

NOTA TÉCNICA Nº 4354/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5003784-46.2022.4.03.6130
- 1.3. Data da Solicitação: 01/06/2026
- 1.4. Data da Resposta: 12/06/2026
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 02/10/2014 – 11 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: Osasco/SP
- 2.4. Histórico da doença: Acondroplasia – CID Q77.4

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

Considerando que o NatJus se destina exclusivamente à análise da relação entre doença, medicamento, procedimento ou produto sob a perspectiva da Medicina Baseada em Evidências, deixamos de apreciar os quesitos que versem sobre circunstâncias particulares do caso concreto e passamos à emissão do parecer técnico, restrito aos limites de atuação deste núcleo, com base nas evidências científicas disponíveis.

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: **MEDICAMENTO**

Medicamento	Princípio Ativo	Registro na ANVISA	Disponível no SUS?	Opções disponíveis no SUS / Informações sobre o financiamento	Existe Genérico ou Similar?
VOXZOGO 0,56mg – 1frasco/dia	Vosoritida	1733300050026	NÃO	O tratamento de pessoas com acondroplasia deve envolver os diferentes aspectos que se associam às manifestações da doença, como por exemplo terapias físicas, acompanhamento multidisciplinar e cirurgias.	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
VOXZOGO	VOXZOGO	BIOMARIN BRASIL FARMACÊUTICA LTDA	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	R\$36111,33	1 frasco/dia	R\$1.336.119,21
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$1.336.119,21		

* Cálculo anual somente para medicamentos não incorporados na política pública do SUS, mas com registro na ANVISA, conforme Tema de Repercussão Geral nº 1234.

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência maio/2026

4.3. Recomendações da CONITEC: () RECOMENDADO (x) NÃO RECOMENDADO () NÃO AVALIADO

Na 148ª Reunião Ordinária da Conitec, realizada no dia 11 de fevereiro de 2026, o Comitê deliberou, por maioria simples, pela submissão do tema à Consulta Pública, com recomendação preliminar desfavorável à incorporação da vosoritida para tratamento da acondroplasia em pacientes a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas. A recomendação considerou as incertezas sobre população-alvo e faixa etária (especialmente em <5 anos), dúvidas sobre início e duração do tratamento e critérios de interrupção (relacionados ao fechamento epifisário), além de preocupações com custo-efetividade e impacto orçamentário.

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

A CONITEC avaliou a incorporação do medicamento em fevereiro de 2026. Para tal análise, “foram incluídas seis publicações, referentes a dois ensaios clínicos com segmentos openlabel. Os estudos identificados sugerem sinal favorável de benefício, especialmente no aumento da velocidade de crescimento anual (VCA) e na melhora gradual do escore Z de altura em crianças ≥ 5 anos. No estudo pivotal de fase 3, com pacientes de 5-18 anos e 52 semanas de seguimento, a vosoritida aumentou a Velocidade de Crescimento Anual (VCA) em +1,57 cm/ano (IC 95% 1,22–1,93) e melhorou o escore Z de altura em +0,28 (IC 95% 0,17–0,39), ambos com certeza moderada da evidência. Esses achados são consistentes entre diferentes desenhos de estudo, mas apresentam incertezas importantes em conjunto, especialmente relacionadas a amostras pequenas, comparadores externos e ausência de controle nos seguimentos mais longos. Para crianças de 2 a 4 anos, a evidência é ainda mais limitada, baseada em um único estudo clínico; ganho em relação ao placebo de 1,10 cm/ano (IC 95% 0,13 a 2,07) para VCA e 0,33 (IC 95% 0,00 a 0,67) para escore z de altura. Quanto à proporcionalidade corporal, os dados sugerem ausência de piora e possível pequena melhora em seguimentos prolongados. A evidência sobre qualidade de vida permanece limitada, uma vez que estudos de curto prazo não mostram diferenças relevantes e os resultados positivos de longo prazo são imprecisos e derivam de amostras pequenas e não controladas. O perfil de segurança mostra predominância de eventos adversos leves, com raros eventos graves. Persistem, contudo, incertezas sobre eventos ortopédicos pouco frequentes e sobre a imunogenicidade, cujos efeitos futuros ainda não são conhecidos. De forma geral, o balanço benefício-risco aponta para potencial benefício, porém acompanhado de incerteza substancial, sobretudo em faixas etárias mais jovens em seguimentos prolongados. Os estudos de mundo real incluídos nas evidências adicionais corroboram com os resultados observados nos ensaios clínicos, especialmente ao fornecer dados adicionais para crianças entre 2 e 4 anos, com baixa certeza no corpo de evidências. Esses estudos também ampliam a discussão sobre impacto clínico da vosoritida ao documentar mudanças funcionais e estruturais, apesar da incerteza importante nesses achados”.

Como considerações finais, o relatório técnico traz que “o conjunto de evidências disponíveis sobre o uso de vosoritida em crianças com acondroplasia cujas epífises encontravam-se abertas sugere benefício em termos de crescimento, com segurança aceitável, mas com incerteza relevante, especialmente para crianças < 5 anos. Persistem lacunas sobre desfechos funcionais, complicações, impacto a longo prazo e necessidade futura de intervenções cirúrgicas. As conclusões devem ser interpretadas com cautela, em razão das limitações metodológicas presentes e da necessidade de monitorização contínua. Ao mesmo tempo, reconhece-se que a acondroplasia é uma condição rara, grave e

sistêmica, sem terapias medicamentosas específicas disponíveis no SUS. A avaliação econômica realizada encontrou uma RCEI para vosoritida de cerca de 1.09 milhão de reais por cm ganho por ano no período avaliado ou uma RCEI (utilidade) de aproximadamente 2,6 milhões de reais por QALY (aferida por QoLISSY). No modelo do demandante externo, a RCEI foi de cerca de R\$ 1,06 milhão QALY para pacientes ≥ 6 meses. Essa diferença decorre de diferenças na estrutura e parâmetros dos modelos. Ainda assim, mesmo no cenário mais favorável, os valores de RCEI permanecem elevados. Em relação à AIO em 5 anos num cenário conservador o impacto orçamentário se situaria em R\$ 755,46 milhões de reais; por sua vez em um contexto de uso moderado, o custo em 5 anos seria de R\$ 922,34 milhões de reais. Na demanda externa, o impacto orçamentário incremental em 5 anos é de R\$ 2,4 bilhões. A divergência entre os resultados decorre, essencialmente, do uso de uma população elegível muito maior e de um market share agressivo na demanda externa”.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Melhora do crescimento somático e da qualidade de vida

6. Conclusão

6.1. Parecer

() Favorável

(x) Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Trata-se da primeira medicação aprovada especificamente para o tratamento da acondroplasia, estando todos os outros tratamentos existentes voltados unicamente para a prevenção e tratamento de complicações da doença. Os estudos clínicos são promissores e há evidências de benefício, embora haja limitações metodológicas e lacunas sobre desfechos funcionais e impactos a longo prazo com o uso da vosoritida. A CONITEC avaliou a incorporação do medicamento em fevereiro de 2026 e deu parecer contrário a sua incorporação; entretanto, a matéria esteve em consulta pública até 30/03/2026 e aguarda-se uma decisão final.

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

7. Referências bibliográficas

Brasil, Ministério da Saúde. Vosoritida para tratamento de acondroplasia (ACH) em pacientes a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas. Relatório de recomendação. Brasília, 2026

8. 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://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2024.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.

PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT) - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo 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.

A autoria do presente documento não é divulgada, nos termos do artigo 3º, §1º, da Resolução nº 479/2022, do Conselho Nacional de Justiça.