



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 0563/2022

Rio de Janeiro, 31 de março de 2022.

Processo nº 0073028-27.2022.8.19.0001,
ajuizado por ,

neste ato representado por .

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas do 3º **Juizado Especial Fazendário** da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro quanto ao medicamento **Nusinersena 2,4mg/mL** (Spinraza®).

I – RELATÓRIO

1. Para a elaboração deste Parecer Técnico, foram considerados os documentos do Hospital Conde Modesto Leal (fl. 21) emitido em 21 de março de 2022 e Laudo de solicitação de medicamento – LME (fl. 18) emitido em 25 de março de 2022 pela médica e teste genético (fls. 22 e 23) datado em 28 de fevereiro de 2022. Em síntese, trata-se de Autora, 2 anos, apresentando hipotonia, perda de força progressiva, não é capaz de andar sem apoio. Teste genético confirma diagnóstico de **Atrofia Muscular Espinhal Tipo II – AME tipo II**, com deleção em heterozigose do gene SMN1 e 03 cópias do gene SMN2. Sem histórico familiar, não usa ventilação mecânica e não iniciou tratamento específico. Foram prescritos os tratamentos: fisioterapia motora 3 vezes na semana, psicomotricidade 02 vezes na semana, terapia ocupacional 02 vezes na semana; exames complementares de rotina: polissonografia uma vez ao ano, eletrocardiograma e Holter de 02 em 02 anos, exames de sangue de 06 em 06 meses, radiografia panorâmica de coluna de 06 em 06 meses. Vacinas especiais: antipneumocócica 23 valente em 02 doses e anti-influenza anualmente. Órteses suropodálica de polipropileno, não articulada, para uso exclusivo noturno. Foram prescritos os medicamentos Salbutamol 2mg/5ml xarope, administrar 0,2ml de 8 em 8 horas e **Nusinersena 2,4mg/mL** (Spinraza®) administrar 5ml por via intratecal, com três (03) aplicações no primeiro mês, com intervalo de 14 dias (dias 01, 14 e 28). Após trinta dias, fazer uma (01) nova aplicação. Posteriormente, realizar dose de manutenção, com uma (01) aplicação a cada 4 meses. **Classificação Internacional de Doença (CID-10)** citada: **G12 - Atrofia muscular espinal e síndromes correlatas**.

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 Portaria nº 2.979, de 12 de novembro de 2019, institui o Programa Previne Brasil, que estabelece o novo modelo de financiamento de custeio da Atenção Primária à Saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde.

5. 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).

6. 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.

7. 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.

8. 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.

9. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, Anexo XXXVIII, institui 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, rara, 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 homocigótica do gene 1 de sobrevivência do motoneurônio (SMN₁), localizado na região telomérica do cromossomo 5q, sendo que o número de cópias de um gene semelhante a ele (SMN₂), localizado na região centromérica, é o principal determinante da severidade da doença. Essa alteração genética no gene SMN₁ é responsável pela redução dos níveis da proteína de sobrevivência do motoneurônio (SMN). O gene SMN₂ não compensa completamente a ausência da expressão do SMN₁ 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 III, AME juvenil ou doença de Kugelberg-Welander); e tipo IV (AME adulta). A mortalidade e a morbidade são relacionadas diretamente com a idade do início das manifestações.^{1,2}

2. A **AME Intermediária (tipo II ou AME crônica)** apresenta sintomatologia menos intensa, com início das manifestações ocorrendo antes dos 18 meses de vida, sendo o atraso motor o sinal mais evidente, especialmente para sentar-se e para ficar de pé. As crianças são capazes de sentar sem apoio, porém não chegam a deambular. São crianças com uma expressão facial normal, mas com grave comprometimento dos membros, mais facilmente observado nos músculos proximais, especialmente de membros inferiores. Frequentemente se associa com deformidades osteoesqueléticas, tais como retrações musculares e escoliose. Tremor fino postural dos dedos é frequentemente observado, assim como fasciculações na língua e arreflexia tendínea profunda. A sobrevida é variável, com o óbito ocorrendo devido a complicações respiratórias.²

3. A **escoliose** é um desvio lateral que afeta a coluna vertebral nos três planos (frontal, transversal e sagital), podendo ser classificada em idiopática, congênita, neuromuscular, adquirida e decorrentes de malformações ósseas³. A escoliose envolve a modificação estrutural das vértebras e costelas com rotação e deformidade que esteticamente gera transtornos, principalmente em crianças e adolescentes, por seu caráter evolutivo, podendo ainda desencadear complicações futuras mais graves em alguns casos⁴.

DO PLEITO

1. **Nusinersena** (Spinraza[®]) é um oligonucleotídeo anti-senso ou anti-sentido que permite a inclusão do exon 7 durante o processamento do RNA mensageiro de SMN₂, transcrito a partir do DNA (gene SMN₂). Está indicado para o tratamento da atrofia muscular espinhal 5q (AME)⁵.

III – CONCLUSÃO

1. Insta mencionar que foram prescritos, porém não pleiteados: fisioterapia motora, psicomotricidade, terapia ocupacional, polissonografia, eletrocardiograma, holter cardíaco, exames de sangue, radiografia panorâmica de coluna, vacina antipneumocócica 23 valente, vacina anti-influenza, órteses suropodálica de polipropileno não articulada e Salbutamol 2mg/5ml xarope. Motivo pelo qual não será discorrido sobre tais neste parecer.

¹ BAIONI M.T.C., AMBIEL C.R., ET AL, 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=S0021-75572010000400004 <. Acesso em 30 mar. 2022

² 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: 30 mar. 2022.

³ BRITO JÚNIOR, C.A. Alterações posturais. In: LIANZA, S. Medicina de Reabilitação. Editora Guanabara Koogan, 4ª edição. Rio de Janeiro, 2007.

⁴ SALATE, A.C.B.; ARONI, F.C.; FERREIRA, D.M.A. Estudo da evolução a curto prazo da escoliose por meio de mensurações da gibosidade, radiográficas e da dor em adolescentes e adultos jovens. Revista Brasileira de Fisioterapia, v. 7, n. 1. São Carlos, 2003. Disponível em: <<http://www.rbf-bjpt.org.br/files/v7n1/v7n1a06.pdf>>. Acesso em: 30 mar. 2022

⁵ Bula do medicamento Nusinersena (SpinrazaTM) por Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351233501201778/?substancia=26074>>. Acesso em: 30 mar. 2022.



2. Informa-se que o medicamento pleiteado **Nusinersena 2,4mg/mL** (Spinraza[®]), **apresenta indicação em bula**⁵ para tratamento do quadro clínico da Autora.
3. Cabe ressaltar que, considerando que a doença da Autora constitui **doença rara**, neste contexto, 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 tal política⁶ 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.
4. Informa-se que o medicamento **Nusinersena foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) para o tratamento da AME 5q tipo II, com diagnóstico até os 18 meses de idade e conforme Protocolo Clínico. A CONITEC decidiu pela **incorporação do Nusinersena no SUS**⁷.
5. Ressalta-se que foi publicado recentemente o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da AME 5q tipo I e II (Portaria Conjunta SAS/SCTIE nº 03, de 18 de janeiro de 2022⁸). De acordo com a referida Portaria, a Classificação Estatística Internacional de Problemas e Doenças Relacionadas à Saúde (CID-10) configura um dos critérios estabelecidos para a dispensação dos medicamentos, sendo as CIDs contempladas: G12.0 - Atrofia muscular espinal infantil tipo I (Werdnig-Hoffman) e G12.1 - Outras atrofias musculares espinais hereditárias.
6. Informa-se que a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), **disponibiliza** o medicamento **Nusinersena 2,4mg/mL** aos pacientes que **perfazem os critérios de inclusão** do referido Protocolo.
7. Acrescenta-se que, de acordo com o Decreto nº 7646 de 21 de dezembro de 2011, há um prazo de 180 dias, a partir da data de publicação, para efetivar a oferta no SUS. No entanto, em consulta ao Sistema de Gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS (SIGTAP)⁹ na competência de 03/2022, constatou-se que o medicamento **Nusinersena 2,4mg/mL** no momento está disponível apenas para a CID-10, a saber: G12.0 - Atrofia muscular espinal infantil tipo I [Werdnig-Hoffman].
8. Cabe resgatar que, no documento médico acostado (fl. 18), foi relatado que a Autora apresenta diagnóstico de **AME tipo 2** e atribui-se a Classificação Internacional de Doenças (CID-10), a saber: **G12 - Atrofia muscular espinal e síndromes correlatas**, não especificando o subgrupo da classificação.

⁵BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<http://bvsmis.saude.gov.br/bvsmis/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 30 mar. 2022.

⁷BRASIL. Ministério da Saúde/ Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Portaria SCTIE/MS nº 26, de 1º de junho de 2021. Torna pública a decisão de incorporar o nusinersena para tratamento da atrofia muscular espinal 5q tipo II, com diagnóstico até os 18 meses de idade e conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde, e não incorporar o nusinersena para tratamento da atrofia muscular espinal 5q tipo III, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. Disponível em: <<https://www.in.gov.br/en/web/dou/-/portaria-sctie/ms-n-26-de-1-de-junho-de-2021-323566700>>. Acesso em: 30 mar. 2022.

⁸ CONITEC. Portaria conjunta nº03, de 18 de janeiro de 2022. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinal 5q tipos 1 e 2. Disponível em:

<http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20220201_PORTAL_Portaria_Conjunta_3_PCDT_AME_5q_Tipos_IeII.pdf>. Acesso em: 30 mar. 2022.

⁹ SIGTAP - Sistema de Gerenciamento Da Tabela de Procedimentos, Medicamentos E OPM Do SUS, 2022. Disponível em: <<http://sigtap.datasus.gov.br/tabela-unificada/app/sec/procedimento/exibir/0604790015/03/2022>>. Acesso em: 30 mar. 2022.



9. Assim, embora o medicamento prescrito **Nusinersena 2,4mg/mL** (Spinraza[®]) esteja indicado para atrofia muscular espinhal 5q (AME), cabe elucidar que não é possível para este Núcleo inferir se a Autora se enquadra no protocolo de tratamento do Ministério da Saúde, pois não está esclarecida a classificação do quadro clínico atual da Autora, com CID-10, contendo o subgrupo.

10. Acrescenta-se que o medicamento pleiteado **Nusinersena 2,4mg/mL** recentemente incorporado para o tratamento da AME 5q tipo II, com diagnóstico até os 18 meses de idade e conforme PCDT, **ainda não está disponível** a dispensação por meio do CEAF para **AME 5q tipo II, assim o acesso da Autora por via administrativa, no momento, é inviável.**

11. O medicamento pleiteado **Nusinersena 2,4mg/mL** (Spinraza[®]) possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

12. Por fim, quanto à solicitação da Defensoria Pública do Estado do Rio de Janeiro (fls. 16 e 17, item “VII-DO PEDIDO”, “e”) referente à concessão de “*bem como outros medicamentos, produtos complementares e acessórios que se façam necessários ao tratamento da moléstia da Autora*”, vale ressaltar que não é recomendado o fornecimento de novos itens sem emissão de laudo que justifique a necessidade dos mesmos, uma vez que o uso irracional e indiscriminado de medicamentos e tecnologias pode implicar em risco à saúde.

É o parecer.

Ao IV Juizado Especial de Fazenda Pública da comarca de Niterói do Estado do Rio de Janeiro para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

PATRICIA FERREIRA DIAS COSTA

Farmacêutica
CRF-RJ 23437
Mat.: 8542-1

ALINE PEREIRA DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 13065
ID. 4.391.364-4

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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