Nota Técnica 467233

Data de conclusão: 12/02/2026 10:13:57

Paciente

Idade: 8 anos

Sexo: Masculino

Cidade: Viamão/RS

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 2° Núcleo de Justiça 4.0 - RS

Tecnologia 467233

CID: Q77.4 - Acondroplasia

Diagnóstico: Acondroplasia (Q77.4)

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): Laudo médico

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: -

Princípio Ativo: VOSORITIDA

Via de administração: SC

Posologia: vosoritida 0,56 mg. Aplicar 0,5 mL à noite. Uso contínuo até o final da fase de crescimento.

Uso contínuo? -

Duração do tratamento: dia(s)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Sim

Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Min. da Saúde para a situação clínica do demandante? Não

O medicamento está inserido no SUS? Não

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: VOSORITIDA

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Não há.

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: VOSORITIDA

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: VOSORITIDA

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia:

-

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: VOSORITIDA

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: A vosoritida é um produto biológico indicado para o tratamento da acondroplasia. Nessa condição, a ativação do gene FGFR3 inibe a proliferação e a diferenciação dos condrócitos, além de comprometer a síntese da matriz extracelular, resultando em prejuízo ao crescimento ósseo. A vosoritida atua inibindo a sinalização do FGFR3, promovendo a proliferação e a diferenciação dos condrócitos. Seu uso está associado a aumento sustentado da velocidade de crescimento anualizada (VCA) (3).
O principal estudo que analisou segurança e eficácia da vosoritida no tratamento da acondroplasia é um ensaio clínico randomizado, duplo-cego, de fase 3, multicêntrico que comparou a administração subcutânea de vosoritida uma vez ao dia com placebo em crianças a partir de 5 anos de idade (4). O estudo foi feito em 24 hospitais de sete países (Austrália, Alemanha, Japão, Espanha, Turquia, EUA e Reino Unido). Os 121 pacientes elegíveis tinham um diagnóstico clínico de acondroplasia, haviam participado durante 6 meses de um estudo de crescimento inicial e apresentavam entre 5 e 18 anos. A diferença média ajustada da velocidade de crescimento anualizada entre os pacientes do grupo vosoritida e do grupo placebo foi de 1,57 cm/ano em favor da vosoritida (IC95% de 1,22 a 1,93; P<0,0001). Um total de 119 pacientes teve pelo menos um evento adverso; 59 (98%) no grupo vosoritida e 60 (98%) no grupo placebo. Nenhum dos eventos adversos relacionados ao tratamento foi considerado grave e nenhuma morte ocorreu. O principal evento relatado foi dor no local da injeção. Ao final das 52 semanas de acompanhamento os autores não observaram diferenças clinicamente significativas na mudança em relação ao início do estudo entre os grupos placebo e vosoritida na qualidade de vida relacionada à saúde, avaliada pelo Pediatric Quality of Life Inventory (PedsQL) e pelo Quality of Life of Short Statured Youth (QoLISSY), nem na independência funcional, avaliada pelo Functional Independence Measure for Children (WeeFIM). Os autores informam que este estudo é limitado visto que não é possível avaliar o efeito do tratamento com vosoritida na altura final do adulto e como isso se relaciona com a funcionalidade, qualidade de vida e atividades da vida diária em pessoas com acondroplasia. Além disso, também é incerto se o tratamento com vosoritida melhorará a condição médica, complicações associadas à acondroplasia ou diminuirá a necessidade de intervenções cirúrgicas (4).
Este estudo teve seguimento em um estudo de extensão aberto onde todos os participantes receberam vosoritida em uma dose de 15 ?g/kg/dia (5). Nas crianças randomizadas para vosoritida, a velocidade de crescimento anual aumentou de 4,26 cm/ano na linha de base para 5,39 cm/ano em 52 semanas e 5,52 cm/ano na semana 104. Em crianças que passaram de placebo para vosoritida no estudo de extensão, a velocidade de crescimento anualizada aumentou de 3,81 cm/ano na semana 52 para 5,43 cm/ano na semana 104. Não foram observados novos efeitos adversos da vosoritida. Estes estudos foram financiados pela empresa produtora do medicamento.
Um segundo estudo de seguimento foi recentemente publicado (6). Após o estudo inicial, os participantes foram convidados a ingressar em um estudo de extensão aberto, no qual todos receberam vosoritida por via subcutânea, em dose diária de 15 µg/kg. No total, 119 crianças foram incluídas na extensão, com idade entre 5 e 18 anos no momento da triagem inicial. O acompanhamento médio foi de quatro anos, com máximo de 6,2 anos, e a adesão ao tratamento foi elevada (97,3%). O grupo comparador foi formado por dados externos de

crianças não tratadas com acondroplasia, provenientes do estudo CLARITY e dos braços placebo do estudo anterior. A velocidade de crescimento anualizada nos tratados foi semelhante à das crianças de estatura média antes da puberdade e consistentemente maior que a dos não tratados. A diferença média foi de +1,84 cm/ano em meninos e +1,44 cm/ano em meninas em comparação com controles, o que corresponde a um ganho estimado de 20 cm para meninos e 16 cm para meninas entre os 6 e 16 anos. Após 3 anos de tratamento, as crianças apresentaram em média 5,75 cm a mais de altura do que as não tratadas (IC95%: 4,93–6,57; p<0,0001). O escore Z de altura também melhorou de forma sustentada, tanto em relação ao padrão de acondroplasia quanto ao de estatura média (6). Os autores não analisaram mudanças clinicamente relevantes neste estudo, como melhora de funcionalidade.
Uma revisão sistemática teve como objetivo identificar qualidade de vida relacionada com a saúde (QVRS), utilidades, utilização de recursos de cuidados de saúde, custos, eficácia, segurança e dados de avaliação econômica do tratamento da acondroplasia (7). Foram realizadas buscas no MEDLINE, Embase, Centro de Revisões e Disseminação da Universidade de York, Biblioteca Cochrane e literatura cinza. Foram incluídos 59 estudos. Os resultados demonstraram uma carga substancial de QVRS, utilização de recursos de cuidados de saúde e custo da acondroplasia nos indivíduos afetados e nas suas famílias ao longo da vida, particularmente no bem-estar emocional, nos custos de hospitalização e na utilização de recursos. Vosoritida, hormônio do crescimento (GH) e alongamento de membros conferiram benefícios para altura ou velocidade de crescimento; no entanto, os efeitos a longo prazo da terapia com GH não são claros, os dados sobre a vosoritide provinham de um número limitado de estudos e o alongamento dos membros estava associado a complicações. As atuais lacunas nas evidências incluem a falta de dados de utilidade e relação custo-eficácia para a acondroplasia e seus tratamentos.
Por fim, um outro artigo de revisão que trata da abordagem aos pacientes com acondroplasia por médicos endocrinologistas traz uma importante observação de que, os valores de velocidade de crescimento descrito nos ensaios clínicos é um valor médio e que algumas crianças não apresentam aumento na velocidade de crescimento. Também ressalta que, até o momento, não há evidências de que o vosoritida altere o risco de desenvolver complicações ortopédicas ou médicas relacionadas à acondroplasia, incluindo estenose de forame magno ou estenose espinhal. Também destaca que é importante compartilhar com as famílias que existem outros medicamentos atualmente em ensaios clínicos e que o cenário de tratamento está em evolução (8).

Item	Descrição	Quantidade	Valor Unitário*	Valor Anual
VOSORITIDA	0,56 MG PO LIOF SOL INJ SC CT 10 FA VD TRANS + 10 SER PREENC VD TRANS DIL X 0,7 ML + 10 AGU + 10 SER	36	R$ 41.910,82	R$ 1.508.789,52

Valor unitário considerado a partir de consulta de preço da tabela CMED. Preço máximo de venda ao governo (PMVG) no Rio Grande do Sul (ICMS 17%). O PMVG é o resultado da aplicação do Coeficiente de Adequação de Preços (CAP) sobre o Preço Fábrica – PF, PMVG = PF(1-CAP). O CAP, regulamentado pela Resolução nº. 3, de 2 de março de 2011, é um desconto mínimo obrigatório a ser aplicado sempre que forem realizadas vendas de

medicamentos constantes do rol anexo ao Comunicado nº 15, de 31 de agosto de 2017 - Versão Consolidada ou para atender ordem judicial. Conforme o Comunicado CMED nº 5, de 21 de dezembro de 2020, o CAP é de 21,53%. Alguns medicamentos possuem isenção de ICMS para aquisição por órgãos da Administração Pública Direta Federal, Estadual e Municipal, conforme Convênio ICMS nº 87/02, sendo aplicado o benefício quando cabível.
A vosortida é produzida pela Biomarin Brasil e comercializada com o nome comercial Voxzogo®. De acordo com a prescrição acostada aos autos (Evento 1, RECEIT7, Página 1) e em consulta à tabela CMED em fevereiro de 2026, foi elaborada a tabela acima estimando o custo aproximado de um ano de tratamento.
Não foram identificados estudos de avaliação econômica do tratamento com vosoritida em pacientes com acondroplasia, tampouco avaliações concluídas por agências de avaliação de tecnologias em saúde nacionais, como a CONITEC, ou internacionais, como a CADTH e o SMC. Em 19/09/2025, a CONITEC recebeu solicitação de incorporação da vosoritida para o tratamento de pacientes com acondroplasia a partir de 6 meses de idade, com epífises ainda não fechadas, não havendo, até o momento, a publicação de relatório preliminar de avaliação. Adicionalmente, encontra-se em desenvolvimento, pelo National Institute for Health and Care Excellence (NICE), avaliação econômica da vosoritida para o tratamento da acondroplasia em menores de 18 anos (9).
O The National Centre for Pharmacoeconomics (NCPE) da Irlanda publicou estudo de custo-efetividade do uso da vosoritida no tratamento de acondroplasia em crianças a partir de dois anos de idade (10). O NCPE manifestou fortes preocupações quanto à suposição de que o aumento no crescimento ósseo promovido pela vosoritida possa reduzir complicações ou a mortalidade associada à acondroplasia. Concluiu-se que não há evidências clínicas de que o medicamento seja eficaz no tratamento das principais condições relacionadas, como estenose do forame magno, estenose espinhal ou genu varum. Também não há comprovação de eficácia em reduzir manifestações neurológicas em crianças menores de 2 anos, nem em tratar complicações em crianças de 2 a 4 anos, como obstrução das vias aéreas superiores, distúrbios do sono, apneia obstrutiva, perdas auditivas ou dificuldades de fala. Além disso, não há evidências de que a vosoritida diminua a necessidade de cirurgias para prevenir obstruções, reduza o risco de morte súbita ou tenha impacto na expectativa de vida de pacientes com acondroplasia. A razão de custo efetividade incremental (RCEI) em comparação ao tratamento padrão foi estimado em €429.810,00 por QALY (anos de vida ajustados pela qualidade).

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Aumento na velocidade de crescimento de pessoas com acondroplasia (evidência direta apresenta estimativa de diferença de cerca de 5 cm em três anos de tratamento), ainda sem evidência de melhora na funcionalidade ou melhora das condições clínicas.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Não avaliada

Conclusão

Tecnologia: VOSORITIDA

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: Evidências científicas de alta qualidade, provenientes de ensaios clínicos randomizados, demonstraram aumento da velocidade de crescimento nos pacientes tratados em comparação ao placebo, com diferença de estatura em torno de 5 cm após três anos de tratamento. Contudo, o impacto sobre a qualidade de vida, a funcionalidade, a redução de

complicações associadas à acondroplasia e os desfechos em longo prazo ainda são desconhecidos, assim como não há evidências de eficácia do medicamento sobre manifestações clínicas relevantes da doença, como estenose do forame magno e estenose espinhal. Além disso, não foi demonstrado que a vosoritida reduza a necessidade de intervenções cirúrgicas, diminua o risco de morte súbita ou influencie a expectativa de vida.
Todavia, outros elementos relevantes devem ser considerados. Em primeiro lugar, trata-se de medicamento de custo extremamente elevado, estimado em aproximadamente R$ 1,5 milhão por paciente ao ano, com base no PMVG - a aquisição direta tende a elevar ainda mais este custo -, para o tratamento de uma condição clínica permanente, cujo uso tende a se estender por período prolongado, possivelmente por 10 anos ou mais. Trata-se de valor expressivo, que torna indispensável a existência de correspondência robusta entre a magnitude e a relevância dos desfechos clínicos alcançados e o custo do tratamento. Diante desse cenário, é plausível que, na ausência de negociação de preço, a tecnologia seja considerada não custo-efetiva ou associada a impacto orçamentário elevado.
Cabe destacar que em 19/09/2025 foi protocolada solicitação de incorporação da vosoritida junto à CONITEC, encontrando-se o processo em fase de avaliação, com previsão de apreciação inicial em 11/02/2025. Espera-se que, após apreciação, seja divulgado o relatório preliminar e seja levado à consulta pública. A CONITEC é o órgão técnico competente para avaliar, de forma sistemática, tanto a relação custo-efetividade quanto o impacto orçamentário decorrente da eventual incorporação da tecnologia ao SUS. Situação semelhante se verifica no cenário internacional, uma vez que a incorporação da vosoritida no sistema de saúde do Reino Unido também se encontra em avaliação. Assim, o processo de análise da tecnologia segue, no momento, os trâmites institucionais habituais.
Em síntese, a vosoritida apresenta, até o momento, benefício demonstrado apenas sobre a estatura, sem evidências de impacto em qualidade de vida, funcionalidade, complicações associadas ou mortalidade. Considerando esse benefício clínico limitado em contraste com o custo extremamente elevado e o uso potencialmente prolongado, e tendo em vista que a tecnologia ainda se encontra em avaliação pela CONITEC, posicionamo-nos de forma desfavorável à concessão judicial do medicamento pleiteado.

Há evidências científicas? Sim

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e Emergência do CFM? Não

Referências bibliográficas: 1. Achondroplasia - UpToDate [Internet]. Disponível em: https://www.uptodate.com/contents/achondroplasia
2. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), Ministério da Saúde. Monitoramento do HORIZONTE TECNOLÓGICO- Vosoritida para o tratamento de Acondroplasia [Internet]. 2022. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/radar/2022/20221026_Alerta_MHTvosorititda.pdf/view
3. Agência Nacional de Vigilância Sanitária - Anvisa [Internet]. Voxzogo (vosoritida): novo registro. Disponível em: https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/voxzogo-vosoritida-novo-registro
4. Savarirayan R, Tofts L, Irving M, Wilcox W, Bacino CA, Hoover-Fong J, et al. Once-daily, subcutaneous vosoritide therapy in children with achondroplasia: a randomised, double-blind, phase 3, placebo-controlled, multicentre trial. Lancet Lond Engl. 5 de setembro de 2020;396(10252):684–92.
5. Savarirayan R, Tofts L, Irving M, Wilcox WR, Bacino CA, Hoover-Fong J, et al. Safe and persistent growth-promoting effects of vosoritide in children with achondroplasia: 2-year results

from an open-label, phase 3 extension study. Genet Med Off J Am Coll Med Genet. dezembro de 2021;23(12):2443–7.
6. Savarirayan R, Irving M, Wilcox WR, Bacino CA, Hoover-Fong JE, Harmatz P, et al. Sustained growth-promoting effects of vosoritide in children with achondroplasia from an ongoing phase 3 extension study. Med N Y N. 9 de maio de 2025;6(5):100566.
7. Murton MC, Drane ELA, Goff-Leggett DM, Shediac R, O'Hara J, Irving M, et al. Burden and Treatment of Achondroplasia: A Systematic Literature Review. Adv Ther. setembro de 2023;40(9):3639–80.
8. Merchant N, Hoover-Fong J, Carroll RS. Approach to the Patient with Achondroplasia—New Considerations for Diagnosis, Management, and Treatment. J Clin Endocrinol Metab [Internet]. 1o de julho de 2025; 110(7):e2309–16. Disponível em: https://doi.org/10.1210/clinem/dgaf017
9. Project information | Vosoritide for treating achondroplasia in children and young people under 18 years [ID3807] | Guidance | NICE [Internet]. NICE. Disponível em: https://www.nice.org.uk/guidance/awaiting-development/gid-ta10700
10. The National Centre for Pharmacoeconomics (NCPE). Vosoritide for the treatment ofachondroplasia in patients aged two yearsand older whose epiphyses are not closed. [Internet]. 2023. Disponível em: https://www.ncpe.ie/wp-content/uploads/2023/09/Technical-Summary-Vosoritide-HTA-22028.pdf

NatJus Responsável: RS - Rio Grande do Sul

Instituição Responsável: TelessaúdeRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: Trata-se de paciente em seguimento com o serviço de genética médica desde abril de 2021, com diagnóstico de acondroplasia. Em 2024, por meio de sequenciamento do gene FGFR3 foi identificada a variante patogênica em heterozigose c.1138G>A (p.Gly380Arg), compatível com acondroplasia (Evento 1, RECEIT7, Página 2). Cabe destacar que não foram anexados aos autos exames diagnósticos. Na última consulta com a equipe, em 22 de agosto de 2025, o autor apresentava atraso do desenvolvimento motor, baixa estatura desproporcionada com predomínio rizomélico (estatura = 103 cm; escore z da estatura = -4,18), macrocefalia (perímetro cefálico = 59 cm; escore z = +5,05), tórax estreito, fronte proeminente, ponte nasal baixa, mãos em tridente e normorreflexia. Atualmente, encontra-se com 8 anos de idade e, conforme laudo médico (Evento 1, RECEIT7, Página 3), a previsão de estatura final sem tratamento é de aproximadamente 130 cm; com tratamento, poderá atingir cerca de 145 cm. Nesse contexto, pleiteia o fornecimento do medicamento vosoritida para o tratamento da acondroplasia.
A acondroplasia é uma displasia óssea que afeta aproximadamente 1 em 20.000 nascidos vivos (1). É uma condição autossômica dominante que provoca uma displasia óssea resultante de uma mutação genética. É resultante de uma mutação pontual no gene que codifica a porção da transmembrana do receptor 3 do fator de crescimento de fibroblastos (FGFR3), que é um importante regulador da atividade da placa de crescimento e do crescimento ósseo linear, entre outras funções, resultando no crescimento anormal do corpo (2). É caracterizada por membros curtos e tronco normal (baixa estatura desproporcional), macrocefalia e hipoplasia facial com ponte nasal deprimida. Pacientes com acondroplasia podem ter atraso no desenvolvimento motor desde o início, mas a cognição é normal, apresentam expectativa de vida de aproximadamente 61 anos (2). A desproporção entre os segmentos corporais e os membros curtos tem repercussões importantes como limitações para cuidados pessoais e de higiene, ambulação independente e condução de veículos. As complicações associadas à

acondroplasia incluem otite média recorrente, distúrbios respiratórios do sono, obesidade, arqueamento das pernas, estreitamento da coluna lombar e compressão medular cervical (1).
O tratamento da acondroplasia se concentra na maximização da capacidade funcional e no monitoramento, prevenção e tratamento de complicações. A fisioterapia é apropriada para aquelas crianças que apresentam atrasos nos marcos motores nos primeiros dois anos de vida. A terapia ocupacional é uma opção em indivíduos com acondroplasia para atingir seu melhor potencial funcional (1).