Nota Técnica 584210

Data de conclusão: 03/10/2026 09:56:22

Paciente

Idade: 43 anos

Sexo: Masculino

Cidade: Farias Brito/CE

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 16ª Vara Federal

Tecnologia 584210

CID: G12.1 - Outras atrofias musculares espinais hereditárias

Diagnóstico: Atrofia Muscular Espinhal tipo III (AME tipo III), confirmada por teste molecular com ausência dos éxons 7 e 8 do gene SMN1 e presença de 4 cópias do gene SMN2

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): Teste molecular (SARAH, 08/03/2026) evidenciando ausência de cópias dos éxons 7 e 8 do gene SMN1 e presença de 4 cópias do gene SMN2; laudo médico do Hospital Universitário Walter Cantídio/UFC-EBSERH datado de 02/09/2026, subscrito por neurologista/neurogeneticista (CRM 10930); exame neurológico com fraqueza muscular global (MMII grau 0-2, MMSS grau 3) e hiporreflexia.

O diagnóstico molecular está bem documentado: há deleção homozigótica dos éxons 7 e 8 do SMN1, com 4 cópias de SMN2 (teste SARAH, 06/03/2026). O laudo do HUWC/EBSERH (Dr. Paulo Ribeiro Nóbrega, CRM-CE 10930, 02/09/2026) descreve fraqueza proximal, hiporreflexia, deambulação com apoio e dependência parcial para AVDs. Até o momento, o paciente não usou nenhuma terapia modificadora.

Para a análise técnica, a documentação apresenta inconsistências e lacunas relevantes:

Idade de início divergente. O relatório SARAH registra início "por volta dos 9 anos". O laudo do HUWC registra 14 anos.
Força muscular incompatível com a marcha. O laudo atribui "MMII grau 0–2" e, ao mesmo tempo, afirma que o paciente "deambula com apoio". Força grau 0–2 nos membros inferiores é, em regra, incompatível com marcha, ainda que assistida.
Texto aparentemente padronizado. O laudo se refere ao paciente no feminino ("a paciente") em vários trechos. Também cita o Tema 500 do STF de forma equivocada, já que esse tema trata de medicamentos sem registro na ANVISA, o que não é o caso. Esses elementos sugerem uso de modelo de texto.
Ausência de escalas funcionais e prova respiratória. O laudo não traz escores padronizados de linha de base (HFMSE, RULM, MFM-32, teste de caminhada de 6 minutos). Afirma "comprometimento respiratório em evolução" sem espirometria (CVF) ou outro dado objetivo.
Tratamentos prévios não descritos. O Tema 6, item 2(e), exige essa descrição. Consta apenas o encaminhamento para fisioterapia (UFC, 16/09/2026).
Orçamentos que não são independentes entre si (detalhado na seção de custos).

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: EVRYSDI

Princípio Ativo: RISDIPLAM

Via de administração: Oral

Posologia: Risdiplam 0,75 mg/mL, pó para solução oral (frasco de 80 mL), 5 mg/dia (6,6 mL), uso contínuo

Uso contínuo? Sim

Duração do tratamento: (Indeterminado)

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? Não informado

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: RISDIPLAM

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: SUS, terapia modificadora da doença: não há opção incorporada para AME tipo III. Risdiplam e nusinersena estão no CEAF apenas para os tipos I e II, conforme o PCDT vigente. A declaração da farmacêutica municipal de Farias Brito confirma essa restrição.
Para nusinersena no tipo III, a Conitec reavaliou recentemente o tema e manteve a negativa. A Portaria SCTIE/MS nº 98, de 26 de dezembro de 2025, tornou pública a decisão de não incorporar, no âmbito do SUS, o nusinersena para o tratamento da AME 5q tipo 3. Não existe, portanto, substituto terapêutico modificador da doença incorporado para a condição do autor.
SUS, cuidado de suporte (disponível): o PCDT prevê cuidado multiprofissional, que deve ser mantido independentemente do desfecho do pleito. Inclui:

- fisioterapia motora e respiratória;
- reabilitação nos Centros Especializados em Reabilitação (CER);
- órteses, meios auxiliares de locomoção e cadeira de rodas (OPM pela Tabela SIGTAP);
- acompanhamento neurológico, ortopédico (escoliose), pneumológico e nutricional;
- ventilação não invasiva, se indicada.

Saúde Suplementar: não há nos autos informação de vínculo com operadora de plano de saúde. Item não aplicável.

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: RISDIPLAM

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: 1.500.000,00

Preço Máximo ao Consumidor: 2.642.567,10

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: Ensaio pivotal (SUNFISH, parte 2): ensaio clínico randomizado, duplo-cego, controlado por placebo, com 180 pacientes de 2 a 25 anos, com AME tipo II ou III **não deambulantes**. Houve ganho estatisticamente significativo na escala MFM-32 em 12 meses (diferença média de cerca de 1,55 ponto em relação ao placebo). O efeito se concentrou nas faixas etárias mais jovens, e o subgrupo de 18 a 25 anos não mostrou diferença significativa. Os dados de 24 meses indicaram manutenção do efeito (Mercuri et al., 2022; Oskoui et al., 2023).
Aplicabilidade ao caso concreto: baixa. O autor tem 42 anos, cerca de 28 a 33 anos de doença, deambula com apoio e tem 4 cópias de *SMN2*. Ele está fora dos critérios de inclusão do SUNFISH em idade e em capacidade de marcha. Não há ensaio clínico randomizado nem meta-análise de ensaios randomizados que avalie risdiplam em adultos acima de 25 anos ou em pacientes tipo III deambulantes.
Evidências complementares: para adultos, os dados disponíveis são de estudos abertos (JEWELFISH, com pacientes previamente tratados) e coortes observacionais. Esses estudos sugerem estabilização funcional, e não melhora. Um estudo pareado recente em adultos é um exemplo: nessa primeira comparação pareada entre nusinersena e risdiplam em adultos com AME, ambos os tratamentos alcançaram estabilização semelhante da função motora ao longo de quase três anos. O mesmo trabalho reconhece que até então não havia comparação direta da efetividade de nusinersena e risdiplam em adultos. Trata-se de evidência de nível inferior ao exigido pelo Tema 6, item 2(d).
Segurança: o perfil é aceitável nos estudos. Os eventos mais comuns são febre, diarreia, erupção cutânea, úlceras orais e infecções de vias aéreas superiores. Para um homem em idade reprodutiva, dois pontos são relevantes:

- dados pré-clínicos indicam possível comprometimento da espermatogênese, e a bula recomenda discutir preservação de fertilidade;
- há toxicidade embriofetal, o que exige contracepção.

Também há interação potencial com substratos de MATE1/MATE2-K. Antecedentes como dislipidemia, glicemia elevada e etilismo até os 40 anos não contraindicam o tratamento, mas pedem monitoramento hepático e clínico.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: O resultado plausível é a **estabilização ou desaceleração da perda funcional**, não a recuperação de força ou função já perdidas. A magnitude desse efeito em adulto de 42 anos com longa evolução de doença é **incerta**.
Se o tratamento for instituído, é indispensável:

- registrar uma linha de base objetiva (HFMSE, RULM, teste de caminhada de 6 minutos, CVF);
- reavaliar a cada 6 meses pelo serviço prescritor, conforme o Tema 1.234, item 5.4;
- definir previamente critérios de interrupção, como piora funcional mantida apesar do uso

regular.

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

Conclusão

Tecnologia: RISDIPLAM

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: Sob a ótica técnica, o parecer é **NÃO FAVORÁVEL**, no estado atual dos autos. Os fundamentos são:

1. A doença está confirmada, e o medicamento tem registro na ANVISA e indicação em bula para AME 5q.
2. A Conitec recomendou expressamente a não incorporação para o tipo III, por ato motivado e recentemente reiterado para a mesma classe terapêutica.
3. Não há evidência de alto nível (ensaio randomizado, revisão sistemática ou meta-análise) para a população do autor (adulto de 42 anos, deambulante com apoio, 4 cópias de *SMN2*), que está fora dos critérios do estudo pivotal.
4. O laudo apresenta inconsistências e não traz escalas funcionais, prova respiratória nem histórico terapêutico, o que impede demonstrar a imprescindibilidade nos termos do Tema 6, item 2(e).
5. Não há substituto modificador da doença no SUS, mas o cuidado de suporte está disponível.

Há evidências científicas? Não se aplica

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

Referências bibliográficas:

1. Brasil. Conitec. Relatório de Recomendação nº 710: Risdiplam para o tratamento de AME tipo II e III. Fev/2022. Portaria SCTIE/MS nº 17, de 11/03/2022.
2. Brasil. Conitec. Relatório de Recomendação nº 1063: Nusinersena para AME 5q tipo 3. Dez/2025. Portaria SCTIE/MS nº 98, de 26/12/2025.
3. Brasil. Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q (versão vigente, 2025).
4. Mercuri E, 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.* 2022;21(1):42-52.
5. Oskoui M, et al. Two-year efficacy and safety of risdiplam in patients with type 2 or non-ambulant type 3 SMA. *J Neurol.* 2023;270:2531-2546.
6. Chiriboga CA, et al. Risdiplam in patients previously treated with other therapies for SMA: interim analysis from the JEWELFISH study. *Neurol Ther.* 2023;12:543-557.
7. Matched-pair analysis of motor outcomes in adults with spinal muscular atrophy on

nusinersen vs. risdiplam. *J Neurol.* 2025/2026. DOI: 10.1007/s00415-025-13589-w.
8. Roche. Bula de Evrysdi® (risdiplam), ANVISA, registro nº 1.0100.0670.
9. ANVISA/CMED. Lista de Preços de Medicamentos; Resolução CMED nº 3/2011 (CAP).
10. STF. RE 566.471 (Tema 6) e RE 1.366.243 (Tema 1.234); Súmulas Vinculantes 60 e 61.
11. STJ. REsp 1.657.156/RJ (Tema 106).
12. CFM. Resolução nº 1.451/1995.

NatJus Responsável: CE - Ceará

Instituição Responsável: TJCE

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante
Risdiplam: o Relatório de Recomendação nº 710, aprovado pela Portaria SCTIE/MS nº 17, de 11 de março de 2022, trouxe a decisão final de não incorporar o risdiplam para o tratamento da AME tipo IIIa no SUS. O mesmo relatório levou à incorporação para o tipo II. A Comissão reconheceu sinais de efetividade, mas pesaram contra a incorporação as incertezas da evidência, a razão de custo-efetividade e o impacto orçamentário. Há ainda um detalhe importante: a avaliação contemplou apenas o subtipo IIIa, e não há recomendação específica para adultos tipo III deambulantes.
Nusinersena (alternativa de mesma classe terapêutica): a decisão negativa foi reiterada em dezembro de 2025. Na 147ª Reunião Ordinária, em 8/12/2025, os membros da Conitec deliberaram, por maioria simples, recomendar a não incorporação do nusinersena para o tratamento da AME 5q tipo 3.
Leitura à luz do Tema 6, item 2(b): há ato administrativo motivado de não incorporação, precedido de avaliação técnica e consulta pública. Não se trata, portanto, de omissão ou de mora na análise.

Preço Máximo de Venda ao Governo, Preço Máximo ao Consumidor e fonte do custo

Parâmetro	Valor por frasco	Custo anual (31 frascos)	Fonte
PMC (maior alíquota de ICMS)	R$ 85.244,10	R$ 2.642.567,10	Tabela CMED, publicação de nov/2025, via Farmaindex
Média dos 3 orçamentos (base PMC)	R$ 79.783,00	R$ 2.473.273,00	Orçamentos de 18/09/2026, nos autos
PMVG (ICMS 0%)	**a confirmar na lista CMED vigente**	estimativa de ? a 1,5 milhão	R$ 1,15 Cálculo PMVG = PF × (1 ? CAP)

O PMC do Evrysdi variava de R$ 62.774,91 a R$ 85.244,10 conforme a alíquota de ICMS, em atualização de 07/11/2025 baseada na publicação da CMED.
Não localizei o valor exato do PMVG em fonte verificável. A faixa indicada na tabela é uma **estimativa aritmética**, obtida pela aplicação do CAP sobre o PF derivado do PMC, e precisa ser conferida na Lista de Preços de Medicamentos da CMED (ANVISA) antes de constar na nota definitiva.
Quanto ao CAP: nas compras judiciais, aplica-se o desconto padrão de 21,53%, pela incidência

do CAP sobre o preço de referência, resultando no PMVG. Por qualquer dos parâmetros, o custo anual supera com folga 210 salários mínimos, o que confirma a competência federal pelo Tema 1.234.