



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 1160/2023

Rio de Janeiro, 12 de junho de 2023.

Processo nº 0810409-29.2023.8.19.0054,
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **3ª Vara Cível da Comarca de São João de Meriti** da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Nusinersena** (Spinraza®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com o laudo e receituário médico do Hospital Universitário Gafrée e Guinle (57840904 - Pág. 6 e 7), emitidos pela médica datados em 04 de maio de 2023, a Autora, tem diagnóstico clínico de **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 4, apresentando pouca mobilização dos membros inferiores.** O médico assistente participa que a doença está em progressão. Visando impedir a evolução do quadro foi prescrito ao Requerente: **Nusinersena** (Spinraza®) 12mg, via intratecal, por tempo indeterminado. Administração de 04 infusões nos primeiros 2 meses, seguido de 01 dose a cada 04 meses. Foi citado o seguinte código da Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.1 – Outras atrofias 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 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 nº 027 de 22 de maio de 2013 da Secretaria Municipal de Saúde da Cidade de São João de Meriti institui a Relação Municipal de Medicamentos, REMUME - São João de Meriti.
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. As **atrofias musculares espinhais (AME)** são um grupo diverso de desordens genéticas que afetam o neurônio motor espinhal. As diferentes formas de AME estão associadas a numerosas mutações genéticas e significativa variabilidade fenotípica. A AME 5q é a forma mais comum entre esse grupo de doenças neuromusculares hereditárias autossômicas recessivas caracterizadas pela degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e tronco encefálico. 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 vivos¹.
2. A **AME** é uma doença neuromuscular de manifestação clínica variável, genética e rara. É subdividida clinicamente em cinco tipos (AME tipos 0, 1, 2, 3 e 4), definidos pela idade de aparecimento dos sintomas e pelas habilidades motoras alcançadas. Assim, pessoas com a mesma doença podem apresentar níveis de acometimento e manifestações clínicas diferentes, como indivíduos que não conseguem se sentar de forma independente, indivíduos que se sentam, mas não andam, ou indivíduos que andam, mas que podem perder essa habilidade com a progressão da doença. Apesar das diferenças clínicas, pessoas com todos os tipos de **AME** têm a mesma doença, os sinais e sintomas são causados pela disfunção e morte de neurônios motores devido à diminuição da quantidade funcional de proteína SMN².
3. A **AME tipo 4** também conhecida como forma mais branda da doença é também uma das mais raras, representando menos de 5% dos novos casos. Na maioria das vezes, os primeiros sintomas aparecem a partir da segunda ou terceira década de vida. Pessoas com AME tipo 4 não apresentam dificuldades respiratórias ou de alimentação. Possui dificuldades motoras podendo apresentar hipotonia e reflexos musculares diminuídos, apresentando dificuldades, por exemplo, para subir e descer escadas ou para se levantar do

¹ BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta N° 03, de 18 de janeiro de 2022. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos I e II. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20220201_portal_portaria_conjunta_3_pcdt_ame_5q_tipos_ieii.pdf>. Acesso em: 12 jun. 2023.



chão. No entanto, levam a vida muito semelhante à população sem a doença. Estes pacientes apresentam uma expectativa de vida semelhante à da população sem a doença.²

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)³. Salienta-se que pacientes com diagnóstico de AME com fenótipos clínicos Tipo 0 e **Tipo 4** não foram incluídos no programa de desenvolvimento de estudos clínicos envolvendo o **Nusinersena**, portanto a decisão do tratamento utilizando o referido medicamento deve ser baseada na avaliação individual feita pelo médico³.

III – CONCLUSÃO

1. Trata-se de Autora com **atrofia muscular espinhal tipo 4**, atualmente apresenta pouca mobilização dos membros inferiores, com solicitação médica para tratamento com **Nusinersena** (Spinraza[®]) a fim de impedir a progressão do quadro clínico.

2. Diante do exposto, informa-se que o pleito **Nusinersena** (Spinraza[®]), trata-se de medicamento **com indicação prevista em bula**³ para tratamento da atrofia muscular espinhal 5q (AME), doença que acomete a Autora.

3. No que tange à disponibilização através do SUS, o **Nusinersena** (Spinraza[®]) é ofertado pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) 5q, apenas dos tipos 1 e 2, conforme disposto na Portaria Conjunta nº 03, de 18 de janeiro de 2022, que aprova a sua incorporação⁴ e conforme os critérios previstos no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2¹. Contudo, **a Autora possui AME do tipo 4**.

4. Por conta disso, a dispensação do medicamento **Nusinersena** (Spinraza[®]), ainda **não está contemplada** para o tipo de AME apresentada da Autora, conforme as políticas públicas supracitadas.

5. Salienta-se que este Núcleo **não identificou Protocolo Clínico de Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**⁵, publicado ou em elaboração⁶ para atrofia muscular

² IQVIA. Guia de discussão sobre a Atrofia Muscular Espinhal (AME) no Brasil. <https://br.biogen.com/content/dam/corporate/pt_BR/refresh_images/Livro_Brasil_novembro2019.pdf>. Acesso em: 12 jun. 2023.

³ ANVISA. Bula do medicamento Nusinersena (Spinraza[®]) por Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=169930008>>. Acesso em: 12 jun. 2023.

⁴ BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Portaria Conjunta nº03, de 18 de janeiro de 2022. Disponível em: <https://bvsmis.saude.gov.br/bvsmis/saudelegis/saes/2022/poc0003_31_01_2022.html>. Acesso em: 12 jun. 2023.

⁵ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/pcdt-em-elaboracao-1>>. Acesso em: 12 jun. 2023.

⁶ BRASIL. 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/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 12 jun. 2023.

⁷ 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://docs.bvsalud.org/biblioref/2017/11/874983/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 12 jun. 2023.



espinhal (AME) **tipo 4**. Portanto, ainda não há listas de tratamentos a serem recomendados nestas circunstâncias.

6. O **Nusinersena** foi **avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias – CONITEC, que decidiu pela recomendação de **incorporar o nusinersena para tratamento da atrofia muscular espinhal tipo I e II**, no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS⁶.

7. Insta ainda dizer que, considerando que a doença do Autor 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 política⁷ 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. Ademais, 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 raras⁷.

9. O medicamento pleiteado possui registro ativo junto à Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

É o parecer.

À 3ª Vara Cível da Comarca de São João de Meriti da Seção Judiciária 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