



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 0564/2022

Rio de Janeiro, 31 de março de 2022.

Processo nº 0073471-75.2022.8.19.0001,
ajuizado por .

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas do **2º Juizado Especial Fazendário** da comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro quanto ao medicamento **Risdiplam** (Evrysdi®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com o laudo médico, emitido em 21 de março de 2022, e receituário não datado (fls. 67 e 68), ambos emitidos por , a Autora está em acompanhamento neurológico devido a grave déficit motor nos 04 membros, com **amiotrofia espinhal progressiva (AME) tipo III**. O quadro é compatível com amiotrofia espinhal, com degeneração muscular intensa e difusa. No momento a Autora encontra-se restrita a cadeira de rodas e é elegível ao tratamento medicamentoso contínuo com **Risdiplam 0,75mg/mL** – 05 mg por dia. Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.1 – outras atrofia musculares espinais hereditárias**.
2. Anexado ao Processo (Evento 1_ANEXO8_Páginas 3 e 4), encontra-se laudo de exame da Mendelics Análise Genômica, emitido em 19 de março de 2020, pelo geneticista evidenciando deleção em homozigose no gene SMN1. Este resultado confirma o diagnóstico de **amiotrofia espinhal (AME)**.

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 de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, na forma do Anexo XXXVIII.

DO QUADRO CLÍNICO

1. A **atrofia muscular espinhal (AME)** é uma doença neurodegenerativa com herança genética autossômica recessiva. A doença é causada por uma deleção ou mutação homocigótica do gene 1 de sobrevivência do motoneurônio (SMN₁), localizado na região telomérica do cromossomo 5q13, 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 classificação clínica da AME é dada pela idade de início e máxima função motora adquirida, sendo então dividida em: 1) severa (tipo I, AME aguda ou doença de Werdnig-Hoffmann); 2) intermediária (tipo II ou AME crônica); 3) branda (**tipo III**, AME juvenil ou doença de Kugelberg-Welander); e 4) tipo IV (AME adulta). Outros autores classificam a AME em apenas três categorias: severa, intermediária e branda¹.

DO PLEITO

1. O **Risdiplam** (Evrysdi®) é um medicamento de uso oral, modificador do *splicing* (maturação) do pré-mRNA de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2) desenvolvido para tratar a **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

¹ BAIONI M.T.C., AMBIEL C.R. Atrofia muscular espinhal: diagnóstico, tratamento e perspectivas futuras. J Pediatr, v. 86, n. 4, p; 261-270, 2010. Disponível em: <<http://www.scielo.br/pdf/jped/v86n4/a04v86n4.pdf>>. Acesso em: 31 mar. 2022.



fisiopatológico de todos os tipos de AME. Está indicado para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME)².

III – CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento **Risdiplam** (Evrysdi®) **possui indicação prevista em bula** para o tratamento da atrofia muscular espinhal – doença que acomete a Autora.
2. No que concerne à disponibilização no âmbito do SUS, ressalta-se que o **Risdiplam** foi incorporado ao SUS para o tratamento da atrofia muscular espinhal tipo I e II, conforme consta nas Portarias SCTIE/MS nº 19/2022 e 17/2022, ambas de 14 de março de 2022. Ressalta-se que a **Conitec recomendou a não incorporação do Risdiplam para o tratamento da atrofia muscular espinhal tipo III, condição clínica da Autora.**
3. Em relação a não incorporação, a Conitec 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.
4. 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 da incorporação, para efetivar a oferta no SUS. Dessa forma, o **Risdiplam ainda não integra** nenhuma relação oficial de medicamentos para dispensação no SUS. Contudo, considerando o supracitado, **estando disponível, a Autora não terá acesso ao medicamento via administrativa.**
5. Destaca-se que recentemente, em 03 de janeiro de 2022, foi publicado pelo Ministério da Saúde o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q, apenas para os tipos 1 e 2 desta doença³.
6. **O tratamento disponível no SUS para o manejo da AME** é uma conduta multidisciplinar, incluindo nutricionistas, enfermeiros, fonoaudiólogos e fisioterapeutas, além de medicamentos utilizados para tratar os sintomas da doença. Não há padronizado no SUS medicamento específico que atue com modificação genética para o tratamento da AME tipo III. Vale ressaltar que a AME é uma doença rara e nenhum dos medicamentos disponíveis no mercado farmacêutico visam curar a doença.
7. Acrescenta-se 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 Raras⁴ 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. Quanto à solicitação da Defensoria Pública do Estado do Rio de Janeiro (fls. 25 e

² Bula do medicamento Risdiplam (Evrysdi®) por Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351116416202041/?nomeProduto=evrysdi>>. Acesso em: 31 mar. 2022.

³ BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q Tipo 1 e 2. Disponível em: <http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20220201_PORTAL_Portaria_Conjunta_3_PCDT_AME_5q_Tipos_II.pdf>. Acesso em: 31 mar. 2022.

⁴ BRASIL. 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: 31 mar. 2022.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

26, item “VII”, subitens “b” e “e”), referente ao fornecimento de “...outros medicamentos e produtos complementares e acessórios que, no curso da demanda, se façam necessários ao tratamento da moléstia da Autora...”, cumpre esclarecer que não é recomendado o provimento de novos itens sem laudo que justifique a necessidade destes, tendo em vista que o uso irracional e indiscriminado de tecnologias pode implicar em risco à saúde.

É o parecer.

Ao 2º Juizado Especial Fazendário da comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

GLEICE GOMES T. RIBEIRO

Farmacêutica
CRF-RJ 13.253
Matr: 5508-7

VANESSA DA SILVA GOMES

Farmacêutica
CRF- RJ 11538
Mat.4.918.044-1

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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