



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 3796/2024.**

Rio de Janeiro, 18 de setembro de 2024.

Processo nº 0868517-79.2024.8.19.0001,  
ajuizado por   
, neste ato representado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da 3º Juizado Especial de Fazenda Pública da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **risdiplam** (Evrysdi®).

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com os documentos médicos do Hospital Universitário Pedro Ernesto (Num. 122153239 - Pág. 7 a 10), emitidos em 14 e 28 de maio de 2024, pela médica , o Autor tem diagnóstico de **atrofia muscular espinhal tipo III** (AME III), doença genética e progressiva que evolui com fraqueza muscular. Não deambula sem auxílio por conta de quadriparese flácida, além de importante cifoescoliose. Faz uso de cadeira de rodas para a locomoção. Faz uso de Nusinersena via intratecal, obteve ganhos de força em pescoço e ganhos de mobilidade em membros superiores, justificando a manutenção da medicação. Entretanto, devido a escoliose importante a administração do medicamento Nusinersena via intratecal tem gerado dor importante pós procedimento. Dessa forma, foi prescrito o uso de **Risdiplam** – 6,6 mL – 1 vez pela manhã, totalizando 30 frascos ao ano. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.1 – outras atrofia musculares espinais hereditárias**.

**II – ANÁLISE**

**DA LEGISLAÇÃO**

1. A Política Nacional de Medicamentos e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica estão dispostas, respectivamente, na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Resolução nº 338/CNS/MS, de 6 de maio de 2004.

2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, dispõe, também, sobre a organização da assistência farmacêutica em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado. E, define as normas para o financiamento dos componentes estratégico e especializado da assistência farmacêutica.

3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, estabelece, inclusive, as normas de financiamento e de execução do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS.

4. A Deliberação CIB-RJ nº 1.589, de 09 de fevereiro de 2012 relaciona os medicamentos disponíveis no âmbito do Estado do Rio de Janeiro e/ou Municípios definindo a Relação Estadual dos Medicamentos Essenciais (REME-RJ).



5. A Deliberação CIB-RJ nº 5.743 de 14 de março de 2019 dispõe sobre as normas de execução e financiamento do Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF) no âmbito do SUS no Estado do Rio de Janeiro e, em seu artigo 4º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.

6. A Deliberação CIB-RJ nº 6.059 de 09 de janeiro de 2020 atualiza a Deliberação CIB nº 5.743 de 14 de março de 2019, no que tange aos repasses de recursos da União destinados ao Componente Básico da Assistência farmacêutica.

7. A Resolução SMS nº 3733 de 14 de junho de 2018, definiu o elenco de medicamentos, saneantes, antissépticos, vacinas e insumos padronizados para uso nas unidades da Secretaria Municipal de Saúde do Rio de Janeiro, compreendendo os Componentes Básico, Hospitalar, Estratégico e Básico e Hospitalar, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais no âmbito do Município do Rio de Janeiro (REMUME-RIO), em consonância com as legislações supramencionadas.

8. A Portaria GM/MS nº199, de 30 de janeiro de 2014, consolidada no Anexo XXXVIII da Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e as Diretrizes para a Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS. Para efeito deste Anexo, considera-se doença rara aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos.

## **DO QUADRO CLÍNICO**

1. A **atrofia muscular espinhal (AME 5q)** é uma doença neurodegenerativa, com herança genética autossômica recessiva e apresenta uma incidência de aproximadamente 1 em cada 10.000 nascimentos. A doença é causada por uma deleção ou mutação homozigótica do gene 1 de sobrevivência do motoneurônio (SMN<sub>1</sub>), localizado na região telomérica do cromossomo 5q, sendo que o número de cópias de um gene semelhante a ele (SMN<sub>2</sub>). Essa alteração genética no gene SMN<sub>1</sub> é responsável pela redução dos níveis da proteína de sobrevivência do motoneurônio (SMN). O gene SMN<sub>2</sub> não compensa completamente a ausência da expressão do SMN<sub>1</sub> porque produz apenas 25% da proteína SMN. A falta da proteína SMN leva à degeneração de motoneurônios alfa (α) localizados no corno anterior da medula espinhal, o que resulta em fraqueza e paralisia muscular proximal progressiva e simétrica. A doença é classificada conforme a gravidade e a época do início dos sintomas em pelo menos quatro subtipos principais: severa (tipo I, AME aguda ou doença de Werdnig-Hoffmann); intermediária (tipo II ou ame crônica); branda (**tipo 3**, AME juvenil ou doença de Kugelberg-Welander); e tipo IV (AME adulta)<sup>1,2</sup>.

2. A **AME tipo 3**, AME juvenil ou doença de Kugelberg-Welander, possui um quadro clínico mais brando, com início das manifestações ocorrendo após 18 meses de vida. Clinicamente, caracteriza-se por fraqueza e atrofia muscular das porções proximais dos membros, hipotonia, e arreflexia tendínea profunda. Os pacientes chegam a deambular em algum momento da vida. A marcha tem um padrão anserina devido a fraqueza proximal nos membros inferiores, e usualmente observa-se o sinal de *Gowers*. Apesar do curso mais benigno do **tipo 3**, observa-se uma piora

<sup>1</sup> BAIONI M.T.C; AMBIEL C.R. Atrofia muscular espinhal: diagnóstico, tratamento e perspectivas futuras. J Pediatr. (Rio J) Vol 86, no4 Porto Alegre July/Aug. 2010. Disponível em: <[http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci\\_arttext&pid=S0021-7557201000400004](http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0021-7557201000400004)>. Acesso em: 18 set. 2024.

<sup>2</sup> ZANOTELI, P. et al. Atrofia Muscular Espinhal (AME) - Diagnóstico e aconselhamento genético. Projeto Diretrizes. Associação Médica Brasileira (AMB). Disponível em: <<https://amb.org.br/wp-content/uploads/2021/08/ATROFIA-MUSCULAR-ESPINHAL-FINAL-01.02.2021.pdf>>. Acesso em: 18 set. 2024.



lentamente progressiva do quadro motor podendo ocorrer perda da capacidade para marcha na evolução da doença, embora a sobrevida seja próxima da normalidade<sup>2</sup>.

## **DO PLEITO**

1. **Risdiplam** é um modificador do *splicing* (maturação) do pré-mRNA de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2) desenvolvido para tratar a atrofia muscular espinhal (AME) causada por mutações no gene SMN1 presente no cromossomo 5q que levam à deficiência na síntese da proteína SMN. A deficiência na proteína SMN funcional é o mecanismo fisiopatológico de todos os tipos de AME. **Risdiplam** aumenta e mantém os níveis funcionais da proteína SMN. Está indicado para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME)<sup>3</sup>.

## **III – CONCLUSÃO**

1. Trata-se de ação por meio da qual, a parte autora, com diagnóstico de **atrofia muscular espinhal tipo 3**, apresenta solicitação médica para tratamento com **Risdiplam**.

2. Cumpre informar que o medicamento pleiteado **Risdiplam apresenta indicação prevista em bula**<sup>3</sup> para o tratamento de **atrofia muscular espinhal**, quadro clínico apresentado pelo Autor.

3. O **Risdiplam 0,75mg/mL** perfaz o grupo de financiamento 1A – medicamento com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecido às Secretarias de Saúde dos Estado e Distrito Federal<sup>4,5</sup>. É **disponibilizado** pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF)<sup>6</sup>, 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.

4. Os medicamentos do CEAF somente serão autorizados e disponibilizados para as doenças descritas na Classificação Internacional de Doenças (CID-10) contempladas. Assim, a doença do Demandante, a saber atrofia muscular espinhal tipo 3, não está dentre as contempladas para a retirada do medicamento pela via do CEAF, impossibilitando a obtenção do mesmo de forma administrativa.

5. Quanto ao quadro clínico do Autor, cumpre esclarecer que a **atrofia muscular espinhal** é uma doença neurodegenerativa, com herança genética autossômica recessiva<sup>1</sup>. **O Autor apresenta atrofia muscular espinhal tipo 3**.

6. Em relação ao tratamento da **atrofia muscular espinhal**, cumpre salientar que, em 15 de maio de 2023, o Ministério da Saúde aprovou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da

<sup>3</sup> Bulas 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: 18 set. 2024.

<sup>4</sup> 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](https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt1554_30_07_2013.html)>. Acesso em: 18 set. 2024.

<sup>5</sup> Ministério da Saúde. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENOME 2022). Disponível em: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/20220128\\_rename\\_2022.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/20220128_rename_2022.pdf)>. Acesso em: 18 set. 2024.

<sup>6</sup> 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: 18 set. 2024.



Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2<sup>7</sup>. Contudo, a **atrofia muscular espinhal tipo 3 constitui um critério de exclusão e, portanto, a doença do Autor não está contemplada para tratamento pelo Protocolo Ministerial<sup>7</sup>.**

7. Acrescenta-se ainda que **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 Brasil<sup>7</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>8</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.

8. 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 raras<sup>9</sup>. Contudo vale ressaltar, que para o tipo de atrofia muscular apresentada pela Requerente, a saber, **atrofia muscular tipo 3**, até o momento, não há publicado pelo Ministério da Saúde Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas<sup>10</sup>.

9. Ressalta-se ainda que o medicamento **Risdiplam** foi analisado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC para o tratamento de **atrofia muscular espinhal tipo 2 e 3**, a qual, recomendou a não incorporação no SUS do Risdiplam para o tratamento da atrofia muscular espinhal tipo 3a.

10. Em recomendação preliminar, os membros do Plenário da CONITEC deliberaram que a matéria fosse disponibilizada em consulta pública com recomendação preliminar não favorável à incorporação no SUS do Risdiplam para o tratamento da AME tipos 2 e 3a. O Plenário considerou que apesar das evidências científicas analisadas serem de boa qualidade, há uma grande incerteza quanto a magnitude e precisão do efeito nos desfechos considerados críticos. O impacto orçamentário mostrando um alto valor ao final de cinco anos, também foi concludente para a recomendação. A matéria foi disponibilizada em consulta pública. Na recomendação final da CONITEC deliberaram por unanimidade recomendar a incorporação ao SUS do Risdiplam para tratamento de pacientes diagnosticados com atrofia muscular espinhal do tipo 2 conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde e deliberaram por unanimidade recomendar a não incorporação ao SUS do Risdiplam para tratamento de pacientes diagnosticados com AME do tipo 3a. Não foram apresentadas novas evidências ou argumentação que alterassem a recomendação preliminar da Comissão para AME tipo 3a<sup>11</sup>.

<sup>7</sup> BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria Conjunta N° 6, de 15 de maio de 2023. 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\\_portariaconjuntanaoatrofiamuscularespinhal5qtipos1e2.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20230522_portariaconjuntanaoatrofiamuscularespinhal5qtipos1e2.pdf)>. Acesso em: 18 set. 2024.

<sup>8</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: 18 set. 2024.

<sup>9</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/relatrio\\_pcdt\\_doenasraras\\_cp\\_final\\_142\\_2015.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatrio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf)>. Acesso em: 18 set. 2024.

<sup>10</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 18 set. 2024.

<sup>11</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde. Relatório de Recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC N°



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

11. O medicamento **Risdiplam** possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), contudo não integra a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais – RENAME<sup>6</sup>.

**É o parecer.**

**Ao 3º Juizado Especial de Fazenda Pública da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**MILENA BARCELOS DA SILVA**

Farmacêutica  
CRF-RJ 9714  
ID. 4391185-4

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**

Assessor-chefe  
CRF-RJ 10.277  
ID. 436.475-02

---

710, fevereiro/2022 – Risdiplam para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) tipo II e III. Disponível em: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2022/20220314\\_relatorio\\_710\\_risdiplam\\_ametipoiiieiii.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2022/20220314_relatorio_710_risdiplam_ametipoiiieiii.pdf)>. Acesso em: 18 set. 2024.