



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1071/2025

Rio de Janeiro, 29 de julho de 2025.

Processo nº 5007522-44.2025.4.02.5102,
ajuizado por **G. P. G.**

Trata-se de Autora, 2 anos e 7 meses (Evento 1_CPF2_Página 1), com síndrome malformativa associada ao **nanismo** (CID10: Q87.1) tipo **acondroplasia** (CID10: Q77.4) confirmada pelo estudo radiológico e pelo estudo genético molecular revelando presença da mutação Gly380Arg no gene FGFR3. Apresenta solicitação médica, para uso contínuo, do medicamento **Vosoritida 0,4mg** (Voxzogo®). Foi participado pelo médico assistente que o uso do hormônio de crescimento (GH) não está indicado para tratamento de **acondroplasia** (Evento 1_LAUDO9_Página 1; Evento 1_OUT10_Página 1/5).

Dito isto, informa-se que o medicamento pleiteado **Vosoritida** (Voxzogo®) **detém registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e **está indicado em bula**¹ para manejo do quadro clínico apresentado pela Autora – **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 âmbito do Município de Niterói 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 (PCDT)³ publicado ou em elaboração⁴ para o manejo da **acondroplasia** – quadro clínico apresentado pela Demandante 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

¹ Bula do medicamento Vosoritida (Voxzogo®) por BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=173330005>>. Acesso em: 29 jul. 2025.

² BRASIL. 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: 29 jul. 2025.

³ Comissão 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: 29 jul. 2025.

⁴ BRASIL. 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: 29 jul. 2025.



pessoas em todo o mundo^{5,6}. 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 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)³ 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^{9,10}.

Ressalta-se ainda que, de acordo com a CONITEC, os resultados disponíveis, até a última atualização, 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.

⁵ BRASIL. 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: 29 jul. 2025.

⁶ BRASIL. 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: 29 jul. 2025.

⁷ BRASIL, 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: 29 jul. 2025.

⁸ CONITEC. 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: 29 jul. 2025.

⁹ WROBEL 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: 29 jul. 2025.

¹⁰ PAULI, 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: 29 jul. 2025.

¹¹ CONITEC. 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: 29 jul. 2025.

GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 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.

O medicamento **Vosoritida** encontra-se registrado junto à *Food and Drug Administration* (FDA), dos Estados Unidos, à *European Medicines Agency* (EMA), da União Europeia, bem como em outras agências regulatórias internacionais.

No que tange às evidências científicas, o principal ensaio clínico, de fase 3, multicêntrico, randomizado, duplo-cego e controlado por placebo, avaliou crianças com acondroplasia entre 5 e 18 anos, utilizando **Vosoritida** 15 µg/kg/dia por via subcutânea durante 52 semanas. O desfecho primário foi o aumento da velocidade de crescimento anualizada. O estudo demonstrou um aumento estatisticamente significativo da velocidade de crescimento anualizada no grupo **Vosoritida** em comparação ao placebo, com diferença média ajustada de 1,57cm/ano. O perfil de segurança foi considerado aceitável, com eventos adversos predominantemente leves e transitórios, principalmente reações no local da injeção. Não houve eventos adversos graves relacionados ao tratamento nem óbitos¹³.

A evidência de ensaios clínicos randomizados e revisões sistemáticas demonstra que a **Vosoritida** aumenta de forma significativa e sustentada a velocidade de crescimento em crianças com **acondroplasia**, com perfil de segurança favorável no curto e médio prazo. O impacto em desfechos clínicos de longo prazo e altura final permanece sob investigação.

Quanto à **imprescindibilidade**, de acordo com o médico assistente, as consequências da ausência do tratamento proposto, serão a manutenção da história natural dos acondroplásicos não medicados com uma longa lista de complicações ao longo da vida, compreendendo: dor crônica; distúrbio do sono com alto índice de apnéia-hipopnéia; compressão medular lombo-sacra por conta da estenose do canal medular e horizontalização sacral; otites médias frequentes com perda auditiva permanente; obesidade; longevidade menor que a população geral sem acondroplasia; maior ocorrência de doenças cardiovasculares comparada à população geral sem acondroplasia; acessibilidade muito prejudicada em suas habilidades pessoal e habilidades social por conta da grande desproporção dos membros.

Considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)¹⁴, o medicamento mencionado apresenta o seguinte Preço de Venda ao Governo, com alíquota ICMS 0%¹⁵:

¹² Informações 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: 29 jul. 2025.

¹³ Savarirayan R, Tofts L, Irving M, Wilcox W, Bacino CA, Hoover-Fong J, Ullot Font R, Harmatz P, Rutsch F, Bober MB, Polgreen LE, Ginebreda I, Mohnike K, Charrow J, Hoernschemeyer D, Ozono K, Alanay Y, Arundel P, Kagami S, Yasui N, White KK, Saal HM, Leiva-Gea A, Luna-González F, Mochizuki H, Basel D, Porco DM, Jayaram K, Fischeleva E, Huntsman-Labed A, Day J. Once-daily, subcutaneous vosoritide therapy in children with achondroplasia: a randomised, double-blind, phase 3, placebo-controlled, multicentre trial. *Lancet*. 2020 Sep 5;396(10252):684-692. Disponível em: <<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/32891212/>>. Acesso em: 29 jul. 2025.

¹⁴ BRASIL 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>>. Acesso em: 29 jul. 2025.

¹⁵ BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Consulta de Preço Máximo ao Governo. Disponível



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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

É o parecer.

À 7ª Vara Federal de Niterói, 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