Nota Técnica 580722

Data de conclusão: 13/10/2026 09:24:02

Paciente

Idade: 15 anos

Sexo: Feminino

Cidade: Igarapé-Miri/PA

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: Adenildo Vasconcelos

Número OAB: -

Autor está representado por: Ministério Público

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Estadual

Vara/Serventia: Vara Unica de Igarape Miri

Tecnologia 580722

CID: G12.0 - Atrofia muscular espinal infantil tipo I [Werdnig-Hoffman]

Diagnóstico: Atrofia Muscular Espinhal

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: RISDIPLAM

Via de administração: VO

Posologia: risdiplam 0,75 mg/ml (solução oral), quantidade de 03 (três) frascos por mês de uso contínuo.

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? Sim

O medicamento está inserido no SUS? Sim

O medicamento está incluído em: Nenhuma acima

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: RISDIPLAM

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

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: RISDIPLAM

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: RISDIPLAM

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor:

-

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: RISDIPLAM

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: Risdiplam é um modificador de splicing de SMN2, que se liga ao RNA pré-mensageiro de SMN2, corrigindo assim o déficit de splicing de SMN2, levando a níveis aumentados de proteína SMN de comprimento total e, portanto, funcional. Foi aprovado para o tratamento de AME em pacientes com dois meses de idade ou mais pelo FDA, órgão sanitário americano, em agosto de 2020, e pela ANVISA, em outubro do mesmo ano (5,6).

A evidência de eficácia e segurança do risdiplam no tratamento de pacientes com AME tipo II e III é proveniente de um ensaio clínico, chamado SUNFISH, multicêntrico, realizado em duas etapas: a primeira (n=51) teve como objetivo a análise da segurança e tolerabilidade de diferentes posologias de risdipla e a segunda (n=180) avaliou segurança e eficácia de diferentes posologias, buscando a identificação da dose com melhor perfil de eficácia e segurança (7,8).

A segunda parte foi randomizada, duplo-cega e controlada por placebo. Incluiu 180 pacientes que não apresentavam deambulação, com AME tipo II (71%) ou tipo III (29%). Os pacientes foram randomizados em uma proporção de 2:1 para receber risdiplam ou placebo. A randomização foi estratificada por faixa etária (2 a 5 anos, 6 a 11 anos, 12 a 17 anos, 18 a 25 anos). A idade mediana dos pacientes no início do tratamento foi de 9 anos. Dos 180 pacientes incluídos no estudo, 51% eram do sexo feminino e 67% dos pacientes tinham escoliose (32% deles com escoliose grave). As características demográficas gerais na linha de base foram bem equilibradas entre os grupos, com exceção de um desequilíbrio de pacientes com escoliose (63,3% dos pacientes no grupo tratado e 73,3% dos pacientes no grupo placebo). O desfecho primário foi a análise da função motora pela diferença na medida da escala Motor Function Measure (MFM), cuja pontuação média na linha de base foi de 46,1. Como desfechos secundários foram avaliados: proporção de pacientes que apresentaram alteração de 3 ou mais pontos na escala MFM, identificada como mudança mínima para representar diferença clinicamente significativa; e análise da função motora de acordo com a escala Revised Upper Limb Module (RULM), específica para membros superiores, cuja pontuação média ao início foi de 20,1. Após 12 meses a diferença observada na escala MFM foi de 1,36 pontos (IC95% 0,61 a 2,11) no grupo tratamento e de -0,19 (IC95% -1,22 a 0,84) no grupo placebo, sendo a comparação entre o grupo risdiplam ao placebo igual a 1,55 (IC95% 0,30 a 2,81; P=0,016). Quando avaliada a diferença observada na escala RULM foi de 1,61 (IC95% 1,0 a 2,22) e 0,02 (-0,83 a 0,87) nos grupos tratado e placebo, representando uma variação de 1,59 (IC95% 0,55 a 2,62; P=0,47) quando comparado o grupo tratamento ao placebo; já a proporção de pacientes que alcançaram a diferença de 3 pontos na escala MFM, temos que 38,3% e 23,7% apresentaram tal diferença, nos grupos tratamento e placebo respectivamente, com razão de chances de 2,35 (IC95% 1,01 a 5,44; P=0,047), resultado limítrofe visto limite inferior estar próximo à nulidade, representada pelo valor 1 (8).

Em contribuição da empresa fabricante à CONITEC, durante período de consulta pública do

parecer de recomendação do risdiplam para o tratamento da AME tipos II e IIIa, houve sugestão de cálculo do risco relativo, em detrimento à razão de chances, utilizada como medida de associação para apresentação dos resultados da parte 2 do estudo supracitado (4). Discute-se que a razão de chances pode superestimar o tamanho do efeito. Com isso, aplicando cálculo matemático para o cálculo da razão de riscos a partir da estimativa de razão de chances, tem-se que o risco relativo da proporção de pacientes que alcançaram a diferença de, pelo menos, 3 pontos na escala MFM, considerando os grupos tratamento e placebo foi de 1,78 (IC95% 1,56 a 8,42). A partir deste resultado, observamos que o limite inferior encontra-se mais distante da nulidade, oferecendo maior confiança de que o tratamento seja benéfico; contudo, a maior amplitude entre os limites inferior e superior informa maior incerteza quanto à estimativa ponto, de 1,78.

Custo:

Item: RIDISPLAM
Descrição: 0,75 MG/ML PO SOL OR CT FR VD AMB X 80 ML + 2 SER DOS X 6 ML + 2 SER DOS X 12 ML
Quantidade: 36
Valor Unitário: R$ 56.581,26
Valor Anual: R$ 2.036.925,36

* Valor unitário considerado a partir de consulta de preço da tabela CMED. Preço máximo de venda ao governo (PMVG) no Pará (ICMS 19%). 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.

O risdiplam é comercializado pela farmacêutica Roche, sob o nome comercial Evrysdi®, disponível na forma farmacêutica de pó para solução oral em frascos com 2 g de pó para reconstituição que, uma vez reconstituídos, formam uma solução de 80 mL com concentração de 0,75 mg/mL de risdiplam. Em consulta à tabela CMED, no site da ANVISA, em outubro de 2026, e na prescrição médica anexada ao processo, foi elaborada a tabela acima com o custo do medicamento para um ano de tratamento.

A CONITEC, em seu relatório preliminar, destaca que o preço do produto, proposto pela fabricante, para incorporação, foi de R$ 25.370,00, aproximadamente 50% inferior àquele destacado acima, na tabela de custo. Considerando o risdiplam e o preço proposto para a incorporação, versus cuidado de suporte, a agência brasileira mostra resultado de avaliação econômica que estimou o valor de Razão de Custo-Efetividade Incremental (RCEI) para o risdiplam, em horizonte temporal da vida toda, em R$ 75.938.549,34 por Ano de Vida Ajustado por Qualidade (do inglês QALY). A agência também apresenta análises que consideraram risdiplam associado ao tratamento de suporte versus o fármaco nusinersena (RCEI R$ 53.004.369,16/QALY). Apesar do custo do tratamento com risdiplam ser superior ao custo do tratamento com nusinersena, este mostrou-se mais custo-efetivo em todas as simulações da

análise de sensibilidade. É digno de nota, contudo, que se considerado, como preço do risdiplam, aquele da tabela CMED (PMVG), o valor de RCEI em relação ao nusinersena chega ao seu triplo: R$172.606.460,67/QALY (4).

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Discreta melhora no desenvolvimento motor, aferido pela escala MFM, de magnitude incerta e qualidade de evidência moderada. Possível preservação da função de membros superiores.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Recomendada

Conclusão

Tecnologia: RISDIPLAM

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: No caso em análise, trata-se de paciente de 15 anos, com AME tipo II, com diagnóstico genético confirmado por ausência de cópias do gene SMN1 e três cópias do SMN2. Apresenta hipotonia axial e fraqueza muscular, sem capacidade de sentar-se sem apoio, encontrando-se em uso de cadeira de rodas. Apresenta funções cognitiva e de linguagem preservadas.

O medicamento risdiplam possui parecer favorável da Conitec para uso em pacientes com AME tipo I ou tipo II, conforme PCDT. Para pacientes sintomáticos com AME tipo II, o tratamento é previsto para aqueles com início dos sintomas entre 6 e 18 meses de vida e até três cópias de SMN2, desde que tenham até 12 anos no início do tratamento ou, caso tenham idade superior, preservem a capacidade de sentar sem apoio e a função dos membros superiores. Os critérios utilizados no PCDT não são arbitrários - eles representam os pacientes em que o benefício foi observado nos estudos.

No caso em tela, a paciente tem atualmente 15 anos e 6 meses e, conforme laudo de fevereiro de 2025 (Num. 191226894 – Pág. 9), então com 14 anos, já necessitava de apoio para sentar-se, não preenchendo, portanto, o critério de capacidade de sentar sem auxílio exigido pelo PCDT para início do tratamento com risdiplam nessa faixa etária. A documentação não esclarece a data de início do medicamento, a origem do fornecimento, o tempo de uso, a condição clínica e funcional da paciente à época da introdução da terapia ou a situação de eventual processo administrativo. Assim, não é possível confirmar se os critérios de elegibilidade eram atendidos no momento do início do tratamento. Dessa forma, emitimos parecer desfavorável à concessão judicial do pleito, diante da ausência de comprovação do preenchimento dos critérios previstos no PCDT, mas ficamos à disposição para reavaliação se novas informações clínicas.

Há evidências científicas? Sim

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

Referências bibliográficas:
1. Daroff RB, Jankovic J, Mazziotta JC, Pomeroy SL. Bradley's Neurology in Clinical Practice E-Book (English Edition). 7o ed. Elsevier; 2015. 2348 p.

2. Bodamer O. Spinal muscular atrophy - UpToDate. Spinal Muscular Atrophy.
3. PORTARIA CONJUNTA SAES/SECTICS Nº 3, DE 20 DE MARÇO DE 2025. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2025/RRPCDTAMEFinal_Ajustepspublicao.pdf/@@display-file/file
4. Brasil, Ministério da Saúde. Risdiplam para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) tipo II e III [Internet]. Brasília – DF; 2022 fev. Report No.: 710. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2022/20220314_relatorio_710_risdiplam_ametipoiieiii.pdf
5. Dhillon S. Risdiplam: First Approval. Drugs. novembro de 2020;80(17):1853–8.
6. Evrysdi (risdiplam) prescribing information [Internet]. Disponível em: https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2020/213535s000lbl.pdf
7. Mercuri E, Baranello G, Boespflug-Tanguy O, De Waele L, Goemans N, Kirschner J, et al. Risdiplam in types 2 and 3 spinal muscular atrophy: A randomised, placebo-controlled, dose-finding trial followed by 24?months of treatment. Eur J Neurol. julho de 2023;30(7):1945–56.
8. Mercuri E, Deconinck N, Mazzone ES, Nascimento A, Oskoui M, Saito K, et al. Safety and efficacy of once-daily risdiplam in type 2 and non-ambulant type 3 spinal muscular atrophy (SUNFISH part 2): a phase 3, double-blind, randomised, placebo-controlled trial. Lancet Neurol. 1o de janeiro de 2022;21(1):42–52.

NatJus Responsável: Nacional

Instituição Responsável: NAT-Jus Doenças Raras - HCPA/TelessaúdeRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: Conforme laudos médicos, trata-se de paciente com diagnóstico de Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo 2 (Num. 191226894 - Pág. 1). Está em acompanhamento regular com neurologia infantil desde 07/03/2024 (então com 12 anos e 11 meses). Filha de pais não consanguíneos, sem intercorrências pré ou perinatais, com história de atraso motor de desenvolvimento e história de múltiplas intercorrências respiratórias e disfagia leve. Encontra-se em uso de cadeira de rodas com escoliose importante, hipotonia axial, fraqueza de membros superiores e inferiores, mas com função de membros superiores preservada. Apresenta fasciculações de língua e polimioclonia membros superiores, força grau 2 de membros inferiores e grau 3 de membros superiores, reflexos osteotendinosos (ROTs) ausentes membros inferiores, com cognitivo e linguagem preservados (Num. 191226894 - Pág. 8). Foi anexado aos autos, a escala HFMSE (Hammersmith Functional Motor Scale — Expanded - a pontuação total desta escala varia de 0 a 66 pontos, sendo que pontuações mais elevadas indicam melhor função motora), com pontuação total 7 (Num. 191226894 - Pág. 18). Exame genético para atrofia muscular espinhal 5q, realizado em 10/05/2024, com resultado evidenciando deleção em homozigose no éxon 7 do gene SMN1, com 0 (zero) cópias do gene SMN1, com 3 cópias do gene SMN2, confirmando diagnóstico de AME (Num. 191226894 - Pág. 19). Conforme laudo de 20/08/2025, então com 14 anos e 4 meses, a paciente estava em uso regular de risdiplam 6,5 mg/dia, uso contínuo, com menos descompensações respiratórias, mais ganho de peso e autonomia para atividades diárias com a medicação (Num. 191226894 - Pág. 20). Não consta desde quando vinha em uso do medicamento ou a forma de aquisição (se via administrativa, judicial ou doações). Nesse contexto, pleiteia o fornecimento de risdiplam.

A Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q é uma doença genética e neurodegenerativa progressiva, causada por uma mutação no gene SMN1, localizado no cromossomo 5q (1,2).

Esse gene codifica a proteína de sobrevivência do neurônio motor (do inglês, survival motor neuron – SMN) e, quando mutado, produz uma proteína SMN mais curta, comprometendo a função destes neurônios, resultando em perda progressiva da função motora, que se caracteriza pela fraqueza e atrofia progressiva dos músculos dos membros inferiores, superiores, e axiais, como os respiratórios, podendo levar à morte (3,4). A AME 5q apresenta prevalência de 12 em 100.000 pessoas e incidências de 1 a cada 6.000 até 1 a cada 11.000 nascidos vivos, conforme verificado em estudos realizados fora do Brasil (4).

A AME é classificada em cinco tipos diferentes, que variam de acordo com a idade das primeiras manifestações clínicas e suas características. A AME tipo II representa, aproximadamente, 27% de todos os casos de AME e manifesta-se entre os 6 e os 18 meses de idade (3). O marco motor mais alto a ser alcançado nesta condição é sentar de forma independente, o que ocorre no desenvolvimento típico até os 9 meses de vida, porém esse marco pode ser atrasado. De forma geral não conseguem ficar de pé ou andar de forma independente, porém alguns conseguem com o auxílio de órteses ou estrutura ortostática. Apresentam fraqueza proximal predominante, sendo mais grave nos membros inferiores, e os reflexos geralmente estão ausentes. Ademais, a deglutição prejudicada e a insuficiência ventilatória são frequentes na AME tipo II. A escoliose ocorre universalmente neste grupo e é um fator contribuinte significativo para distúrbios de ventilação restritivos. Embora a expectativa de vida seja reduzida em pacientes com AME tipo II, em grande parte devido às complicações respiratórias, a maioria desses indivíduos chega à idade adulta, devido à melhora da história natural relacionada aos cuidados de suporte. Pacientes com AME tipo II apresentam, geralmente, três cópias do gene SMN2, porém, isoladamente, essa característica não define o fenótipo (3).

Atualmente, os tratamentos medicamentosos disponíveis são limitados: internacionalmente, há apenas três medicamentos com registro de comercialização indicados em bula para a doença, o nusinersena, o onasemnogeno abeparvoveque e o ridisplam (2).