

NOTA TÉCNICA Nº 4599/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5001333-28.2020.4.03.6127
- 1.3. Data da Solicitação: 10/06/2025
- 1.4. Data da Resposta: 07/08/2025

2. Requerido

SAÚDE PÚBLICA

3. Paciente

- 3.1. Data de Nascimento/Idade: 07/06/2013 - 12 anos
- 3.2. Sexo: Feminino
- 3.3. Cidade/UF: São João da Boa Vista/SP
- 3.4. Histórico da doença: Hipoplasia Pontocerebelar tipo 6 - CID G71.3

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

5. Descrição da Tecnologia

- 5.1. Tipo da tecnologia: **PROCEDIMENTO TRATAMENTO EXPERIMENTAL COM CÉLULAS-TRONCO COM EQUIPE ESPECIALIZADA, ATRAVÉS DE INFUSÃO DIRETA VIA RAQUIMEDULAR**
- 5.2. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: não
- 5.3. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: tratamento sintomático (antiepilépticos) e de suporte (terapia multidisciplinar, suporte nutricional, equipamentos)

6. Discussão e Conclusão

- 6.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

A hipoplasia pontocerebelar (HPC) descreve um grupo raro e heterogêneo de distúrbios neurodegenerativos, principalmente com início pré-natal. Os pacientes apresentam hipoplasia ou atrofia grave do cerebelo e da ponte, com envolvimento variável de estruturas supratentoriais, comprometimentos motores e cognitivos, acidose láctica.

As principais manifestações clínicas incluem epilepsia resistente ao tratamento, atraso profundo no desenvolvimento neuropsicomotor, espasticidade ou hipotonia persistente.

O manejo clínico é exclusivamente sintomático e paliativo, com foco em melhorar a qualidade de vida e controlar complicações.

Como já muito bem argumentado pelo perito indicado, Dr. Adriano Teixeira de Oliveira, apesar de ser um tratamento consagrado para algumas doenças, trata-se de um procedimento totalmente experimental para a doença em questão e, como tal, deve ser feito por algum centro de pesquisa, com anuência da Comissão de Ética desse centro de pesquisa.

6.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Trata-se de um procedimento totalmente experimental para a doença em questão, não havendo evidências de benefício até o momento.

6.3. Parecer

() Favorável

(x) Desfavorável

6.4. Conclusão Justificada:

Procedimento ainda não estudado para a doença em questão, portanto sem qualquer indicação para realização, a não ser em pesquisa científica.

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

6.5. Referências bibliográficas:

VAN DIJK, Tessa; BAAS, Frank; BARTH, Peter G.; POLL-O, Bwee Tien. O que há de novo na hipoplasia pontocerebelar? Uma atualização sobre genes e subtipos. Orphanet Journal of Rare Diseases, [S.l.], v. 13, p. 92, 15 jun. 2018. Disponível em: <https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC6003>

6.6. 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.

PROTOS COLS 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.

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

Equipe NAT-Jus/SP