



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

## PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1610/2025

Rio de Janeiro, 10 de novembro de 2025.

Processo nº 5003344.22.2025.4.02.5112,  
ajuizado por A. A. S.

Trata-se de Autor, 06 anos (DN: 10/06/2019), tem **neurofibromatose tipo 1 e neurofibroma plexiforme** em hemiface direita irresssecável (inoperável). Ao exame nascimento apresentava manchas café-com-leite e por volta dos 6 meses de idade foi observada assimetria facial em função de aumento de volume do lado direito, identificado posteriormente como neurofibroma plexiforme. Evoluiu com aumento do número e tamanho das manchas café-com-leite e do tamanho do neurofibroma plexiforme, displasia do esfenóide à direita, nódulos de Lisch, anisometropia miópica, atraso cognitivo e motor, além de **transtorno do espectro autista**. Queixa-se de **dor local e cefaleia**. Mãe refere agressividade e agitação psicomotora, além de distúrbio do sono. Atualmente faz uso de Risperidona e Melatonina. Sendo prescrito, o medicamento **Sulfato de Selumetinibe 10mg** (Koselugo®) – tomar 2 cápsulas de 12/12 horas (2 vezes ao dia), por tempo indeterminado. Uso mensal 2 frascos. Foi citada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): Q85.0 – **Neurofibromatose (não-maligna)** (Evento 1\_INIC1, Página 34 a 37).

Desse modo, informa-se que o medicamento pleiteado **Sulfato de Selumetinibe** (Koselugo®) **está indicado em bula**<sup>1</sup> para o manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor - **neurofibromatose tipo 1 (NF1) que apresentem neurofibromas plexiformes (NP) inoperáveis**, conforme relato médico.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta mencionar que **Sulfato de Selumetinibe** (Koselugo®) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Miracema e do Estado do Rio de Janeiro. Assim, considerando que não existe política pública de saúde para dispensação deste medicamento salienta-se que **não há atribuição exclusiva do Estado nem do Município em fornecê-lo**.

O medicamento **Sulfato de Selumetinibe** (Koselugo®) **possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), e **foi analisado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC<sup>2</sup>) **para o tratamento de pacientes pediátricos com neurofibromatose tipo 1 (NF1) e neurofibroma plexiforme inoperável sintomático e não obteve recomendação favorável à sua incorporação no SUS no tratamento de pacientes pediátricos a partir de 2 anos de idade, com neurofibromatose tipo 1 (NF1) que apresentem neurofibromas plexiformes (NPs) sintomáticos e inoperáveis**.

<sup>1</sup>Bula do medicamento Sulfato de Selumetinibe (Koselugo®) por AstraZeneca do Brasil Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=KOSELUGO>>. Acesso em: 10 nov. 2025.

<sup>2</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Selumetinibe para o tratamento de pacientes pediátricos com neurofibromatose tipo 1 (NF1) e neurofibroma plexiforme inoperável sintomático. Relatório de Recomendação Nº 1037. Setembro/2025. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2025/relatorio-final-1037-selumetinibe>>. Acesso em: 10 nov. 2025.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Em Recomendação preliminar da Conitec, os membros do Comitê de Medicamentos da Conitec, deliberaram, por unanimidade, com **recomendação inicial desfavorável à incorporação ao SUS do Selumetinibe para o tratamento de pacientes pediátricos a partir de 2 anos de idade, com neurofibromatose tipo 1 (NF1) que apresentem neurofibromas plexiformes (NPs) sintomáticos e inoperáveis**. A recomendação levou em consideração a incerteza da magnitude do efeito, e, desta forma, à incerteza nos resultados da análise de custo-utilidade apresentada, além da razão de custo-utilidade incremental já estar acima do limiar de disposição a pagar definido para o SUS. Na análise do impacto orçamentário, os membros consideraram que é necessário definir de forma clara e objetiva as características dos pacientes que serão contemplados em caso de incorporação, com o objetivo de mitigar um resultado subestimado de impacto orçamentário para o SUS<sup>2</sup>.

Após a consulta pública, o comitê considerou que o desconto do novo preço proposto não modificou de forma significativa os resultados da avaliação econômica. **Os membros reconheceram a eficácia do selumetinibe na redução do tamanho dos neurofibromas plexiformes, mas com incerteza em relação ao verdadeiro tamanho de efeito**. Desta forma, frente a questão do custo de oportunidade e os desafios relacionados ao financiamento público no contexto do sistema de saúde brasileiro a **recomendação seguiu-se negativa a incorporação**<sup>2</sup>.

Salienta-se que, até o momento, o Ministério da Saúde **ainda não publicou** o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas<sup>3</sup> que verse sobre a **neurofibromatose tipo 1** – quadro clínico apresentado pelo Autor e, portanto, **não há lista oficial e específica de medicamentos** que possam ser implementados nestas circunstâncias.

Acrescenta-se ainda que a doença de Von Recklinghausen, também conhecida como **Neurofibromatose Tipo 1 (NF1)**, **é uma doença genética rara** e complexa que afeta o sistema nervoso e a pele<sup>4</sup>. Estima-se que a **prevalência da NF-1 seja de 1:2.000 a 1:7.800 nascidos vivos**, caracterizando-a como uma das doenças genéticas de herança autossômica dominante (AD) mais frequentes<sup>5</sup>. 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**<sup>6</sup> 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

<sup>3</sup>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: 10 nov. 2025.

<sup>4</sup>ALEIXO, G.C.C.D, et al. Doença de Von Recklinghausen: uma abordagem diagnóstica, evolução clínica e revisão. Brazilian Journal of Health Review, Curitiba, v. 6, n. 5, p. 21666-21675, sep./oct., 2023. Disponível em: <<https://ojs.brazilianjournals.com.br/ojs/index.php/BJHR/article/download/63142/45407/153856>>. Acesso em: 10 nov. 2025.

<sup>5</sup>DARRIGO JR, L.G, et al. Neurofibromatose tipo 1 na infância: revisão dos aspectos clínicos. Rev Paul Pediatr 2008;26(2):176-82. Disponível em: <<https://www.scielo.br/j/rpp/a/wvBLCTQyTQyTDDJtp3Jq6f/?format=pdf>>. Acesso em: 10 nov. 2025.

<sup>6</sup>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](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 10 nov. 2025.

GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

cuidado das pessoas com doenças raras<sup>7</sup>. Contudo, reitera-se que **não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**<sup>3</sup> publicado para o manejo da **neurofibromatose tipo 1**.

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

Ademais, o **Sulfato de Selumetinibe** (Koselugo®) foi registrado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) em 12 de abril de 2021. 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 desconhecidos<sup>1</sup>. Nesse sentido, é importante que o Autor seja reavaliado pelo médico assistente periodicamente, a fim de comprovar a efetividade do tratamento.

Em relação a evidência científica da eficácia no tratamento proposto. Informa-se que o medicamento pleiteado, possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Assim, destaca-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 eficácia e segurança<sup>8</sup>. Ainda, a bula<sup>1</sup> do medicamento pleiteado menciona que a **eficácia clínica de Selumetinibe** foi avaliada em estudos SPRINT e KOMET. No estudo SPRINT o desfecho primário, Taxa de Resposta Objetiva (TRO) foi de 68% (IC 95%, 53,3 – 80,5). O tempo para início da resposta para a maioria dos pacientes (24/34 [70,6%]) ocorreu dentro de 8 ciclos (intervalo 4 – 42 ciclos). No estudo KOMET desfecho primário de eficácia foi a taxa de resposta objetiva (ORR) para selumetinibe até o final do Ciclo 16. Até o final do Ciclo 16, a ORR para selumetinibe foi de 19,7% (IC 95%: 11,2; 30,9) em comparação com uma ORR para placebo de 5,4% (IC 95%: 1,5; 13,3).

Quanto à existência de medicamentos genéricos correspondentes ao medicamento pleiteado, informa-se que, até a presente data, **não há medicamentos genéricos** registrados na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) para o princípio ativo **Sulfato de Selumetinibe**. O fármaco em questão é medicamento de referência, e sua comercialização no país depende de autorização específica da ANVISA. Assim, o tratamento disponível atualmente no mercado nacional corresponde ao medicamento original de marca Koselugo® (**Sulfato de Selumetinibe**).

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)<sup>9</sup>.

De acordo com publicação da CMED<sup>10</sup>, o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os

<sup>7</sup>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](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf)>. Acesso em: 10 nov. 2025

<sup>8</sup>MASTROIANNI, P.C.; LUCCHETTA, R.C. Regulamentação Sanitária de Medicamentos. Revista de Ciências Farmacêuticas Básica e Aplicada, v. 32, n. 1, p. 127-132, 2011. Disponível em: <<https://repositorio.unesp.br/bitstream/handle/11449/108343/ISSN1808-4532-2011-32-1-127-132.pdf?sequence=1&isAllowed=y>>. Acesso em: 27 mar. 2025.

<sup>9</sup>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: 10 nov. 2025.

<sup>10</sup>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\\_20250205\\_114155690.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/arquivos/pdf_conformidade_gov_20250205_114155690.pdf)>. Acesso em: 10 nov. 2025.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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, em consulta a Tabela de Preços CMED, o **Sulfato de Selumetinibe 10mg (Koselugo®)** com 60 cápsulas possui preço máximo de venda ao governo R\$ 24.911,92, para a alíquota ICMS 0%<sup>11</sup>.

Quanto ao valor anual do medicamento com base no Preço Máximo de Venda do Governo (PMVG), de acordo com o documento médico (Evento 1\_INIC1, Página 37), está prescrito ao Autor, “**Sulfato de Selumetinibe 10mg (Koselugo®)** – tomar 2 cápsulas de 12/12 horas (2 vezes ao dia), por tempo indeterminado. Uso mensal 2 frascos”.

- Assim, mensalmente seria utilizado:  $2 \times 24.911,92 = 49.823,84$ . **Para 12 meses de tratamento, seria:**  $12 \times 49.823,84 = 597.886,08$ . Desse modo, o **valor anual do tratamento seria de R\$ 597.886,08, com base no preço de venda ao governo, alíquota ICMS 0%**<sup>10</sup>.

Por fim, quanto ao pedido da Defensoria Pública do Estado do Rio de Janeiro (Evento 1\_INIC1, Página 27 e 28, item “VII - DO PEDIDO”, subitens “c” e “f”) referente ao fornecimento dos medicamentos prescritos pelo médico “... *bem como outros medicamentos e produtos complementares e acessórios que, no curso da demanda, se façam necessários ao tratamento da moléstia da Autora...*” vale ressaltar que não é recomendado o provimento de novos itens sem emissão de laudo que justifique a necessidade destes, uma vez que o uso irracional e indiscriminado de tecnologias pode implicar em risco à saúde.

**É o parecer.**

**Á 1ª Vara Federal de Miracema, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.**

<sup>11</sup>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=eyJrIjoieYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjVlZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29> >. Acesso em: 10 nov. 2025.