



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1367/2025

Rio de Janeiro, 30 de setembro de 2025.

Processo nº 5097646.76.2025.4.02.5101,
ajuizado por **L. S. D. S. J**

Trata-se de Autor, 11 anos (DN: 04/12/2024), com diagnóstico de **distrofia muscular de Duchenne**, confirmada por biópsia muscular e teste genético revisto em 2023 compatível com duplicação do éxon 2 de DMD. Apresenta pequena perda de força, mantém a marcha. Clinicamente com função cardíaca e respiratória normais (faz cardioproteção), mas já apresentando perda de massa óssea. Sendo prescrito, o medicamento **Vamorolona 40mg/mL** (Agamree®) - tomar 6mL 1 vez ao dia, 2 frascos mensais. Há necessidade de 12 frascos semestrais. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G71.0 – Distrofia muscular** (Evento 1_LAUDO9, Página 1 a 5; Evento 1_LAUDO10, Página 1 e 2; Evento 1_LAUDO11, Página 1).

Destaca-se que o medicamento pleiteado **Vamorolona** (Agamree®), atualmente **não possui** registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), conforme análise no seu banco de dados referente a registro de produtos¹, logo configura **produto importado**. O mesmo **não integra** nenhuma lista oficial de 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**.

Quanto à indicação do pleito **Vamorolona** (Agamree®) em outros países, de acordo com a bula da Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH², registrada na European Medicines Agency (EMA), **está indicado para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne (DMD) em doentes com idade igual ou superior a 4 anos**. Assim, o medicamento pleiteado **possui indicação** para o tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor.

Ressalta-se que o **registro de medicamentos** é um dos meios estabelecidos pela Política Nacional de Medicamentos pelo qual a **autoridade sanitária avalia a relevância terapêutica do medicamento, analisa sua segurança e qualidade**. Medicamentos ainda sem registro **não possuem diretrizes nacionais que orientem seu uso**³.

Considerando que o pleito **Vamorolona** (Agamree®) trata-se de medicamento importado, informa-se que a importação de bens e produtos, **incluindo os não registrados no Brasil**,

¹ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Consulta de produtos – Medicamentos. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/q/?substancia=4176>>. Acesso em: 30 set. 2025.

²Bula do medicamento Vamorolona (Agamree®) por Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH. Disponível em: <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2023/20231214161073/anx_161073_pt.pdf>. Acesso em: 30 set. 2025.

³BRASIL. Ministério da Saúde. Política Nacional de Medicamentos, 2001. Disponível em: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/politica_medicamentos.pdf>. Acesso em: 30 set. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

foi atualizada pela RDC nº 208, de 05 de janeiro de 2018⁴. Contudo, a autorização e entrega ao consumo se restringe aos produtos sob vigilância sanitária, que atendam às exigências sanitárias dispostas na referida portaria e legislação sanitária pertinente. Sendo assim, cabe esclarecer que a aquisição de bens e produtos importados sem registro na ANVISA passa por um processo complexo que exige um determinado tempo, devido aos trâmites legais e sanitários exigidos.

Tendo em vista o caso em tela, informa-se que no momento **não há publicado** pelo Ministério da Saúde Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas⁵ para **distrofia muscular de Duchenne** e, portanto, **não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias**.

O medicamento pleiteado **Vamorolona** (Agamree®) até o momento **não foi submetido** à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS)⁶.

Acrescenta-se ainda que a **distrofia muscular de Duchenne (DMD)** é uma doença **rara**. Segundo pesquisas a incidência de DMD é de aproximadamente um indivíduo para cada 3.500 meninos nascidos vivos⁷. 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 Raras⁸ 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 raras⁹. Na Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, distrofias musculares consta dentre as anomalias congênitas. Contudo, reitera-se que **não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**⁵ publicado para o manejo da **distrofia muscular de Duchenne**.

⁴BRASIL. Imprensa Nacional. Diário Oficial da União. Resolução RDC Nº 208, de 05 janeiro de 2018. Disponível em: <https://www.in.gov.br/materia/-/asset_publisher/Kujrw0TZC2Mb/content/id/1652079/do1-2018-01-08-resolucao-rdc-n-208-de-5-de-janeiro-de-2018-1652075>. Acesso em: 30 set. 2025.

⁵BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 30 set. 2025.

⁶BRASIL. 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: 30 set. 2025.

⁷MORAES, R.M. et al. I intervenções fisioterapêuticas na distrofia muscular de duchenne: revisão de literatura. Brazilian Journal of Health Review, Curitiba, v.4, n.2, p. 5182-5194 mar./apr.2021. Disponível em: <<https://www.brazilianjournals.com/index.php/BJHR/article/view/26169/20797>>. Acesso em: 30 set. 2025.

⁸BRASIL. 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: 30 set. 2025.

⁹CONITEC. 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: 30 set. 2025



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Não há cura para a **distrofia muscular de Duchenne**, e as intervenções são baseadas na prevenção e tratamento das complicações. Atualmente, a terapia padrão geralmente é baseada em corticosteroides¹⁰.

Elucida-se ainda que, no momento, nas listas oficiais de medicamentos para dispensação pelo SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro, não constam alternativas terapêuticas que possam representar substitutos farmacológicos ao medicamento **Vamorolona** (Agamree®).

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)¹¹.

Apesar do exposto acima, considerando que o medicamento pleiteado **Vamorolona 40mg/mL** (Agamree®) não possui registro na ANVISA, deste modo, não tem preço estabelecido pela CMED¹².

É o parecer.

À 1ª 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

¹⁰CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Monitoramento do horizonte tecnológico. 03/2022. Medicamentos para tratamento da distrofia muscular de Duchenne. Brasília, abril de 2022. Disponível em:

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/radar/2022/informemht_distrofiamuscularduchene.pdf>. Acesso em: 30 set. 2025.

¹¹BRASIL 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: 30 set. 2025.

¹²BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Consulta de Preço Máximo ao Governo. Disponível em:

<<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrIjoiYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWl3MDg1ZjVlZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 30 set. 2025.