



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1110/2025

Rio de Janeiro, 06 de agosto de 2025.

Processo nº 5076113-61.2025.4.02.5101,
ajuizado por **K. M. R.**

Trata-se de Autora, 46 anos, com diagnóstico clínico e molecular de **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 3**, com progressão da doença. No momento, a Demandante, dependente de cadeira de rodas, apresenta pouca mobilização dos membros superiores e inferiores, além de lordose e escoliose. Foi prescrito à Autora, tratamento com o medicamento **Risdiplam 0,75mg/mL**. Foi mencionado o código da Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.1 – outras atrofas musculares espinhais hereditárias** (Evento 1_ANEXO3_Página 26/31).

À vista disso, informa-se que o medicamento pleiteado **Risdiplam possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e **está indicado em bula¹** 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** pertence ao **grupo 1A de financiamento** do Componente da Assistência Farmacêutica².

Atualmente é disponibilizado pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF)³, aos pacientes que se enquadrem nos critérios de inclusão do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da **atrofia muscular espinhal 5q tipo 1 e tipo 2**, 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.

Os medicamentos do CEAF **somente serão autorizados** e disponibilizados para as doenças descritas na Classificação Internacional de Doenças (CID-10) **contempladas**. Assim, a doença da 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**.

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 2⁴. Contudo, o **tipo apresentado pela Autora – atrofia muscular espinhal tipo 3 constitui um critério de exclusão e, portanto, não está contemplada para tratamento pelo Protocolo Ministerial⁶**.

¹ Bula do medicamento Risdiplam (Evrysdi®) por Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=101000670>>. Acesso em: 06 ago. 2025.

² **Grupo 1A:** medicamentos com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde, os quais são fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal, sendo delas a responsabilidade pela programação, armazenamento, distribuição e dispensação para tratamento das doenças contempladas no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica.

³ GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO. Relação de Medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF disponibilizados pela SES/RJ. Disponível em: <<https://www.saude.rj.gov.br/comum/code/MostrarArquivo.php?C=Njc5NzU%2C>>. Acesso em: 06 ago. 2025.

⁴ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria Conjunta Nº 6, de 15 de maio de 2023. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2. Disponível: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20230522_portariaconjuntano6atrofiamuscularespinhal5qtipos1e2.pdf>. Acesso em: 06 ago. 2025.



Salienta-se que, até o momento, o Ministério da Saúde **ainda não publicou** o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas⁵ que verse sobre a **atrofia muscular espinhal tipo 3** 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 Raras⁶ 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 raras⁷. 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 3**.

Ressalta-se ainda que o medicamento **Risdiplam** foi analisado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC⁸ para o tratamento de **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 2 e 3**, a qual, recomendou pela **não incorporação** no SUS do **Risdiplam** para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) **tipo 3a**.

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 2 e 3a**. 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 3a**. Não foram

⁵ 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: 06 ago. 2025.

⁶ BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 06 ago. 2025.

⁷ 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: 06 ago. 2025

⁸ BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde. Relatório de Recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC Nº 710, fevereiro/2022 – Risdiplam para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) tipo II e III. Disponível em:

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2022/20220314_relatorio_710_risdiplam_ametipoiieiii.pdf>. Acesso em: 06 ago. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 indicado e utilizado corretamente, podem ocorrer eventos adversos imprevisíveis ou desconhecidos¹. Nesse sentido, é importante que a Autora seja reavaliado pelo médico assistente periodicamente, a fim de comprovar a efetividade do tratamento.

No que concerne à imprescindibilidade do medicamento requerido para o tratamento da enfermidade que acomete a parte autora, o médico assistente participa que todas as opções terapêuticas viáveis já foram esgotadas.

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o **Risdiplam 0,75mg/mL** (Evrysdi®) possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 45.318,72, alíquota ICMS 0%⁹.

É o parecer.

**À 34ª 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.

⁹ BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Consulta de Preço Máximo ao Governo. Disponível em:
<<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrIjoieYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjVIZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 06 ago. 2025.