

## **NOTA TÉCNICA Nº 0170/2025 - NAT-JUS/SP**

### **1. Identificação do solicitante**

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]  
1.2. Processo nº: 5005881-96.2024.4.03.6114  
1.3. Data da Solicitação: 19/12/2024  
1.4. Data da Resposta: 30/01/2025

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 29/05/2024 - 0 ano  
2.2. Sexo: M  
2.3. Cidade/UF: São Bernardo do Campo/SP  
2.4. Histórico da doença: Atrofia Muscular Espinhal Tipo I (CID 10: G12.1)

### **3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)**

#### **Tema 6 do STF**

- 1. Negativa do fornecimento do medicamento na via administrativa – ( ) SIM ( x ) NÃO**
- 2. Impossibilidade de substituição por outro medicamento constante nas listas do SUS e dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas ( ) SIM ( x ) NÃO**
- 3. Comprovação, à luz da medicina baseada em evidências, da eficácia, acurácia, efetividade e segurança do fármaco, necessariamente respaldadas por evidências científicas de alto nível, ou seja, unicamente ensaios clínicos randomizados e revisão sistemática ou meta-análise ( ) SIM ( x ) NÃO**
- 4. Imprescindibilidade clínica do tratamento, comprovada mediante laudo médico fundamentado, descrevendo inclusive qual o tratamento já realizado ( ) SIM ( x ) NÃO**

### **4. Descrição da Tecnologia**

- 4.1. **Tipo da tecnologia: Medicamento ZOLGENSMA( onasemnogene abeparvovec-xioi)**  
2,0 x 10<sup>3</sup> vector genomes/mL – kit para 5.5kg de peso  
Posologia - Infundir em seringa com bomba de infusão em 60 minutos
- 4.2. Princípio Ativo: onasemnogene abeparvovec-xioi  
4.3. Registro na ANVISA: Sim, há registro, conforme Resolução Nº 3.061, de 14 de agosto De 2020. A autorização foi dada em caráter excepcional, o que implica a necessidade da realização de estudos adicionais acerca de sua eficácia.  
4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: Não  
4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para AME 5q tipo 1, publicado em outubro de 2019 pelo

Ministério da Saúde, prevê o uso do medicamento Nusinersena para tratamento da doença no âmbito do SUS.

4.6 Preço máximo de venda ao Governo (ICMS 0%): ONASEMNOGENO ABEPARVOVEQUE 2,0X10E13 GV/ML SUS INJ CT 2 FA PLAS TRANS X 8,3ML – R\$ 6.232.257.93

4.7. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços da ANVISA/CMED. Referência janeiro/2025.

Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>

4.8. Recomendações da CONITEC: Não consta, até o presente momento, solicitação de incorporação do medicamento para tratamento da doença que acomete a parte autora no âmbito do Sistema Único de Saúde.

## **5. Discussão e Conclusão**

A atrofia muscular espinhal (AME) é uma doença rara e grave causada pela alteração do gene que codifica a proteína SMN (survival motor neuron), molécula necessária para a sobrevivência do neurônio motor, responsável pelo controle do movimento muscular.

A AME causa fraqueza, hipotonia, atrofia e paralisia muscular progressiva. Possui incidência mundial aproximada de 1:10.000 nascidos vivos, dos quais cerca de 45% a 60% dos casos são AME do tipo 1, forma mais grave da doença, sendo a principal causa de mortalidade infantil decorrente de uma doença monogênica. Clinicamente, a sua patogenia se manifesta por alterações no DNA, no locus do gene de sobrevivência do neurônio motor, localizado no cromossomo.

Os genes de sobrevivência do neurônio motor SMN1 e SMN2 são responsáveis pela síntese de uma proteína fundamental para a manutenção dos neurônios motores. A falta da proteína SMN resulta em degeneração e perda progressiva da função desses neurônios, o que desencadeia todos os sinais e sintomas da doença.

Os indivíduos com AME não têm um gene SMN1 que funcione normalmente e, por isso, dependem do gene SMN2; esse gene, porém, é ineficiente na produção de uma proteína SMN totalmente funcional, necessária para a sobrevivência do neurônio motor. O número de cópias do gene SMN2 é inversamente relacionado ao espectro fenotípico de gravidade clínica.

Crianças com AME tipo 1 apresentam: paralisia flácida simétrica e grave com incapacidade de sustentação do tronco e cabeça; dificuldade para chorar e sugar; fasciculações da língua; dificuldade para respirar progressiva; deformidade progressiva da caixa torácica e dos membros devido à paralisia da musculatura. Essas crianças requisitam suporte nutricional com sondas e gastrostomia, além de suporte ventilatório com o uso de ventilação mecânica e aspiração de líquidos e resíduos presentes na faringe. Algumas crianças apresentam uma sobrevida mais longa, mas espera-se que a maioria faleça até os dois anos de idade por complicações respiratórias.

As opções terapêuticas disponíveis SUS para tratamento da AME incluem terapias não medicamentosas multidisciplinares, como medidas gerais de suporte com intervenções de fisioterapia, cuidados respiratórios, terapia nutricional suplementar,

fonoaudiologia, etc. Em abril de 2019, a CONITEC recomendou a incorporação do Nusinersena, nome comercial Spinraza, para a AME tipo 1 subtipos B/C.

O medicamento nusinersena (Spinraza) foi estabelecido como eficaz para o tratamento de pacientes com AME tipo 1 e teve parecer favorável emitido pela CONITEC, sendo então adotado em âmbito nacional. O medicamento nusinersena (Spinraza) foi capaz de melhorar atividades motoras dessas crianças, tais como sustentação da cabeça, rolar, engatinhar, ficar em pé e andar. Além disso, a medicação mostrou benefício para a redução da taxa de permanência na ventilação mecânica ou óbito. Essa medicação foi aprovada na Anvisa e teve parecer favorável ao seu uso emitido pela CONITEC. O mesmo também ocorreu com o medicamento risdiplam. Pacientes com AME tipo 1 podem ter acesso a esses medicamentos a partir do preenchimento correto de documentos necessários, além das devidas orientações sobre sua aquisição. Detalhes podem ser consultados no PCDT da doença

Segundo relatório de recomendação preliminar de agosto/2022 que avaliou o uso de onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME), os membros da CONITEC deliberaram com recomendação preliminar não favorável à incorporação no SUS do osanemnogeno abeparvoveque para o tratamento da AME, na indicação proposta, na 10ª reunião extraordinária, no dia 17 de agosto de 2022. Como justificativa, o Plenário observou uma incerteza na eficácia comparativa da tecnologia em pacientes maiores de 6 meses e na efetividade de longo prazo com pacientes migrando para outras alternativas terapêuticas sem esclarecer se o motivo foi a falha no tratamento. Também foram apontadas preocupações quanto à segurança do medicamento, que exigiria um acompanhamento próximo e estrito dos pacientes.

Durante a 115ª Reunião Ordinária, a Conitec avaliou informações adicionais sobre a tecnologia, solicitadas à farmacêutica Novartis, e recomendou a incorporação do medicamento para o tratamento de pacientes pediátricos até 6 meses de idade com AME do tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia, conforme protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde (MS) e Acordo de Compartilhamento de Risco. Tal decisão foi ratificada pela PORTARIA SCTIE/MS Nº 172, de 6 de dezembro de 2022. As áreas técnicas terão o prazo máximo de 180 (cento e oitenta) dias para efetivar a oferta no SUS. Porém, recente atualização do PCDT para AME de maio de 2023 não incorporou tal medicamento.

### **Zolgensma**

O Zolgensma é um produto de terapia gênica usado para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME), uma doença rara e grave, causada pela alteração do gene que codifica a proteína SMN, molécula necessária para a sobrevivência do neurônio motor, responsável pelo controle do movimento muscular. Desenvolvido por engenharia genética, é um produto de terapia avançada, do tipo terapia gênica, composto por um vetor viral que carrega uma cópia funcional do gene humano responsável pela produção da proteína SMN, capaz de restaurar a função do neurônio motor no organismo dos pacientes.

O Zolgensma obteve o registro na Anvisa para o tratamento de pacientes pediátricos diagnosticados com AME, com até 2 anos de idade, com as seguintes indicações 5 Indicações na bula

- mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) e diagnóstico clínico de AME do tipo I, ou;
- mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) e até 3 cópias do gene de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2).

O medicamento Zolgensma é uma das opções atualmente disponíveis para o tratamento de crianças com AME tipo 1. Mas, não há evidências suficientes que permitam afirmar que o tratamento é definitivamente necessário, essencial.

Devido às particularidades da doença, do mecanismo de ação da droga e do seu custo, foi estabelecido um termo de compromisso com a empresa produtora (Novartis), assegurando “a realização de estudos complementares de acompanhamento de pacientes brasileiros, de forma a acompanhar o perfil de segurança e de eficácia do produto no país em longo prazo, na perspectiva da avaliação da manutenção do balanço benefício x risco positivo, como atestado no registro” (retirado do site da Anvisa). A execução desse termo de compromisso permitiria melhor compreender a relevância da medicação.

A medicação foi avaliada para o tratamento da AME pela The National Institute for Health and Care Excellence (NICE), sendo publicada a recomendação em 7 de julho de 2021. Nesta recomendação, o onasemnogene-abeparvovec é recomendado como uma opção para o tratamento de atrofia muscular espinhal 5q (AME) com uma mutação bialélica no gene SMN1 e um diagnóstico clínico de AME tipo 1 em bebês, somente se: paciente tem 6 meses ou menos, ou se tiver entre 7 a 12 meses de idade e o tratamento é aprovado pela equipe multiprofissional nacional. Só é recomendado para esses grupos se: ventilação permanente por mais de 16 horas por dia ou traqueostomia não é necessária e a empresa fornece conforme acordo comercial.

Para bebês de 7 a 12 meses, a equipe nacional multidisciplinar deve desenvolver critérios auditáveis para permitir que onasemnogene-abeparvovec seja alocado a bebês nos quais o tratamento lhes dará pelo menos 70% de chance de serem capazes de sentar-se independentemente. Também é recomendado como uma opção para o tratamento de AME 5q pré-sintomático com uma mutação bialélica no gene SMN1 e até 3 cópias do gene SMN2 em bebês. Algumas crianças podem ser diagnosticadas com AME antes que os sintomas apareçam se um irmão tiver sido diagnosticado com AME. Segundo a comissão, para bebês com tipo 1 que têm 6 meses ou menos no início do tratamento e que não precisam de ventilação permanente por mais de 16 horas por dia ou de traqueostomia, evidências de estudos clínicos sugerem que o onasemnogene-abeparvovec é eficaz. Mas os estudos são pequenos e não comparam o onasemnogene-abeparvovec com outros tratamentos, por isso é difícil estabelecer o quão bem ele funciona. Além disso, há evidências muito limitadas para bebês com AME tipo 1 que têm mais de 6 meses no início do tratamento. No entanto, os especialistas clínicos aconselham que alguns bebês com

idade entre 7 e 12 meses devem ter benefícios semelhantes aos de 6 meses ou menos. Também há uma falta de evidências de longo prazo, e nenhuma evidência em mais AME tipo 1 progredido. Devido à incerteza nos dados clínicos, as estimativas de custo-efetividade do onasemnogene-abeparvovec para o tratamento de AME tipo 1 são incertas.

Não há evidências disponíveis para o tratamento com onasemnogene-abeparvovec em bebês com AME tipo 2 ou 3 com até 3 cópias do gene SMN2. Nem há qualquer evidência de seu uso em bebês com AME tipo 1 tratados com nusinersena. Além disso, não há ensaios clínicos em andamento nessas populações. Portanto, nenhuma recomendação pode ser feita com base na eficácia clínica e de custo do tratamento com onasemnogene-abeparvovec para essas populações.

A Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH) publicou em 26 de março de 2021 a recomendação preliminar de uso do Zolgensma, sendo feita se atendendo a diversos critérios: idade menor que 180 dias (6 meses); não estar em uso de ventilação mecânica ou cuidados permanentes para alimentação; sintomáticos ou pré-sintomáticos com uma a três cópias de um gene SMN2. Outras condições são estar sob assistência especializada e multidisciplinar, assim como redução do preço estabelecido por acordo com o fabricante.

Sobre a análise econômica, o resumo dos resultados obtidos pela CONITEC afirma:

**Avaliação econômica:** Foram construídos dois modelos de Markov separados um para cada comparador, o que impossibilita a construção de uma fronteira de eficiência e torna improdutiva a interpretação dos resultados da avaliação econômica que não pode ser comparado a nenhum parâmetro que mostre que a tecnologia é custo-efetiva ou não. O ICER do Onasemnogeno abeparvovec vs Nusinersena é de R\$883.586/QALY e vs. Risdiplam é de R\$766.549/QALY. Esse resultado é fortemente dependente do horizonte temporal que o demandante considerou ser lifetime, apesar do curto horizonte temporal do estudo. Aforam realizadas análises de sensibilidade para esse parâmetro onde o ICER se mostrou até quase 4 vezes maior.

**Análise de impacto orçamentário:** A análise de impacto orçamentário ao final de 5 anos somou R\$ 2.851.704.927,00 para atender uma média de 410 pacientes ao longo do período. A variação do impacto anual foi de R\$347 milhões no primeiro ano a R\$493 milhões no quinto ano com o market share mais avançado. O

demandante utilizou uma taxa de diagnóstico de 50% no primeiro ano, que aumentaria 5% ao ano até o final do horizonte como premissa da análise. Não foi exposto embasamento técnico para essa premissa, que pode subestimar os resultados do modelo.

Para efeitos comparativos, o maior hospital público do país, o Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo, durante o ano de 2019, teve

receita de 2,6 bilhões de reais para gerir 9 instituições hospitalares, cerca de 20 mil colaboradores, 105 salas cirúrgicas e 2.500 leitos, realizando cerca de 1,4 milhões de consultas ambulatoriais, 184 mil atendimentos de urgência, 12 milhões de exames laboratoriais, 70 mil internações e 47 mil cirurgias.

Não foram encontrados estudos que tenham comparado diretamente as duas medicações, de maneira que se possa avaliar uma superioridade ou uma não-inferioridade. Existe apenas um estudo que compara dados de diferentes trabalhos para tentar esboçar uma discussão nesse sentido. Apesar disso, sua qualidade é muito baixa porque os trabalhos tinham perfis muito distintos de desenho científico/estatístico, incluindo pacientes com diferentes tempos da doença.

### **5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:**

O Zolgensma foi elaborado com a proposta de ser uma terapêutica curativa definitiva para a AME, haja vista que a criança que possui a AME tipo 1 não possui a cópia do gene SMN1 (proteína neuro motora). Os estudos clínicos sugerem que o tratamento pode melhorar a sobrevivência dos pacientes, reduzir a necessidade de ventilação permanente para respirar e alcançar marcos de desenvolvimento motores.

### **5.3. Parecer**

- ( ) Favorável  
( X ) Desfavorável

### **5.4. Conclusão Justificada:**

O tratamento multidisciplinar com fisioterapia, fonoaudiologia, nutricionista, além do suporte ventilatório, é o pilar terapêutico da AME, com vistas a melhorar a qualidade de vida do paciente, sem perspectiva curativa. Independentemente do uso de quaisquer das terapias aqui discutidas, nusinersena ou zolgensma, a requerente necessitará desses cuidados por toda a vida.

Devido ao altíssimo custo do medicamento e suas evidências científicas, uma extensa análise da CONITEC e uma negociação com a empresa produtora permitiu a elaboração de um documento que prevê a indicação do medicamento de acordo com a melhor evidência científica e com um valor reduzido ao erário.

Infelizmente, ainda não há atualização do PCDT na qual já conste o medicamento, apesar de o parecer da CONITEC ter sido elaborado em dezembro de 2022. Neste parecer, sugere-se a incorporação do medicamento para pacientes com AME tipo 1 até 6 meses de idade e sem ventilação mecânica (neste caso, o paciente já tinha mais de 6 meses de idade na época de elaboração do relatório médico).

O parecer é contrário ao uso do medicamento pelo seu alto custo, baixa relação custo-benefício clínico, limitados dados científicos e pelo paciente não se enquadrar nos

critérios estabelecidos pelo documento já elaborado pela CONITEC, além de haver a possibilidade de uso de outros medicamentos disponibilizados pelo PCDT.

A Novartis (empresa produtora da medicação) assinou um termo de compromisso assumindo a obrigação de envio de análises sobre a efetividade do tratamento e a promoção de ensaios clínicos com pacientes brasileiros. A pesquisa na internet não retornou informações sobre esses ensaios clínicos até o momento (o medicamento foi aprovado em agosto de 2020).

Assim, ao se falar em imprescindibilidade do Zolgensma, deve-se ponderar o fato de que se trata de uma medicação inovadora, mas ainda com nível de evidência a médio e longo prazo ainda não conhecido, tanto relacionado à segurança quanto à eficácia.

O Zolgensma foi lançado pela indústria farmacêutica no mercado como primeira terapia gênica, com uma única infusão do medicamento custando mais de US\$2 milhões, a droga mais cara do mundo. As promessas incluem, além de uma possível cura da doença, melhorar a sobrevivência dos pacientes, reduzir a necessidade de ventilação permanente para respirar e alcançar marcos de desenvolvimento motores. Entretanto, a sua aprovação se baseou em estudos de baixa qualidade metodológica, com pacientes que receberam o tratamento antes dos 06 meses de vida, e sem grupo comparador, especialmente em relação ao principal medicamento disponível para tratamento da AME no mercado, o Spiranza.

Em relação ao Spiranza, a CONITEC concluiu que há benefício modesto do seu uso em relação ao controle para pacientes com AME 5q tipo I, ou seja, de início precoce, com idade inferior a seis meses no início dos sintomas e até sete meses no início do tratamento. Essas limitações tornam incerta a avaliação da eficácia e segurança do Zolgensma a longo prazo.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

- ( ) SIM, com potencial risco de vida  
 ( ) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função  
 ( X ) NÃO

Réu:

- ( X ) SUS  
 ( ) Plano de Saúde

#### 5.5. Referências bibliográficas:

[https://www.hc.fm.usp.br/images/pdf/superintendencia/relatorios/Relatorio\\_Atividades\\_HC\\_2019.pdf](https://www.hc.fm.usp.br/images/pdf/superintendencia/relatorios/Relatorio_Atividades_HC_2019.pdf)

Mendell JR, Al-Zaidy S, Shell R, Arnold WD, Rodino-Klapac LR, Prior TW, Lowes L, Alfano L, Berry K, Church K, Kissel JT, Nagendran S, L'Italien J, Sproule DM, Wells C, Cardenas JA,

Heitzer MD, Kaspar A, Corcoran S, Braun L, Likhite S, Miranda C, Meyer K, Foust KD, Burghes AHM, Kaspar BK. Single-Dose Gene-Replacement Therapy for Spinal Muscular Atrophy. *N Engl J Med*. 2017 Nov 2;377(18):1713-1722. doi: 10.1056/NEJMoa1706198. PMID: 29091557.

Sugarman EA, Nagan N, Zhu H, Akmaev VR, Zhou Z, Rohlfs EM, Flynn K, Hendrickson BC, Scholl T, Sirko-Osadsa DA, Allitto BA. Pan-ethnic carrier screening and prenatal diagnosis for spinal muscular atrophy: clinical laboratory analysis of >72,400 specimens. *Eur J Hum Genet*. 2012 Jan;20(1):27-32. doi: 10.1038/ejhg.2011.134. Epub 2011 Aug 3. PMID: 21811307; PMCID: PMC3234503.

Verhaart IEC, Robertson A, Wilson IJ, Aartsma-Rus A, Cameron S, Jones CC, Cook SF, Lochmüller H. Prevalence, incidence and carrier frequency of 5q-linked spinal muscular atrophy - a literature review. *Orphanet J Rare Dis*. 2017 Jul 4;12(1):124. doi: 10.1186/s13023-017-0671-8. PMID: 28676062; PMCID: PMC5496354.

Darrow JJ, Sharma M, Shroff M, Wagner AK. Efficacy and costs of spinal muscular atrophy drugs. *Sci Transl Med*. 2020 Nov 11;12(569):eaay9648. doi: 10.1126/scitranslmed.aay9648. PMID: 33177183.

Mostacciuolo ML, Danieli GA, Trevisan C, Müller E, Angelini C. Epidemiology of spinal muscular atrophies in a sample of the Italian population. *Neuroepidemiology*. 1992;11(1):34-8. doi: 10.1159/000110905. PMID: 1608493.

Hoy SM. Onasemnogene Abeparvoec: First Global Approval. *Drugs*. 2019 Jul;79(11):1255-1262. doi: 10.1007/s40265-019-01162-5. PMID: 31270752.

Kirschner J, Butoianu N, Goemans N, Haberlova J, Kostera-Pruszczyk A, Mercuri E, van der Pol WL, Quijano-Roy S, Sejersen T, Tizzano EF, Ziegler A, Servais L, Muntoni F. European ad-hoc consensus statement on gene replacement therapy for spinal muscular atrophy. *Eur J Paediatr Neurol*. 2020 Sep;28:38-43. doi: 10.1016/j.ejpn.2020.07.001. Epub 2020 Jul 9. PMID: 32763124; PMCID: PMC7347351.

Al-Zaidy SA, Kolb SJ, Lowes L, Alfano LN, Shell R, Church KR, Nagendran S, Sproule DM, Feltner DE, Wells C, Ogrinc F, Menier M, L'Italien J, Arnold WD, Kissel JT, Kaspar BK, Mendell JR. AVXS-101 (Onasemnogene Abeparvoec) for SMA1: Comparative Study with a Prospective Natural History Cohort. *J Neuromuscul Dis*. 2019;6(3):307-317. doi: 10.3233/JND-190403. PMID: 31381526.

Malone DC, Dean R, Arjunji R, Jensen I, Cyr P, Miller B, Maru B, Sproule DM, Feltner DE, Dabbous O. Cost-effectiveness analysis of using onasemnogene abeparvoec (AVXS-101) in spinal muscular atrophy type 1 patients. *J Mark Access Health Policy*. 2019 May 8;7(1):1601484. doi: 10.1080/20016689.2019.1601484. PMID: 31105909; PMCID: PMC6508058.

Dabbous O, Maru B, Jansen JP, Lorenzi M, Cloutier M, Guérin A, Pivneva I, Wu EQ, Arjunji R, Feltner D, Sproule DM. Survival, Motor Function, and Motor Milestones: Comparison of AVXS-101 Relative to Nusinersen for the Treatment of Infants with Spinal Muscular Atrophy Type 1. *Adv Ther.* 2019 May;36(5):1164-1176. doi: 10.1007/s12325-019-00923-8. Epub 2019 Mar 16. PMID: 30879249; PMCID: PMC6824368.

Mahajan R. Onasemnogene Abeparvovec for Spinal Muscular Atrophy: The Costlier Drug Ever. *Int J Appl Basic Med Res.* 2019 Jul-Sep;9(3):127-128. doi: 10.4103/ijabmr.IJABMR\_190\_19. PMID: 31392173; PMCID: PMC6652281.

<http://www.io.nih.ac.uk/wp-content/uploads/2018/05/13672-AVXS-101-for-Spinal-muscular-atrophy-V1.0-APR2018-NON-CONF.pdf>

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/statement-data-accuracy-issues-recently-approved-gene-therapy>

<https://www.reuters.com/article/us-novartis-genetherapy-death-idUSKCN1RW005>

<https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-hst10026>

[https://www.lemonde.fr/sciences/article/2020/01/07/scandale-novartis-le-produit-d-un-systeme-encourage-par-l-absence-d-actions-de-nos-pouvoirs-publics\\_6025089\\_1650684.html](https://www.lemonde.fr/sciences/article/2020/01/07/scandale-novartis-le-produit-d-un-systeme-encourage-par-l-absence-d-actions-de-nos-pouvoirs-publics_6025089_1650684.html)

<https://www.usinenouvelle.com/article/cinq-questions-pour-comprendre-le-tirage-au-sort-de-bebes-imagine-par-le-laboratoire-pharmaceutique-novartis.N9162347>

<https://www.cadth.ca/onasemnogene-abeparvovec>

<https://bvsm.sau.gov.br/aprovada-a-incorporacao-no-sus-de-medicamento-para-o-tratamento-de-criancas-com-atrofia-muscular-espinhal-ame/>

[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220912\\_Relatorio\\_CP\\_zolgensma\\_AME\\_tipo\\_I\\_C\\_P58.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220912_Relatorio_CP_zolgensma_AME_tipo_I_C_P58.pdf)

[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20230522\\_portariaconjuntano6atrofiamuscularespinhal5qtipos1e2.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20230522_portariaconjuntano6atrofiamuscularespinhal5qtipos1e2.pdf)

## **5.6. Outras Informações – conceitos:**

**ANS** - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde,

regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

**ANVISA** - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

**CONITEC** – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

**RENAME** - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

O RENAME é um importante instrumento orientador do uso de medicamentos e insumos no SUS. É uma lista de medicamentos que reflete as necessidades prioritárias da população brasileira, contemplando o tratamento da maioria das patologias recorrentes do país.  
<https://www.conass.org.br/wp-content/uploads/2022/01/RENAME-2022.pdf>

**REMUME** - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteadas pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município.

**ANS** - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

**ANVISA** - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

**PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT)** - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravamento à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando

couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

**FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA** é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» **Componente Básico da Assistência Farmacêutica:** destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» **Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica:** financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica:** este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas

neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.

**Considerações NAT-Jus/SP:** A autoria do presente documento não é divulgada por motivo de preservação do sigilo.

**Equipe NAT-Jus/SP**