



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1812/2025

Rio de Janeiro, 15 de dezembro de 2025.

Processo nº 5012111.31.2025.4.02.5118,
ajuizado por **Y. M. D. S.**

Trata-se de Autora, 8 meses de idade (DN: 11/04/2025), apresenta uma síndrome malformativa associada ao nanismo tipo **acondroplasia** confirmada pelo estudo radiológico e estudo molecular revelando presença de mutação G380R no gene FGFR3. Sendo prescrito, o medicamento **Vosoritida 0,4mg** (Voxzogo®) – aplicar subcutâneo diário 15mg/kg pela manhã (Evento 1_ANEXO2,5, Página 1; Evento 1, ANEXO12, Página 1 a 3).

Destaca-se que o medicamento pleiteado **Vosoritida** (Voxzogo®) possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e está indicado em bula¹ ao manejo do quadro clínico apresentado pela Autora – **acondroplasia**, conforme relatado em documento médico.

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, informa-se que **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®) não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Duque de Caxias 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 pleiteado **Vosoritida** (Voxzogo®), atualmente, encontra-se em análise pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS)² para o tratamento de pacientes com acondroplasia a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas.

Ademais, informa-se que este Núcleo não identificou Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)³ publicado⁴ para **acondroplasia** – quadro clínico apresentado pela Autora e, portanto, não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

Acrescenta-se que a **acondroplasia** é considerada uma **doença rara**, estima-se que a ocorrência seja de um em cada 10.000 e um em 30.000 nascimentos, e acomete cerca de 250.000

¹Bula do medicamento Vosoritida (Voxzogo®) por BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=VOXZOGO>>. Acesso em: 15 dez. 2025.

²BRASIL. 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: 15 dez. 2025.

³Comissão 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: 15 dez. 2025.

⁴BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Protocolos e Diretrizes do Ministério da Saúde. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/pcdt-em-elaboracao-1>>. Acesso em: 15 dez. 2025.



pessoas em todo o mundo^{5,6}. 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. Entretanto, reitera-se que ainda não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)⁴ publicado para o manejo da **acondroplasia**.

Em consulta as bases de dados científicas, informa-se que os métodos para o tratamento da acondroplasia podem ser agrupados em terapias cirúrgicas e farmacológicas⁹. A intervenção cirúrgica consiste no alongamento dos membros inferiores com aparelho de *Ilizarov* ou fixador externo monolateral. Tal terapia envolve múltiplos procedimentos passíveis de complicações graves¹⁰. Dentre as terapias farmacológicas, o hormônio de crescimento humano recombinante (somatotropina recombinante) é um dos métodos de tratamento sintomático da baixa estatura na acondroplasia, como terapia de curto prazo (o que não se enquadra ao tratamento prescrito). Ademais, até o momento, somente o medicamento Vosoritida possui indicação aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) para o tratamento da acondroplasia^{1,9,10}.

Ressalta-se ainda que, de acordo com a CONITEC, os resultados disponíveis, até a última atualização deste alerta, foram promissores e subsidiaram o registro da **vosoritida** em vários países, inclusive no Brasil. Mas é importante destacar que devido à variabilidade do crescimento e ao menor pico de crescimento durante a puberdade, em crianças com acondroplasia, os efeitos a longo prazo da vosoritida só serão conhecidos quando as crianças atingirem a altura adulta final¹¹.

Destaca-se ainda que o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]) foi registrado como um produto biológico novo (medicamento biológico que contém molécula com atividade biológica

⁵BRASIL. Ministério da Saúde. Biblioteca Virtual em Saúde. Nanismo. Publicado: terça, 30 de junho de 2020, 08h35. Disponível em: <<http://bvsms.saude.gov.br/dicas-em-saude/3219-nanismo>>. Acesso em: 15 dez. 2025.

⁶BRASIL. Ministério da Mulher, da Família e dos Direitos Humanos. Secretaria Nacional dos Direitos da Criança e do Adolescente. Secretaria Nacional dos Direitos da Pessoa com Deficiência. Diagnóstico no SUS e primeiros cuidados numa perspectiva multiprofissional. Disponível em: <<https://www.gov.br/mdh/pt-br/navegue-por-temas/crianca-e-adolescente/acoes-e-programas/DIAGNOSTICONOSUSEPRIMEIROSCUIDADOSNUMAPERSPECTIVAMULTIPROFISSIONAL.pdf>>. Acesso em: 15 dez. 2025.

⁷BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível em: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 15 dez. 2025.

⁸CONITEC. 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: 15 dez. 2025.

⁹WROBEL W, PACH E, BEN-SKOWRONEK I. Advantages and Disadvantages of Different Treatment Methods in Achondroplasia: A Review. Int J Mol Sei. 2021;22(11):5573. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8197470/>>. Acesso em: 15 dez. 2025.

¹⁰PAULI, R.M. Achondroplasia: a comprehensive clinical review. Orphanet J Rare Dis 14, 1 (2019). Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6318916/>>. Acesso em: 15 dez. 2025.

¹¹CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Alerta – Monitoramento do Horizonte Tecnológico. Vosoritida para o tratamento de Acondroplasia. Outubro/2022. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/noticias/2022/outubro/alerta-de-mht-traz-informacoes-sobre-novo-medicamento-para-tratamento-de-doenca-rara-conhecida-como-nanismo>>. Acesso em: 15 dez. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

conhecida, ainda não registrada no Brasil). Assim, seu registro foi aprovado pela ANVISA em 29 de novembro de 2021¹². Ademais, por se tratar de uma necessidade médica não atendida atualmente, este produto foi priorizado de acordo com os critérios da Resolução - RDC Nº 204, de 27 de dezembro de 2017, a qual dispõe sobre o enquadramento na categoria prioritária, de petições de registro, pós-registro e anuência prévia em pesquisa clínica de medicamentos¹².

No que concerne o 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)¹³.

De acordo com publicação da CMED¹⁴, 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, a **Vosoritida 0,4mg** (Voxzogo®) solução injetável com 10 seringas possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 34.785,99, alíquota ICMS 0%¹⁵.

Quanto ao valor anual do medicamento com base no Preço Máximo de Venda do Governo (PMVG), de acordo com o documento médico (Evento 1_ANEXO2, Página 1), está prescrito a Autora, “**Vosoritida 0,4mg** (Voxzogo®) – aplicar subcutâneo diário 15mg/kg”. Assim, seria utilizado, aproximadamente, **Vosoritida 0,4mg** (Voxzogo®) – 30 frascos/mês.

- Assim, mensalmente, seria utilizado: $30 \times 34.785,99 = 1.043.579,7$. **Para 12 meses de tratamento, seria:** $12 \times 1.043.579,7 = 12.522.956,4$. Desse modo, o valor anual do tratamento seria de R\$ 12.522.956,4, com base no preço de venda ao governo, alíquota ICMS 0%¹⁵.

É o parecer.

Á 1ª 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.

¹²Informações sobre o medicamento Vosoritida (Voxzogo®) por BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/voxzogo-vosoritida-novo-registro>>. Acesso em: 15 dez. 2025.

¹³BRASIL 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: 15 dez. 2025.

¹⁴BRASIL 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>. Acesso em: 15 dez. 2025.

¹⁵BRASIL 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: 15 dez. 2025.