



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1140/2025

Rio de Janeiro, 15 de agosto de 2025.

Processo nº 5079427-15.2025.4.02.5101,
ajuizado por **M. A. F.**

De acordo com os documentos médicos apensados aos autos, o Autor, 33 anos, tem diagnóstico de **ataxia de Friedreich** (CID-10: G11.1), confirmado por teste genético, com identificação de expansão anormal do trinucleotídeo GAA no gene FXN, em homozigose, compatível com a condição. Foi participado que o Demandante está em acompanhamento neurológico e apresenta progressiva perda da capacidade de marcha e da funcionalidade para as atividades de vida diária desde os 9 anos. Atualmente, necessita de cadeira de rodas como auxílio-locomção, além de comprometimento importante na fala e na coordenação motora fina. Associa-se escoliose, disfagia, perda auditiva, cardiomiopatia dilatada ao quadro sistêmico compatível com o diagnóstico. Há prejuízos substanciais à qualidade de vida, à autonomia e à funcionalidade global, mesmo com terapias sintomáticas. Realiza acompanhamento com equipe multiprofissional e tratamento sintomático desde o início dos sintomas, com uso de vitaminas, antioxidantes e fisioterapia, porém sem melhora significativa da progressão da doença. Em face do exposto, a médica assistente indica tratamento com **Omaveloxolona 150mg/dia** por via oral, para uso contínuo (Evento 1_LAUDO7_Página 1/3).

Desse modo, informa-se que o medicamento pleiteado **Omaveloxolona está indicado em bula**¹ para o manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor – tratamento da ataxia de Friedreich (AF), conforme relato médico.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que a **Omaveloxolona 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. Logo, não cabe seu fornecimento a nenhuma das esferas de gestão do SUS.

O medicamento **Omaveloxolona** (Skyclarys™) possui registro sanitário vigente junto à Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), concedido em 11 de abril de 2025.

A **Omaveloxolona** (Skyclarys™) ainda **não foi submetida** à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS)².

Salienta-se que, até o momento, o Ministério da Saúde **ainda não publicou** o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas³ que verse sobre a **ataxia de Friedreich** e, portanto,

¹ Bula do medicamento Omaveloxolona (Skyclarys™) por Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=169930009>>. Acesso em: 15 ago. 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: 15 ago. 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: 15 ago. 2025.

GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

Acrescenta-se que a **ataxia de Friedreich** é uma **doença genética rara**, progressiva e multissistêmica, com manifestações neurológicas e sistêmicas, destacando-se a ataxia, cardiomiopatia, diabetes e deformidades ortopédicas, cuja gravidade e evolução dependem do perfil genético do paciente⁴. 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**⁵ 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 raras⁶. Entretanto, reitera-se que ainda **não há** Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)³ publicado para o manejo da **ataxia de Friedreich**.

O tratamento recomendado para a **ataxia de Friedreich**, segundo as diretrizes clínicas atuais, baseia-se em duas frentes principais: terapia farmacológica específica e cuidados de suporte multidisciplinares. A **Omaveloxolona** é atualmente o único medicamento aprovado **especificamente** para a **ataxia de Friedreich**, aprovado pelo *Food and Drug Administration – FDA* e pela *European Medicines Agency – EMA* para indivíduos a partir de 16 anos. Estudos demonstram que a **Omaveloxolona** pode retardar a progressão da doença, embora seu efeito seja considerado modesto e não curativo. Não há outras terapias farmacológicas aprovadas com eficácia comprovada para modificar o curso da doença^{7,8}.

No que concerne ao valor do produto 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)**⁹.

⁴ Reetz K, Lischewski SA, Dogan I, Didszun C, Pishnamaz M, Konrad K, Marx-Schütt K, Farmer J, Lynch DR, Corben LA, Pandolfo M, Schulz JB; FACROSS study group. Friedreich's ataxia-a rare multisystem disease. *Lancet Neurol*. 2025 Jul;24(7):614-624. Disponível em: <<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40541211/>>. Acesso em: 15 ago. 2025.

⁵ 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: 15 ago. 2025.

⁶ 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: 15 ago. 2025.

⁷ Bidichandani SI, Delatycki MB, Napierala M, et al. Ataxia de Friedreich. 18 de dezembro de 1998 [Atualizado em 26 de junho de 2025]. In: Adam MP, Feldman J, Mirzaa GM, et al., editores. *GeneReviews®* [Internet]. Seattle (WA): Universidade de Washington, Seattle; 1993-2025. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK1281/>>. Acesso em: 15 ago. 2025.

⁸ Gunther K, Lynch DR. Pharmacotherapeutic strategies for Friedreich Ataxia: a review of the available data. *Expert Opin Pharmacother*. 2024 Apr;25(5):529-539. Disponível em: <<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/38622054/>>. Acesso em: 15 ago. 2025.

⁹ 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: 15 ago. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o **Omaveloxolona 50mg** (Skyclarys™), embalagem com 90 cápsulas, possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 116.972,89, alíquota ICMS 0%¹⁰.

É o parecer.

À 35ª 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

¹⁰ 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=eyJrIjoiYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjVlZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 15 ago. 2025.