



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 0264/2023

Rio de Janeiro, 15 de fevereiro de 2023.

Processo nº 0806449-16.2023.8.19.0038,
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **6ª Vara Cível** da Comarca de Nova Iguaçu quanto ao medicamento **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®).

I – RELATÓRIO

1. Por serem suficientes para elaboração do presente parecer técnico, foram considerados os documentos do Instituto Nacional Fernandes Figueira (index: 45075182, fls. 3 a 6), emitidos em 30 de novembro de 2022 pelo médico 2.

Em síntese, trata-se de Autor com 04 anos de idade, que apresenta diagnóstico de síndrome malformativa associada a nanismo tipo **acondroplasia**, confirmado por estudo radiológico e estudo genético molecular, o qual revelou a presença de mutação do gene G380R, no gene FGFR3. Apresenta baixa estatura para a idade, desproporção dos membros, macrocefalia, fronte bastante saliente, teço médio da face hipoplásico, importante hiper mobilidade das mãos e pés e lordose com horizontalização do sacro, acromicria das mãos e pés, e compressão da junção crânio cervical, com recomendação a conduta expectante. Há queixas relacionadas ao sono, por conta de roncos contínuos. Suas epífises não estão fechadas. Deve fazer uso do medicamento **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo®), por via subcutânea. Classificação Internacional de Doenças (CID-10) citadas: **Q87.1 - Síndromes com malformações congênitas associadas predominantemente com nanismo** e **Q77.4 - Acondroplasia**.

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 Portaria Gabinete nº. 244/2021, da Secretaria Municipal de Saúde da Cidade de Nova Iguaçu, dispõe sobre a instituição da Relação Municipal de Medicamentos Essenciais, REMUME - Nova Iguaçu.
9. 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.
10. 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 **acondroplasia** é a forma mais comum de displasia esquelética em humanos. É uma doença genética autossômica dominante causada por mutações genéticas, e apesar da incidência ao nascimento ser incerta estima-se que a ocorrência seja de um em cada 10.000 e um em 30.000 nascimentos, e acomete cerca de 250.000 pessoas em todo o mundo. Clinicamente a **acondroplasia** é caracterizada pelo tronco longo e estreito, os membros são curtos, principalmente na região proximal (rizomélico), a cabeça é grande com protuberância frontal e a porção medial da face é hipoplásica. Observa-se hiperextensão das articulações, principalmente de joelho e mãos, que também são curtas e apresentam os dedos largos. Na infância é comum a criança apresentar uma hipotonia leve a moderada, em muitos casos a hipotonia é secundária à compressão da medula espinhal na região cervical, que contribui para o atraso do desenvolvimento motor. O estreitamento do forame magno e a estenose espinhal são relativamente comuns e frequentemente requerem correções neurocirúrgicas¹.

DO PLEITO

¹ BRASIL. 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 fev. 2023.



1. **Vosoritida** (Voxzogo[®]) é um peptídeo natriurético tipo C (CNP) modificado, indicado para o tratamento da acondroplasia em pacientes com idade igual ou superior a 2 anos, cujas epífises não estão fechadas. O diagnóstico de acondroplasia deve ser confirmado por testes genéticos apropriados².

III – CONCLUSÃO

1. Inicialmente, cabe atentar que o Autor, menor de idade - 04 anos, está postulando judicialmente sem representação, conforme petição inicial (index 45075181). Observação feita, informa-se que o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]) **possui indicação**, que consta em bula², para o quadro clínico apresentado pelo Autor - **acondroplasia com epífises não fechadas**, conforme relato médico (index: 45075182).

2. No que tange à disponibilização do **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo[®]) pelo Sistema Único de Saúde (SUS), destaca-se que o citado fármaco **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação, no âmbito do Município de Nova Iguaçu e do Estado do Rio de Janeiro.

3. Até o presente momento, tal medicamento **não foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – Conitec, para o tratamento da **acondroplasia**³.

4. Acrescenta-se que a **acondroplasia** é uma doença genética rara. Nesse sentido, 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, instituindo 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.

5. Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (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 raras⁵. Entretanto, ainda **não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**⁶ publicado pelo SUS **para o manejo da acondroplasia**.

6. Em consulta às bases de dados científicas, verificou-se que os métodos para o tratamento da **acondroplasia** podem ser agrupados em terapias cirúrgicas e farmacológicas. A intervenção cirúrgica consiste no alongamento dos membros inferiores com aparelho de *Ilizarov*

² Informações sobre o medicamento Vosoritida (Voxzogo[®]) por BioMarin International Limited. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=VOXZOGO>>. Acesso em: 15 fev. 2023.

³ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao>>. Acesso em: 15 fev. 2023.

⁴ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria n° 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 15 fev. 2023.

⁵ 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: <http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/Relatorio_PCDT_DoenasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf>. Acesso em: 15 fev. 2023.

⁶ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>>. Acesso em: 15 fev. 2023.



ou fixador externo monolateral. Tal terapia envolve múltiplos procedimentos passíveis de complicações graves⁷.

7. 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 para o tratamento da **acondroplasia**⁸.

8. Destaca-se que o medicamento **Vosoritida** foi registrado como um **produto biológico novo** (medicamento biológico que contém molécula com atividade biológica conhecida, ainda não registrada no Brasil). Assim, seu registro foi aprovado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) em 29 de novembro de 2021.⁹ Ademais, por se tratar de uma necessidade médica não atendida atualmente, este produto foi **priorizado** de acordo com os critérios da Resolução – RDC N° 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 medicamentos².

É o parecer.

À 6ª Vara Cível da Comarca de Nova Iguaçu, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

HELENA TURRINI

Farmacêutica
CRF-RJ 12.112
Matrícula: 72.991

VANESSA DA SILVA GOMES

Farmacêutica
CRF- RJ 11538
Mat.4.918.044-1

⁷ WROBEL W, PACH E, BEN-SKOWRONEK I. Advantages and Disadvantages of Different Treatment Methods in Achondroplasia: A Review. *Int J Mol Sci* . 2021;22(11):5573. Disponível em:

<<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8197470/>>. Acesso em: 15 fev. 2023.

⁸ PAULI, 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 fev. 2023.

⁹ MINISTÉRIO DA SAÚDE. Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA Voxzogo (vosoritida): novo registro. Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/voxzogo-vosoritida-novo-registro>>. Acesso em: 15 fev. 2023.