



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1265/2025

Rio de Janeiro, 10 de setembro de 2025.

Processo nº 5002183-95.2025.4.02.5105,
ajuizado por **S. P. S.**

De acordo com os documentos médicos apensados aos autos, o Autor está em acompanhamento regular, com quadro de fraqueza muscular em membros inferiores, de caráter progressivo, além de câibras. O teste genético evidenciou deleção em homozigose no gene SMN1 e 3 e 4 cópias no gene SMN 2, fechando o diagnóstico de **atrofia muscular espinhal tipo 3**. Necessita efetuar tratamento com **Nusinersena** por via intratecal, na posologia de 12mg nos dias 0, 14, 28 e 63 e; após, 12mg a cada 4 meses, para impedir a progressão da doença. A progressão da fraqueza pode limitar de forma considerável a mobilidade do Autor, deixando-o restrito à cadeira de rodas. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12** – atrofia muscular espinal e síndromes correlatas (Evento 1_ANEXO3_Página 7 e Evento 1_ANEXO7_Página 5/6).

Diante do exposto, informa-se que o pleito **Nusinersena** (Spinraza®), **apresenta indicação** prevista em bula¹ para tratamento da **atrofia muscular espinhal 5q (AME)**, doença que acomete o Autor.

No que tange à disponibilização através do SUS, o **Nusinersena** (Spinraza®) é **ofertado** pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), para o tratamento da **atrofia muscular espinhal (AME) 5q, apenas dos tipos 1 e 2**, conforme disposto na Portaria Conjunta nº 03, de 18 de janeiro de 2022, que aprova a sua incorporação² e conforme os critérios previstos no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2³. Contudo, o Autor possui AME do **tipo 3**.

- **Nusinersena** perfaz o grupo de financiamento 1A do referido componente: *medicamento com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal.*

¹ ANVISA. Bula do medicamento Nusinersena (Spinraza®) por Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=169930008>>. Acesso em: 10 set. 2025.

² BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Portaria Conjunta nº03, de 18 de janeiro de 2022. Disponível em: <https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/saes/2022/poc0003_31_01_2022.html>. Acesso em: 10 set. 2025.

³ BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta Nº 03, de 20 de março de 2025. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20230522_portariaconjuntano6atrofiamuscularespinhal5qtipos1e2.pdf>. Acesso em: 10 set. 2025



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Por conta disso, a dispensação do medicamento **Nusinersena** (Spinraza[®]), não está contemplada para o tipo de AME apresentada pelo Autor (tipo 3), conforme as políticas públicas supracitadas.

Salienta-se que este Núcleo **não identificou PCDT**, publicado⁴ ou em elaboração⁵ para atrofia muscular espinhal (AME) **tipo 3**. Portanto, ainda não há listas de tratamentos a serem recomendados nestas circunstâncias.

Cabe acrescentar que a AME 5q é uma doença rara, caracterizada pela degeneração dos neurônios motores, e para AME 5q no **tipo 3**, o início do aparecimento dos sintomas ocorre entre 18 meses e a idade adulta, ou seja, de forma tardia. Geralmente, os portadores do tipo 3 conseguem ficar em pé ou andar sem apoio, embora muitos percam essas habilidades posteriormente, com a progressão da doença. Possuem a mesma expectativa de vida da população geral, mas com considerável fraqueza neuromuscular e heterogeneidade de sintomas e manifestações clínicas. **Atualmente, não há tratamento medicamentoso incorporado ao SUS específico para o tratamento da AME 5q tipo 3**⁶.

Quanto à avaliação pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC), em **relatório preliminar** mais recente, considerou-se que dado o elevado custo do medicamento e seu uso por toda vida, as evidências de ganhos em escalas de função motora não foram valoradas como suficientes, sendo imprescindíveis estudos com dados mais robustos, demonstrando benefícios mais claros e segurança em longo prazo. Assim, o Colegiado, deliberou, por recomendar a **não incorporação** do Nusinersena para o tratamento de **AME 5q tipo 3** (início tardio).

Cabe ressaltar, que para o tipo 3 da AME, consta publicada a **Portaria GM nº 1.297, de 11 de junho de 2019**, que institui **projeto piloto** de acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde, para oferecer acesso ao medicamento **Nusinersena** (Spinraza[®]) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III no âmbito do SUS. Tal portaria institui que o Ministério da Saúde ofertará o medicamento na modalidade compartilhamento de risco. Neste formato, o governo paga pelo medicamento somente se houver melhora da saúde do paciente. Os pacientes com os tipos II e III da AME ou seus responsáveis devem entrar em contato com a Ouvidoria do SUS pelo telefone 136, e informar:

- Dados pessoais, cidade em que mora, se o paciente já possui laudo da doença, além da prescrição médica para uso do medicamento Nusinersena.
- O MS irá mapear quem são e onde estão esses pacientes para organizar os serviços de saúde para atender a demanda.
- Profissionais do MS ligarão para cada um dos pacientes cadastrados para indicar o Serviço de Referência que devem ir.

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/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 10 set. 2025.

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/pcdt-em-elaboracao-1>>. Acesso em: 10 set. 2025.

⁶ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Relatório de Recomendação nº 595/2021 - Nusinersena para tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipo II e III (início tardio). Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210602_relatorio_595_nusinersena_ame5q_2e3_p_26.pdf> Acesso em: 10 set. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

- Esses pacientes serão acompanhados por profissionais por três anos para medir resultados e evolução a partir do uso do Nusinersena⁷.

Insta ainda dizer que, considerando que a doença do Autor constitui **doença rara**, neste contexto, 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 tal política⁸ 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.

Ademais, 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 raras¹⁰.

O tratamento da **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 3**, também conhecida como forma tardia, não é considerado imprescindível em todos os casos, mas é fortemente recomendado devido ao seu impacto na progressão da doença e na qualidade de vida dos pacientes. AME tipo 3 é caracterizada por início mais tardio dos sintomas, preservação da deambulação por mais tempo e expectativa de vida próxima ao normal, porém com risco significativo de perda funcional progressiva, contraturas, escoliose e complicações secundárias⁹.

O medicamento **Nusinersena 2,4mg/mL (Spinraza®)** **possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

Ressalte-se que, no âmbito do SUS, não existe política de dispensação de medicamentos específica para o quadro clínico apresentado pelo Autor – AME tipo 3, inexistindo, portanto, alternativa terapêutica padronizada que possa ser considerada de menor ônus e eficácia equivalente, razão pela qual a via administrativa não se apresenta como opção viável ao caso em análise.

No que concerne ao valor do medicamento 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)¹⁰.

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, o **Nusinersena 2,4mg/mL (Spinraza®)**, frasco com 5mL, possui preço máximo de venda ao governo R\$ 344.611,06, para a alíquota ICMS 0%¹¹.

⁷ BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria GM nº 1.297, de 11 de junho de 2019. Disponível em: <<https://www.in.gov.br/web/dou/-/portaria-n-1.297-de-11-de-junho-de-2019-163114948>>. Acesso em: 10 set. 2025.

⁸ 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: 10 set. 2025.

⁹ Baranello G, Gorni K, Daigl M, Kotzeva A, Evans R, Hawkins N, Scott DA, Mahajan A, Muntoni F, Servais L. Prognostic Factors and Treatment-Effect Modifiers in Spinal Muscular Atrophy. Clin Pharmacol Ther. 2021 Dec;110(6):1435-1454. Disponível: <<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33792051/>>. Acesso em: 10 set. 2025.

¹⁰ 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/cmcd/precos>>. Acesso em: 10 set. 2025.

¹¹ 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=eyJrIjoiYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMj>>



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

- *De acordo com a posologia prescrita, o Autor deverá efetuar o uso de 01 frasco nos dias 0, 14, 28 e 63 e; após, a cada 4 meses.*

É o parecer.

À 1ª Vara Federal de Nova Friburgo, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.