



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 2368/2023

Rio de Janeiro, 23 de outubro de 2023.

Processo nº 0805480-43.2023.8.19.0024,
ajuizado por
representado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **2ª Vara Cível** da Comarca de Itaguaí do Estado do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **vosoritida 0,56mg** (VoxzogoTM).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documentos médicos do Instituto de Puericultura e Pediatria Martagão Gesteira (Num. 77260853 - Pág. 5 a 9), emitidos em 18 de janeiro de 2023, por - o Autor, 6 anos de idade (DN:03/03/2017), tem acondroplasia, com quadro de baixo ganho pênodo estatural, macrocrania, fronte proeminente, palato ogival, encurtamento rizomélico de membros superiores, mãos em tridente, escápulas aladas, joelhos varos, mãos e pés pequenos proporcionalmente, A estatura encontra-se abaixo do Z score -3 para idade e sexo. Peso encontra-se abaixo do Z score -3 para peso e idade. Apresenta baixa estatura desproporcional e patológica, com comprometimento significativo a vida independente, prejuízo social e do uso de recursos da comunidade. Além, apresenta ectasia do sistema ventricular. A sua cognição é preservada, um diferencial social de grande relevância. Portanto, a terapia com o **vosoritida** (VoxzogoTM) que estimula o ganho estatural, pode contribuir para melhor qualidade de vida e desempenho social. Sendo assim, foi indicado a terapia com o medicamento **vosoritida 0,56mg** (VoxzogoTM) – reconstituir 1 frasco em 0,7 mL de solvente (concentração de 0,8mg/mL) e aplicar 0,35mL desta solução 1 vez ao dia.

2. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **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. No tocante ao Município de Itaguaí, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais – REMUME - Itaguaí 2016.
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 **Acondroplasia**, considerada uma doença rara, o tipo mais comum de nanismo desproporcional é uma síndrome genética que impede o crescimento normal dos ossos longos (fêmur e úmero, especialmente), porque acelera o processo de ossificação das cartilagens formadoras de ossos. Isso faz com que as diferentes partes do corpo cresçam de maneira desigual¹. O crescimento dos ossos é determinado por vários fatores que vão desde a herança genética às alterações na produção hormonal. O crescimento se dá até o **fechamento das cartilagens ósseas**. O fechamento das cartilagens ósseas (**epífises**), ocorre no final da puberdade, em geral, entre 15 e 20 anos de idade².
2. Nos indivíduos com acondroplasia, os sintomas típicos são: baixa estatura; pernas e braços curtos, especialmente se comparados com o tamanho normal do tronco; cabeça grande (macrocefalia), com testa proeminente e achatamento na parte de cima do nariz; dedos curtos e grossos; mãos pequenas; pés planos, pequenos e largos; arqueamento das pernas; mobilidade comprometida na articulação do cotovelo; cifose e lordose (problemas de curvatura na coluna vertebral) acentuadas; deslocamento da mandíbula para a frente; desalinhamento dos dentes; demora para começar a caminhar, o que pode ocorrer entre os 18 e os 24 meses de idade. Quando a baixa estatura está correlacionada com a ausência ou a pequena produção do hormônio do

¹BRASIL. Ministério da Saúde. Biblioteca Virtual em Saúde. Nanismo. Publicado: terça, 30 de junho de 2020, 08h35. Disponível em: <<http://bvsm.s.saude.gov.br/dicas-em-saude/3219-nanismo>>. Acesso em: 23 out. 2023.

²BRASIL. 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: 03 out. 2023.



crescimento (GH), a administração desse hormônio já demonstrou produzir efeitos benéficos. O tratamento pode estender-se por vários anos e deve ser acompanhado de perto por um médico especialista na área, porque podem ocorrer reações adversas ao uso do medicamento¹. Estima-se que a ocorrência seja de 01 em cada 10.000 e 01 em 30.000 nascimentos, e acomete cerca de 250.000 pessoas em todo o mundo². Para a acondroplasia ainda não existe um tratamento específico que possibilite reverter o quadro, porém, a atenção a essa enfermidade deve ser multidisciplinar e os cuidados precoces são essenciais¹.

DO PLEITO

1. A **vosoritida** (VoxzogoTM) é um peptídeo natriurético modificado tipo C (CNP), atua como um regulador positivo do crescimento endocondral do osso, pois promove a proliferação e diferenciação dos condrócitos. Está indicado para o tratamento da acondroplasia em pacientes pediátricos a partir de 6 meses de idade cujas e **epífises não estão fechadas**. O diagnóstico de acondroplasia deve ser confirmado por teste genético apropriado³.

III – CONCLUSÃO

1. O Autor com 6 anos, apresenta diagnóstico de **acondroplasia**, sendo indicado **vosoritida** (VoxzogoTM), via subcutânea, pode ser feita enquanto mantém epífises ósseas em crescimento (cartilagem de crescimento) e deve ser interrompido após confirmação de que não existem mais epífises em crescimento.

2. Neste sentido, cumpre informar que o medicamento pleiteado **vosoritida** (VoxzogoTM) **possui indicação em bula**³ para o tratamento da acondroplasia, em pacientes pediátricos a partir de 6 meses de idade e cujas **epífises não estão fechadas, caso clínico apresentado pelo Autor**.

3. No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, informa-se que **vosoritida** (VoxzogoTM) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Itaguaí e Estado do Rio de Janeiro.

4. Destaca-se que o medicamento pleiteado **vosoritida**, até o presente momento, **não foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC⁴.

5. Acrescenta-se que a acondroplasia é considerada uma doença rara, que acomete cerca de 1 a cada 25000 pessoas¹. 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 Raras⁵ 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.

³Bula do medicamento Vosoritida (Voxzogo[®]) por BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=VOXZOGO>>. Acesso em: 23 out. 2023.

⁴Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 23 out. 2023.

⁵BRASIL, 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>. Acesso em: 23 out. 2023.



6. 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 raras⁶. Entretanto, ainda **não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**⁷ publicado para o manejo da **acondroplasia**.
7. Em consulta as bases de dados científicas, informa-se que os métodos para o tratamento da **acondroplasia** podem ser agrupados em **terapias cirúrgicas** e **farmacológicas**⁸.
8. A **intervenção cirúrgica** consiste no alongamento dos membros inferiores com aparelho de *Ilizarov* ou fixador externo monolateral. Tal terapia envolve múltiplos procedimentos passíveis de complicações graves⁸.
9. Dentre as **terapias farmacológicas**, o hormônio de crescimento humano 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 (ANVISA) para o tratamento da acondroplasia^{3,8,9}.
10. Destaca-se a importância da avaliação periódica do Autor a fim de avaliar a resposta, caso ocorra o tratamento com o medicamento **vosoritida** (VoxzogoTM).
11. O medicamento pleiteado apresenta registro ativo na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).
12. Por fim, quanto à solicitação da Defensoria Pública do Estado do Rio de Janeiro (Num. 77259050 - Págs. 9/10, item “III”, subitem “g”) referente ao provimento de “...*bem como outros medicamentos e produtos complementares e acessórios que, no curso da demanda, se façam necessários ao tratamento da moléstia da parte 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.

À 2ª Vara Cível da Comarca de Itaguaí 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

⁶CONITEC. 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/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 23 out. 2023.

⁷Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: < <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 23 out. 2023.

⁸WROBEL W, PACH E, BEN-SKOWRONEK I. Advantages and Disadvantages of Different Treatment Methods in Achondroplasia: A Review. Int J Mol Sei. 2021;22(11):5573. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8197470/>>. Acesso em: 23 out. 2023.

⁹PAULI, 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: 23 out. 2023.