



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1663/2025

Rio de Janeiro, 18 de novembro de 2025.

Processo nº 5003517-40.2025.4.02.5114,
ajuizado por **A. M. A.**

Trata-se de Autora, 01 ano e 02 meses, com diagnóstico de **atrofia muscular espinhal do tipo 1**. Apresenta diminuição de força em membros inferiores e superiores, que a impede de andar. Aos 8 meses entrou em **insuficiência respiratória**, tendo feito gastrostomia e traqueostomia. Atualmente, fica até 6 horas sem o respirador. Foi participado tratamento com Risdiplam, contudo, de acordo com o médico assistente, necessita efetuar o tratamento com **onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma®) o quanto antes (Evento 1_LAUDO9_Páginas 1/5).

Dito isto, informa-se que o medicamento pleiteado, **onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma®), está **indicado 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 Sistema Único de Saúde – 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 SUS para o tratamento de **pacientes pediátricos até 6 meses de idade** com atrofia muscular espinhal (AME) do tipo 1 que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia².

No caso em tela, a Autora tem 01 ano e 02 meses e fica até 6 horas sem o respirador. Assim, a Demandante **não se enquadra** nos critérios de inclusão para receber o medicamento **onasemnogeno abeparvoveque** pela via administrativa (Evento 1_LAUDO9_Páginas 1/5).

O **onasemnogeno abeparvoveque possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e atualmente encontra-se **em análise após consulta pública** pela 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 (PCDT)**⁴ da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2, no qual preconizou os seguintes

¹ Bula do medicamento Onasemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma®) por Novartis Biociências S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=100681174>>. Acesso em: 18 nov. 2025.

² Comissão 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: 18 nov. 2025.

³ BRASIL. 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: 18 nov. 2025.

⁴ BRASIL, 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: 18 nov. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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. Desse modo, a idade apresentada pela Requerente: **01 ano e 02 meses** (DN: 01/09/2024) **constitui um critério de exclusão e, portanto, não está contemplada para tratamento pelo Protocolo Ministerial**⁴.

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que a Autora está cadastrada no CEAF para recebimento do medicamento Risdiplam (*não pleiteado*), tendo efetuado a última retirada em 28 de outubro de 2025. Contudo, não foi explicitado nos documentos médicos apensados aos autos os benefícios adquiridos após a introdução do Risdiplam no plano terapêutico da Requerente.

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.

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

⁵BRASIL. 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: 18 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: 18 nov. 2025



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 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, em consulta a Tabela de Preços CMED, o **onasemnogeno abeparvoveque** (Zolgensma[®]) suspensão injetável com 02 frascos de 5,5mL + 9 frascos de 8,3mL possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 6.232.257,93, alíquota ICMS 0%¹¹. Ressalta-se que o **onasemnogeno abeparvoveque** é destinado ao tratamento de dose única.

É o parecer.

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

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.

⁷ Al-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: 18 nov. 2025.

⁸ Day 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: 18 nov. 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: 18 nov. 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_20250216_081743796.pdf>. Acesso em: 18 nov. 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=eyJrIjoiYjZkZjE5M2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWl3MDg1ZjVlZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 18 nov. 2025.