFISSIONAL.pdf>>. Acesso em: 22 jul. 2025.



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 Raras⁷ 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 raras⁸. 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 farmacológicas⁹. 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 graves¹⁰.

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 final¹¹.

Destaca-se ainda que o medicamento **Vosoritida (Voxzogo®)** **foi registrado** como um produto biológico novo (medicamento biológico que contém molécula com atividade biológica conhecida, ainda não registrada no Brasil). Assim, seu registro foi aprovado pela ANVISA em 29 de novembro de 2021¹². Ademais, por se tratar de uma necessidade médica não atendida atualmente, este produto foi priorizado de acordo com os critérios da Resolução - RDC N° 204, de

⁷BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<http://bvsmis.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 22 jul. 2025.

⁸CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação – Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Março/2015. Disponível em:

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 22 jul. 2025.

⁹WROBEL W, PACH E, BEN-SKOWRONEK I. Advantages and Disadvantages of Different Treatment Methods in Achondroplasia: A Review. Int J Mol Sci. 2021;22(11):5573. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8197470/>>. Acesso em: 22 jul. 2025.

¹⁰PAULI R.M. Achondroplasia: a comprehensive clinical review. Orphanet J Rare Dis 14, 1 (2019). Disponível em:

<<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6318916/>>. Acesso em: 22 jul. 2025.

¹¹CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Alerta – Monitoramento do Horizonte Tecnológico.

Vosoritida para o tratamento de Acondroplasia Outubro/2022. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/noticias/2022/outubro/alerta-de-mht-traz-informacoes-sobre-novo-medicamento-para-tratamento-de-doenca-rara-conhecida-como-nanismo>>. Acesso em: 22 jul. 2025.

¹²Informações sobre o medicamento Vosoritida (Voxzogo®) por BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em:

<<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/voxzogo-vosoritida-novo-registro>>. Acesso em: 22 jul. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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.

Considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)¹³, o medicamento mencionado apresenta o seguinte Preço de Venda ao Governo, com alíquota ICMS 0%¹⁴:

- **Vosoritida 0,4mg** (Voxzogo[®]) solução injetável com 10 seringas - R\$ 34.785,99.

É o parecer.

À 4ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

Assessor-chefe

CRF-RJ 10.277

ID. 436.475-02

¹³BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>>.

¹⁴BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Consulta de Preço Máximo ao Governo. Disponível em: <<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrIjoieYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjVlZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>.