



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1596/2025

Rio de Janeiro, 06 de novembro de 2025.

Processo nº 5111472-72.2025.4.02.5101,
ajuizado por **M. C. L.**

Trata-se de Autora, 08 meses de idade (DN: 02/03/2025), com diagnóstico de **atrofia muscular espinhal (AME) do tipo Ib**. Início dos sintomas antes dos 6 meses de vida, com hipotonia global e fraqueza. Confirmado por teste molecular com deleção em homozigose no gene SMN1, ou seja, ausência das duas cópias do éxon 7 e éxon 8 no gene SMN1, com quatro cópias de SMN2. Atualmente a paciente apresenta peso, estatura e perímetro cefálico adequados para idade (entre z-score 0 e -1), fazendo uso de dieta líquida sem gastrostomia. Foi indicado na consulta de hoje o uso do BIPAP noturno. Calendário vacinal está atualizado para idade e não há história familiar de AME. Nunca realizou tratamento modificador de doença. Sendo prescrito, os medicamentos Vitamina D 200UI, Sulfato Ferroso gotas, Risdiplam 0,75mg/mL x 80mL – com 7kg: fazer 1,8 mL, uma vez ao dia; com 8kg: fazer 2,1 mL, uma vez ao dia. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.2 – Doença do neurônio motor** (Evento 1_ATESTMED10, Página 1; Evento 4, LAUDO2, Página 1 e 2).

A Autora apresenta **AME tipo I**, estável clinicamente, sem uso de respirador, alimentando-se exclusivamente via oral, com redução de força muscular mais evidente nos membros inferiores, com melhora da força muscular desde que iniciou tratamento medicamentoso com Risdiplam. Sendo prescrito, o medicamento **Onasemnogeno Abeparvoveque** (Zolgensma®) 1 frasco de 5,5mL e 4 frascos de 8,3mL - aplicar 38,5mL endovenoso em 1 hora com bomba de seringa, dose única. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.0 – Atrofia muscular espinal infantil tipo I [Werdnig-Hoffman]** (Evento 9_RECEIT9, Página 1; Evento 9, LAUDO10, Página 1 a 4).

Desse modo, informa-se que o medicamento pleiteado **Onasemnogeno Abeparvoveque** (Zolgensma®) assim como sua **aplicação** estão **indicados em bula**¹ para o manejo do quadro clínico apresentado pela Autora - **atrofia muscular espinhal do tipo 1 em menores de 2 anos**, conforme relato médico.

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, insta mencionar que **onasemnogeno abeparvoveque foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), e **incorporado** no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS para o **tratamento de pacientes pediátricos até 6 meses de idade com Atrofia Muscular Espinhal (AME) do tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia**².

¹Bula do medicamento Onasemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma®) por Novartis Biociências S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Zolgensma>>. Acesso em: 06 nov. 2025.

²Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – CONITEC. Relatório de Recomendação Nº 793. Onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME). Dezembro/2022. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207_relatorio_zolgensma_ame_tipo_i_793_2022.pdf>. Acesso em: 06 nov. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

O **Onasemnogeno Abeparvoveque** possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e atualmente encontra-se em análise após consulta pública pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC³) para tratamento de crianças de até 2 anos de idade diagnosticadas com atrofia muscular espinhal tipos 1 e 2.

Para o tratamento da **atrofia muscular espinhal**, cumpre salientar que, em 20 de março de 2025, o Ministério da Saúde atualizou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT⁴) da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2, no qual preconizou os seguintes medicamentos: Nusinersena: solução injetável de 2,4mg/mL; **Onasemnogeno abeparvoveque**: 2,0 × 1013gv/mLb e Risdiplam: pó para solução oral de 0,75mg/mL.

Contudo, de acordo com o protocolo supracitado, para o tratamento com onasemnogeno abeparvoveque, dentre outros, devem ser observados os seguintes critérios de exclusão: idade superior a 6 meses na data da apresentação do pedido do medicamento à unidade de saúde responsável no SUS, uma vez que não foram estabelecidos estudos de segurança e eficácia para essa população e idade superior a 7 meses na data de infusão do medicamento. Portanto, a idade apresentada pela Requerente: 08 meses (DN: 02/03/2025) constitui um critério de exclusão e, portanto, não está contemplada para tratamento pelo Protocolo Ministerial⁴.

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS), verificou-se que a Autora não está cadastrada no CEAF para recebimento de medicamentos.

Para o acesso ao medicamento Risdiplam (o medicamento está prescrito a autora, porém não pleiteado) disponibilizado no CEAF para o tratamento da AME tipo 1, estando a Autora dentro dos critérios para dispensação, e ainda cumprindo o disposto nas Portarias de Consolidação nº 2/GM/MS e 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, a representante legal da Requerente deverá efetuar cadastro junto ao CEAF, comparecendo à Rio Farmes - Farmácia Estadual de Medicamentos Especiais Rua Júlio do Carmo, 175 – Cidade Nova (ao lado do metrô da Praça Onze), de 2ª à 6ª das 08:00 às 17:00 horas. Tel.: (21) 98596-6591/ 96943-0302/ 98596-6605/ 99338-6529/ 97983-3535, munida da seguinte documentação: Documentos pessoais: Original e Cópia de Documento de Identidade ou da Certidão de Nascimento, Cópia do CPF, Cópia do Cartão Nacional de Saúde/SUS e Cópia do comprovante de residência. Documentos médicos: Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos (LME), em 1 via, emitido a menos de 90 dias, Receita Médica em 2 vias, com a prescrição do medicamento feita pelo nome genérico do princípio ativo, emitida a menos de 90 dias.

Nesse caso, o médico assistente deve observar que o laudo médico será substituído pelo Laudo de Solicitação, avaliação e autorização de medicamentos (LME), o qual deverá conter a descrição do quadro clínico do paciente, menção expressa do diagnóstico, tendo como referência os critérios de inclusão previstos nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde, bem como os exames exigidos no PCDT, quando for o caso.

³BRASIL. 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: 06 nov. 2025.

⁴BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria Conjunta SAES/SECTICS Nº 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: 06 nov. 2025.



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 Brasil³. 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 Raras⁵ 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. Tal PCDT foi descrito acima no presente parecer.

Ademais, o **Onasemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma®)** foi registrado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) em 17 de agosto de 2020 e está autorizado ao uso, sob condições de monitoramento e produção de dados e provas adicionais comprobatórias de eficácia clínica. 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.

Em atenção ao Despacho/Decisão Judicial (Evento 5_DESPADEC1, Página 2), informa-se que não há contraindicações ao medicamento, conforme descrito em bula¹.

Quanto à possibilidade de risco de dano irreparável ou de difícil reparação à saúde da parte autora, informa-se que a **atrofia muscular espinhal tipo 1** é uma **doença neurodegenerativa grave** que, sem tratamento, **resulta em morte** ou necessidade de ventilação permanente em até 90% dos pacientes^{7,8}. O tratamento com **Onasemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma®)** é uma terapia gênica aprovada pela *Food and Drug Administration* – FDA para crianças com menos de dois anos de idade com mutações bialélicas no gene SMN1. Esta terapia demonstrou alterar significativamente a história natural da doença, melhorando a função motora⁷.

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

³BRASIL. 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 nov. 2025.

⁶CONITEC. 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 nov. 2025

⁷Al-Zaidy SA, Mendell JR. From Clinical Trials to Clinical Practice: Practical Considerations for Gene Replacement Therapy in SMA Type 1. *Pediatr Neurol*. 2019 Nov;100:3-11. Disponível em: <<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/31371124/>>. Acesso em: 06 nov. 2025.

⁸Day JW, Finkel RS, Chiriboga CA, Connolly AM, Crawford TO, Darras BT, Iannaccone ST, Kuntz NL, Peña LDM, Shieh PB, Smith EC, Kwon JM, Zaidman CM, Schultz M, Feltner DE, Tauscher-Wisniewski S, Ouyang H, Chand DH, Sproule DM, Macek TA, Mendell JR. Onasemnogene abeparvovec gene therapy for symptomatic infantile-onset spinal muscular atrophy in patients with two copies of SMN2 (STR1VE): an open-label, single-arm, multicentre, phase 3 trial. *Lancet Neurol*. 2021 Apr;20(4):284-293. Disponível em: <<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33743238/>>. Acesso em: 06 nov. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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.

Assim, considerando a regulamentação vigente, m consulta a Tabela de Preços CMED, o **Onasemnogeno Abeparvoveque 2,0x10E13 GV/ML** (Zolgensma[®]) suspensão injetável com 1 frasco ampola x 5,5mL + 4 frascos ampola possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 6.547.610,19, alíquota ICMS 0%¹¹.

Quanto ao valor anual do medicamento com base no Preço Máximo de Venda do Governo (PMVG), de acordo com o documento médico (Evento 9_RECEIT9, Página 1), está prescrito a Autora, “**Onasemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma[®]) 1 frasco de 5,5mL e 4 frascos de 8,3mL - aplicar 38,5mL endovenoso em 1 hora com bomba de seringa, dose única**”.

- Assim, para o tratamento seria utilizado 1 caixa do medicamento: 6.547.610,19. O valor do tratamento seria de R\$ 6.547.610,19, com base no preço de venda ao governo, alíquota ICMS 0%¹⁰.

Em relação à aplicação do medicamento pleiteado, informa-se que está coberto pelo SUS, conforme Tabela de Procedimentos, Medicamentos, Órteses/Próteses e Materiais Especiais do Sistema Único de Saúde – SUS (SIGTAP), na qual consta: administração de medicamentos por via endovenosa, sob o código de procedimento: 03.01.10.019-5, considerando o disposto na Relação Nacional de Ações e Serviços de Saúde (RENASES).

Destaca-se que, de acordo com a bula do fármaco **Onasemnogeno Abeparvoveque** (Zolgensma[®]), este medicamento deve ser infundido **apenas por um profissional de saúde**, administrado por **via intravenosa** e manuseado de **forma asséptica sob condições estéreis**.

É o parecer.

À 33ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.

⁹BRASIL 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: 06 nov 2025.

¹⁰BRASIL 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/arquivos/pdf_conformidade_gov_20250216_081743796.pdf>. Acesso em: 06 nov. 2025.

¹¹BRASIL 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: 06 nov. 2025.