

NOTA TÉCNICA Nº 5611/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5002064-45.2025.4.03.6128
- 1.3. Data da Solicitação: 18/07/2025
- 1.4. Data da Resposta: 22/09/2025
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 02/03/2007– 18 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: CID G71.01 – Distrofia Muscular de Duchenne.

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

Solicita que a Nota Técnica contenha esclarecimentos acerca da interação medicamentosa do fármaco pleiteado nesta ação, AGAMREE (Vamorolona 40mg/ml), com o medicamento (DUVYZAT - givinostat, em posologia de 5 ml), pleiteado nos autos n.º 5015844-39.2025.4.03.6100.

A calculadora médica de interações medicamentosas fornecida pela plataforma Uptodate não identifica nenhuma interação significativa. Nota-se que ambos os medicamentos são novos e de uso raro, podendo haver interações ainda desconhecidas entre eles.



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?
AGAMREE – 40mg/ml	VAMOROLONE	NÃO	NÃO	corticoides e reabilitação não farmacológicos.	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
AGAMREE – 40mg/ml	AGAMREE	SANTHERA PHARMACEUTICALS (DEUTSCHLAND)	SUSPENSÃO ORAL – 100ML	(1)	7,5ml ao dia	(1)
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				(1)		
MÉDICO PRESCRITOR				SAÚDE SUPLEMENTAR		

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

(1) – Medicamento importado sem registro na ANVISA, não possui valor na tabela CMED.

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência setembro/2025.

4.3. Recomendações da CONITEC: **NÃO AVALIADO**

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

Sobre a Distrofia Muscular de Duchenne (DMD)

A distrofia muscular de Duchenne (DMD) é uma desordem genética progressiva que causa enfraquecimento e perda de tecido muscular. É uma das muitas formas de distrofia muscular, mas é a mais comum e severa, e é caracterizada pelo rápido progresso dos sintomas. Afeta principalmente meninos, e os sintomas geralmente começam a se manifestar entre os 3 e 5 anos de idade.

É causada por mutações no gene que produz a distrofina, uma proteína essencial para a saúde e funcionamento das fibras musculares. A ausência ou deficiência de distrofina faz com que as fibras musculares se tornem frágeis e se danifiquem facilmente.

Os sintomas são fraqueza muscular progressiva, dificuldade em levantar-se do chão, correr ou subir escadas, aumento do tamanho dos músculos da panturrilha, caminhar na ponta dos pés; contraturas musculares, dificuldades respiratórias à medida que a doença progride, complicações cardíacas, incluindo cardiomiopatia.

A maioria das crianças começa a mostrar sintomas antes dos 6 anos de idade. Muitos precisarão de uma cadeira de rodas antes dos 12 anos de idade. À medida que a doença avança, os indivíduos podem desenvolver dificuldades respiratórias e cardíacas, o que pode ser fatal, geralmente na segunda ou terceira década de vida.

O diagnóstico pode envolver uma combinação de exame físico, exames de sangue (incluindo níveis elevados de uma enzima chamada creatina quinase), biópsia muscular, e testes genéticos para identificar mutações no gene da distrofina.

O tratamento com corticosteroides, padrão de cuidado, visa tratar os sintomas e retardar a progressão da doença; no entanto, o uso prolongado de corticosteroides está associado a efeitos colaterais significativos, incluindo ganho excessivo de peso, crescimento retardado e osteoporose (Gloss et al., 2016; Kourakis et al., 2021). Além disso, esse tratamento é apenas paliativo e não aborda a ausência da proteína distrofina funcional, a causa subjacente desta doença (Kourakis et al., 2021).

Sobre o Vamorolone

O medicamento **não tem registro na ANVISA**.

Vamorolone (Agamree®) é um corticosteróide oral, seletivo e dissociativo desenvolvido pela ReveraGen BioPharma e Santhera Pharmaceuticals para o tratamento de pacientes com distrofia muscular.

O vamorolone tem um mecanismo de ação diferente dos medicamentos anti-inflamatórios corticosteróides tradicionais. Estudos anteriores mostraram que a vamorolone pode ser uma alternativa mais segura do que a prednisona, pois ocorreram menos efeitos adversos (EAs) relatados pelo médico com o vamorolone do que os relatados

para o tratamento com prednisona e deflazacort, além disso, a terapia com vamorolone não resultou no retardo do crescimento comum com esses corticosteróides, indicando que o vamorolone pode ser uma opção adequada para o tratamento da DMD.

Entretanto as **evidências científicas ainda são insuficientes** e são necessários estudos prospectivos randomizados de ensaios clínicos com amostras maiores e durações de acompanhamento mais longas.

Interação medicamentosa entre Agamree® (vamorolone) e Duvyzat® (givinostat)

A calculadora médica de interações medicamentosas fornecida pela plataforma Uptodate não identifica nenhuma interação significativa. Nota-se que ambos os medicamentos são novos e de uso raro, podendo haver interações ainda desconhecidas entre eles.

Na bula do produto original, em inglês, há referência de interações medicamentosas com: desmopressina, mifepristona, antiagregantes plaquetários e anticoagulantes. O site drugs.com, de interações medicamentosas, não lista interações entre as duas drogas.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Melhora da qualidade de vida.

6. Conclusão

6.1. Parecer

() Favorável

(X) Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

O medicamento **não possui registro na ANVISA** e as **evidências científicas ainda são insuficientes** para esclarecimento a respeito dos benefícios e segurança com o uso do medicamento.

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

1. Keam SJ. Vamorolone: First Approval. *Drugs*. 2024 Jan;84(1):111-117. doi: 10.1007/s40265-023-01986-2. PMID: 38103149.

2. UNITED STATES. Food and Drug Administration. *Bula do medicamento: Agamree (vamorolone)*. Silver Spring, MD: FDA, 2023. Disponível em: https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2023/215239s000lbl.pdf.
3. DRUGS.COM. *Drug Interaction Checker: Find Unsafe Combinations*. [S.l.]: Drugs.com, 2025. Disponível em: https://www.drugs.com/drug_interactions.html.
4. Elhalag RH, Motawea KR, Talat NE, Rouzan SS, Shah J. Efficacy of vamorolone in treatment of Duchene muscle dystrophy. A meta-analysis. *Front Neurol*. 2023 Feb 1;14:1107474. doi: 10.3389/fneur.2023.1107474. PMID: 36816559; PMCID: PMC9929286.

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://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.

PROTÓCOLOS 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.