



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1506/2025

Rio de Janeiro, 24 de outubro de 2025.

Processo nº 5010844-24.2025.4.02.5118,
ajuizado por **D. L. M. M.**

Trata-se de Autor, 1 ano e 5 meses, com diagnóstico de **atrofia muscular tipo 1**, ainda sem tratamento. Apresenta movimentação discreta, hipotonia global, arreflexia e miofasciculações de língua. O exame molecular evidenciou deleção em heterozigose nos exons 7 e 8 do gene SMN1 e duas cópias dos exons 7 e 8 em SMN2. Foi participado pelo médico assistente que o Autor esteve internado em CTI pediátrico, **dependente de ventilação mecânica invasiva** desde o início da internação. O Demandante também foi submetido a traqueostomia e gastrostomia. Para o manejo do caso em concreto, foi prescrito **Risdiplam 0,75mg/mL** de modo contínuo (Evento 1_COMP7_Página 1).

Dito isto, informa-se que o medicamento pleiteado **Risdiplam possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e **está indicado em bula**¹ para o manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor – **atrofia muscular espinhal**, conforme relato médico.

No que tange ao acesso do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, insta mencionar que **Risdiplam 0,75mg/mL é disponibilizado** pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), através do **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF²)**, **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.

- **Risdiplam 0,75mg/mL** perfaz o grupo de financiamento 1A – medicamentos com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal^{3,4}.

Em relação ao tratamento da **atrofia muscular espinhal**, cumpre salientar que, conforme Portaria Conjunta SAES/SECTICS Nº 3, de 20 de março de 2025, o Ministério da Saúde

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: 24 out. 2025.

² 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: 24 out. 2025.

³ Ministério da Saúde. Gabinete do Ministro. Portaria nº 1554, de 30 de julho de 2013. Disponível em:

<https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt1554_30_07_2013.html>. Acesso em: 24 out. 2025.

Ministério da Saúde. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME 2024). Disponível em: <https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2024.pdf>. Acesso em: 24 out. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

atualizou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2⁵.

Serão incluídos os indivíduos de ambos os sexos, com diagnóstico genético confirmado de AME 5q tipo 1 ou 2, com até três cópias de SMN2, além de cumprir os critérios a seguir, de acordo com a sua situação clínica: para pacientes com **AME 5q do tipo 1: *Pré-sintomáticos**: diagnóstico genético confirmado de AME 5q e presença de até três cópias de SMN2; ***Sintomáticos**: diagnóstico genético confirmado de AME 5q, presença de até três cópias de SMN2 e início dos sintomas até o sexto mês de vida⁵.

No referido PCDT também são apontados os **critérios de exclusão**, que para o medicamento **Risdiplam 0,75mg/mL** correspondem a: sinais ou sintomas de AME 5q compatíveis com o subtipo 1a ou 0; ou seja, manifestações clínicas presentes ao nascimento ou na primeira semana após o nascimento; sinais ou sintomas de AME 5q compatíveis com os subtipos 3 ou 4; ou seja, surgimento de manifestações clínicas após os 18 meses de idade; hipersensibilidade às substâncias ativas ou excipientes das formulações que impeça o uso das alternativas medicamentosas disponibilizadas; **necessidade de ventilação mecânica invasiva acima de 24 horas de ventilação/dia, continuamente, por ≥ 21 dias**; ou idade inferior a 16 dias de idade, uma vez que não foram estabelecidos estudos de segurança e eficácia para essa população⁵.

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão da Assistência Farmacêutica (HÓRUS), verificou-se que o Autor protocolou **solicitação de cadastro** no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF para recebimento do medicamento **Risdiplam 0,75mg/mL**, tendo sua solicitação **indeferida**.

No tocante à justificativa apresentada pelo CEAF, consta, conforme documentos anexados à solicitação de cadastro, que o Autor **se encontra em ventilação mecânica invasiva por 24 horas/dia há 92 dias consecutivos, o que configura critério de exclusão**, de acordo com o PCDT. Em tempo, ainda mencionou outros pontos de atenção:

- Campo 8 do LME incompleto;
- CNS do médico no campo 15 não é o mesmo vinculado ao Hospital (Hospital Municipal Adão Pereira Nunes);
- Não pode haver divergência em toda documentação: O peso do paciente em campo 5 do LME (7 kg) não está de acordo com laudo do dia 28 de agosto de 2025 (8kg). A posologia deverá estar de acordo com o peso atual.
- Não foi enviado a primeira parte do termo de esclarecimento e responsabilidade.
- Recomenda-se que a administração do medicamento seja realizada, preferencialmente, com o calendário vacinal em dia.

Neste momento, faz-se importante elucidar que a execução do CEAF envolve as etapas de solicitação, avaliação, autorização, dispensação e renovação da continuidade do tratamento. E, para a etapa de solicitação, serão obrigatórios, os seguintes documentos: LME

⁵ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria Conjunta N° 3, de 20 de março de 2025. 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: 24 out. 2025.



adequadamente preenchido, prescrição médica devidamente preenchida, documentos exigidos no PCDT para o medicamento em questão, CNS e documentos pessoais⁶.

O Suplicante somente terá acesso pela via administrativa, após realização do cadastro, caso se adeque as solicitações supramencionadas e caso perfaça os critérios descritos no PCDT.

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 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.

No que tange ao preço estimado, 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.

De acordo com publicação da CMED¹⁰, o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os medicamentos não se encontrarem relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4º da Resolução nº 3 de 2011, e o **Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG)** é utilizado como referência quando a compra for motivada por ordem judicial, e sempre que a aquisição contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

⁶ MINISTÉRIO DA SAÚDE. Gabinete do Ministro. Portaria nº 1.554, de 30 de julho de 2013. Dispõe sobre as regras de financiamento e execução do CEAF no âmbito do SUS. Disponível em:

<https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt1554_30_07_2013.html>. Acesso em: 24 out. 2025.

⁷ 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: 24 out. 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: 24 out. 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: 24 out. 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/cmed/precos/arquivos/pdf_conformidade_gov_20250107_175641971.pdf>. Acesso em: 24 out. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, o **Risdiplam 0,75mg/mL** solução oral possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 45.318,72, alíquota ICMS 0%¹¹.

Com base no esquema terapêutico prescrito – **Risdiplam 0,75mg/mL**, frasco com 80mL – dar 2,1mL ao dia (Evento 1_COMP7_Página 1) e nos valores da Tabela CMED (ICMS 0%), o custo estimado anual do tratamento, corresponde a R\$ 543.824,64.

É o parecer.

À 2ª Vara Federal de Duque de Caxias, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.

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=eyJrIjoiYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjVlZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 24 out. 2025.