

NOTA TÉCNICA Nº 8416/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000083-02.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 16/10/2025
- 1.4. Data da Resposta: 13/11/2025
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 06/09/2012 – 13 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Atrofia Muscular Espinhal tipo 3 (AME) – CID G12.1

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



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?
Evrysdi - Pó para solução oral 0,75mg/mL -	RISDIPLAM	1010006700015	NÃO, PARA AME TIPO III	Para os tipos 2 e 3 da AME, o Ministério da Saúde ofertará o medicamento Spiranza na modalidade compartilhamento de risco. Neste formato, o governo paga pelo medicamento somente se houver melhora da saúde do paciente.	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
EVRYSDI	EVRYSDI	PRODUTOS ROCHE QUÍMICOS E FARMACÊUTICOS S.A.	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	R\$45.318,72	01 frasco de 80mL a cada 12 dias / Dar 6,6mL através de uso de dispensador, via gastrostomia, 1x ao dia	R\$ 1.404.880,32
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 1.404.880,32		
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.

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência 11/2025.

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

Diante do exposto, os membros da Conitec, em sua 105ª Reunião Ordinária, no dia 10 de fevereiro de 2022, deliberaram por unanimidade recomendar a incorporação ao SUS do risdiplam para tratamento de pacientes diagnosticados com Atrofia Muscular Espinhal (AME) do tipo II conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde e deliberaram por unanimidade recomendar a **não incorporação** ao SUS do **risdiplam** para tratamento de pacientes diagnosticados com **AME do tipo IIIa**. Esta recomendação justifica-se em virtude do aparecimento de novas evidências, da facilidade de uso em pacientes com escoliose



avançada e do uso do medicamento fora do ambiente hospitalar no caso da AME tipo II. Também para este grupo foi estimada uma economia de recursos para o SUS. Não foram apresentadas novas evidências ou argumentação que alterassem a recomendação preliminar da Comissão para AME tipo IIIa. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 706/2022.

4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: Não, para AME tipo III.

4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: As opções terapêuticas disponíveis SUS para tratamento da AME incluem terapias não medicamentosas multidisciplinares, incluindo medidas gerais de suporte com intervenções de fisioterapia, cuidados respiratórios, terapia nutricional suplementar, fonoaudiologia, etc.

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

Atrofia Muscular Espinhal (AME)

A AME 5q é uma doença neuromuscular hereditária, caracterizada pela degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e tronco encefálico, que resulta em fraqueza muscular, geralmente simétrica, e atrofia atribuídas à disfunção e perda do neurônio motor. O diagnóstico é confirmado por meio de testes genéticos e moleculares.

Clinicamente, a AME 5q é classificada em diferentes subtipos, com base na gravidade, no número de cópias SMN2 (e teoricamente com o nível de proteína de SMN, fornecendo uma base molecular para a classificação) e na idade de início dos sintomas, sendo então dividida em início precoce e tardio. A forma mais comum da doença é a AME 5q tipo I, caracterizada pelo início precoce da doença, antes dos seis meses de idade.

A AME 5q de início tardio, classificada como tipos II a IV, apresenta, de uma forma geral, melhor prognóstico quando comparada à AME 5q tipo I. A AME 5q tipo II é caracterizada por ser sintomática, em geral, entre 6 e 18 meses de idade, a capacidade de sentar-se é geralmente alcançada por volta dos nove meses e os pacientes normalmente não ficam de pé ou andam independentemente. Embora a expectativa de vida seja reduzida nestes pacientes, a maioria chega à idade adulta. Os pacientes com AME 5q tipo III, com início do aparecimento dos sintomas entre as idades de 18 meses e a idade adulta, geralmente conseguem ficar em pé ou andar sem apoio, embora muitos percam essas habilidades posteriormente, com a progressão da doença. Têm expectativa de vida da população geral, mas com considerável fraqueza neuromuscular e heterogeneidade de sintomas e manifestações clínicas.

Crianças com AME tipo 1 apresentam: paralisia flácida simétrica e grave com incapacidade de sustentação do tronco e cabeça; dificuldade para chorar e sugar; fasciculações da língua; dificuldade para respirar progressiva; deformidade progressiva da caixa torácica e dos membros devido à paralisia da musculatura. Essas crianças requisitam suporte nutricional com sondas e gastrostomia, além de suporte ventilatório com o uso de ventilação mecânica e aspiração de líquidos e resíduos presentes na faringe. Algumas crianças apresentam uma sobrevida mais longa, mas espera-se que a maioria faleça até os dois anos de idade por complicações respiratórias.

Tratamento

Atualmente, não há tratamento medicamentoso disponível no SUS específico para o tratamento da AME 5q tipos II e III. O nusinersena é fornecido no SUS apenas para os pacientes diagnosticados com AME 5q tipo I, que cumprem os critérios de elegibilidade do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da doença. Entretanto, os cuidados de

suporte, reabilitação e paliativos, realizados por meio de uma equipe multidisciplinar com experiência no cuidado de pacientes com AME 5q, auxiliam para a redução parcial da carga e alteram a história natural da doença. O objetivo dos tratamentos é minimizar os efeitos primários e secundários da fraqueza muscular, e incluem o controle de complicações pulmonares, suporte nutricional e gastrointestinal, cuidados ortopédicos, intervenções de reabilitação e cuidados de final de vida.

O medicamento nusinersena (Spinraza) foi capaz de melhorar atividades motoras dessas crianças, tais como sustentação da cabeça, rolar, engatinhar, ficar em pé e andar. Além disso, a medicação mostrou benefício para a redução da taxa de permanência na ventilação mecânica ou óbito. Essa medicação foi aprovada na Anvisa e teve parecer favorável ao seu uso emitido pela CONITEC. O mesmo também ocorreu com o medicamento risdiplam. Pacientes com AME tipo 1 e 2 podem ter acesso a esses medicamentos a partir do preenchimento correto de documentos necessários, além das devidas orientações sobre sua aquisição. Detalhes podem ser consultados no PCDT da doença.

O medicamento Zolgensma é uma das opções atualmente disponíveis para o tratamento de crianças com AME tipo 1. Mas, não há evidências suficientes que permitam afirmar que o tratamento é definitivamente necessário, essencial.

Devido às particularidades da doença, do mecanismo de ação da droga e do seu custo, foi estabelecido um termo de compromisso com a empresa produtora (Novartis), assegurando “a realização de estudos complementares de acompanhamento de pacientes brasileiros, de forma a acompanhar o perfil de segurança e de eficácia do produto no país em longo prazo, na perspectiva da avaliação da manutenção do balanço benefício x risco positivo, como atestado no registro” (retirado do site da Anvisa). A execução desse termo de compromisso permitiria melhor compreender a relevância da medicação.

O medicamento nusinersena (Spinraza) foi estabelecido como eficaz para o tratamento de pacientes com AME tipo 1 e teve parecer favorável emitido pela CONITEC, sendo então adotado em âmbito nacional. Para os tipos 2 e 3 da AME, o Ministério da Saúde oferta o medicamento na modalidade compartilhamento de risco. Neste formato, o governo paga pelo medicamento somente se houver melhora da saúde do paciente.

Dois medicamentos são considerados equivalentes farmacêuticos quando ambos possuem o mesmo fármaco. O medicamento nusinersena (Spinraza) não é um equivalente farmacêutico do medicamento onasemnogene abeparvovec (Zolgensma). Porém, ambos são opções de medicamentos desenvolvidos para o tratamento de pacientes com AME tipo 1. Ainda é incipiente a evidência de comparativa entre os dois medicamentos em questão.

Risdiplam

Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC)

Outros medicamentos para transtornos do sistema músculo-esquelético.

Nomes comerciais

Evrysdi®

Indicações

O medicamento risdiplam é indicado para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME).

Padronização no SUS

Relação Nacional de Medicamentos Essenciais - RENAME 2024

Portaria Conjunta SAES/SECTICS/MS nº 06, de 15 de maio de 2023 - Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2.

Informações sobre o medicamento

O medicamento risdiplam está padronizado pelo Ministério da Saúde para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q tipo I e II - CID10 G12.0 e G12.1, por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), na apresentação de 0,75 mg/mL pó para solução oral (frasco 80 mL), sendo necessário o preenchimento dos critérios de inclusão definidos pelo Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas – PCDT da doença.

Recomendação desfavorável da CONITEC

A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC publicou o Relatório de Recomendação nº 710, aprovado pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SCTIE/MS nº 17, de 11 de março de 2022, com a **decisão final de não incorporar o risdiplam** para o tratamento da **Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo IIIa**, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS.

Informações sobre o financiamento do medicamento

O medicamento risdiplam pertence ao Grupo 1A do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) apenas para o tipo I e II. A aquisição dos medicamentos que compõem o grupo 1A é de responsabilidade exclusiva da União.

O Grupo 1 (1A e 1B) é constituído por medicamentos que representam elevado impacto financeiro para o Componente, por aqueles indicados para doenças mais complexas, para os casos de refratariedade ou intolerância a primeira e/ou segunda linha

de tratamento e por aqueles que se incluem em ações de desenvolvimento produtivo no complexo industrial da saúde.

A responsabilidade pelo armazenamento, distribuição e dispensação dos medicamentos do Grupo 1 (1A e 1B) é das Secretarias Estaduais de Saúde. Independentemente do Grupo, o fornecimento de medicamentos padronizados no CEAF deve obedecer aos critérios de diagnóstico, indicação de tratamento, inclusão e exclusão de pacientes, esquemas terapêuticos, monitoramento, acompanhamento e demais parâmetros contidos nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), estabelecidos pelo Ministério da Saúde, de abrangência nacional.

O medicamento risdiplam é uma droga de via oral recentemente desenvolvida e comercializada pela farmacêutica Roche e que está em fase de testes clínicos. Ela permite que o gene SMN2 aumente a produção de proteínas SMN funcionais ao organismo. Espera-se que com isso o medicamento consiga melhorar a funcionalidade de crianças afetadas pela AME tipo 1.

A base ClinicalTrials.gov é uma plataforma online para credenciamento de pesquisas clínicas, sendo utilizada por pesquisadores de todo o mundo. A pesquisa pelo termo “risdiplam” nessa plataforma encontrou 13 resultados: 5 pesquisas estavam identificadas como “completed” e 2 dessas tinham resultados disponíveis; 3 pesquisas estavam identificadas como “recruiting”; 4 pesquisas estavam identificadas como “active, not recruiting” e 1 dessas tinha resultados disponíveis; por fim, uma estava classificada como “approved for marketing”.

Dentre as 3 pesquisas com resultados disponíveis, uma avaliou a interação do medicamento com outra droga (NCT03988907); a segunda avaliou características farmacológicas do medicamento e efeitos hepáticos em pessoas saudáveis (NCT03920865); e a terceira avaliou características do medicamento em pacientes com AME tipo 1 (NCT02913482).

A pesquisa registrada pelo código NCT02913482 é denominada “Investigate safety, tolerability, PK, PD and efficacy of risdiplam (RO7034067) in infants with type 1 spinal muscular atrophy (FIREFISH)” e gerou uma publicação em março de 2021 no New England Journal of Medicine.

A publicação é a primeira parte de um estudo clínico de fases 2 e 3. Eles avaliaram características de segurança, farmacocinética, farmacodinâmica e a dose ideal do risdiplam em crianças de 1 a 7 meses de idade com diagnóstico de AME tipo 1. Vinte e uma crianças foram recrutadas. Quatro receberam uma dose baixa de 0,08 mg/Kg.dia e dezessete receberam uma dose alta de 0,2 mg/Kg.dia. Eles identificaram que a dose maior provocou maiores alterações no valor da proteína SMN no sangue e que 7 crianças que receberam essa dose conseguiam sentar-se sem suporte por pelo menos 5 segundos após 12 meses (comparado com zero criança do grupo que recebeu a dose menor. Com isso, a dose maior foi selecionada para a segunda parte do estudo. Os eventos adversos graves descritos no estudo incluíram: pneumonia, infecções respiratórias e insuficiência respiratória, sendo que 4 crianças morreram durante o período de acompanhamento do estudo.

A segunda parte dessa publicação teve o anúncio de encontrar resultados positivos, mas que ainda não foram publicados em revistas científicas com revisão de pares.

O medicamento teve registro na “Food and Drug Administration” nos EUA e continuará tendo seus resultados analisados pela companhia. No Brasil, recentemente, a ANVISA aprovou seu registro.

A bula do medicamento cita os resultados encontrados nos estudos FIREFISH (primeira e segunda parte) e SUNFISH.

O estudo FIREFISH foi citado acima. O estudo SUNFISH está registrado no ClinicalTrials.gov com o registro NCT02908685 e é denominado “A Study to Investigate the Safety, Tolerability, Pharmacokinetics, Pharmacodynamics and Efficacy of Risdiplam (RO7034067) in Type 2 and 3 Spinal Muscular Atrophy (SMA) Participants (SUNFISH)”. O seu status na plataforma é “active, not recruiting”. Não existem links ali para publicações que tenham sido realizadas em revistas científicas revisadas por pares.

Não foi possível encontrar nenhum outro ensaio clínico publicado dos estudos FIREFISH ou SUNFISH que permita análise de desfechos clínicos de pacientes. Apesar dos dados citados em bulas, conclui-se que esses resultados ainda aguardam análises definitivas e a publicação em revistas revisadas por pares.

A CONITEC analisou a introdução do medicamento para o tratamento da AME tipo 1. Apesar de haver uma baixa evidência indicando o benefício do medicamento, a recomendação final técnica foi pela sua incorporação no SUS.

Considerando a ausência de ensaios clínicos publicados a respeito da eficácia da droga risdiplam não é possível estabelecer o real benefício do seu uso. A raridade da doença fez com que a CONITEC elaborasse parecer favorável à incorporação do medicamento no SUS diante das evidências disponíveis até o momento. Espera-se que o uso do medicamento traga ganho em marcos motores e menor desconforto aos pacientes, já que sua administração é por via oral (enquanto nusinersena é administrado por via intratecal).

A avaliação da CONITEC positiva é de 2022 e versa sobre pacientes com AME tipo 1. Em 2021, a CONITEC elaborou um parecer negativo para utilização do medicamento em pacientes com AME tipo 2 ou 3. Esta posição foi revisada em julho de 2022, e foi emitido um parecer positivo ao uso de risdiplam para pacientes com AME tipo 2 (o parecer também foi negativo à incorporação de risdiplam para pacientes com AME tipo 3).

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Independência de ventilação mecânica invasiva permanente, definida como < 24 horas de ventilação por dia, continuamente, durante o período do tratamento medicamentoso, exceto por uso em caso de insuficiência respiratória aguda gerada por outras causas que não a AME 5q tipos I ou II; independência de suporte nutricional invasivo durante o período de tratamento e melhora ou estabilização de função motora clinicamente relevante.

6. Conclusão

6.1. Parecer

- () Favorável
(X) Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada:

Considerando a ausência de ensaios clínicos publicados a respeito da eficácia da droga risdiplam não é possível estabelecer o real benefício do seu uso. A raridade da doença fez com que a CONITEC elaborasse parecer favorável à incorporação do medicamento no SUS para AME tipo I e II diante das evidências disponíveis até o momento.

Pacientes com AME tipo 3 possuem melhor prognóstico, tendo maior sobrevida e maior tempo até a perda de marcos motores. Quão melhor é o espectro da doença, mais difícil é de se comprovar a eficácia de um determinado medicamento. É também por isso que há poucos dados a respeito do tratamento de pacientes com AME tipo 3.

Os membros da Conitec, em sua 105ª Reunião Ordinária, no dia 10 de fevereiro de 2022, deliberaram por unanimidade recomendar a **não incorporação** ao SUS do **risdiplam** para tratamento de pacientes diagnosticados com **AME do tipo IIIa**. Não foram apresentadas novas evidências ou argumentação que alterassem a recomendação preliminar da Comissão para AME tipo IIIa. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 706/2022.

Quando há perda significativa de marcos motores, os tratamentos disponíveis deixam de ser eficazes e volta-se a considerar medidas não-medicamentosas.

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. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Portaria Conjunta nº 6, de 22 de maio de 2023: Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2 [Internet]. Brasília: Ministério da Saúde; 2023. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20230522_portariaconjuntano6atrofiamuscularespinhal5qtipos1e2.pdf

Brasil. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC). *Relatório de recomendação nº 709: risdiplam para atrofia muscular espinhal tipo I* [Internet]. Brasília: Ministério da Saúde; 2022 [cited 2025 Nov 13]. Available from:

http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2022/20220314_Relatorio_709_risdiplam_AMEt_ipol.pdf

Brasil. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC). *Relatório de recomendação social nº 300: risdiplam para atrofia muscular espinhal tipo I* [Internet]. Brasília: Ministério da Saúde; 2022 [cited 2025 Nov 13]. Available from:

http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2022/Sociedade/20220513_ReSoc_30_0_Risdiplam-AME_Tipo_I_-final.pdf

Thomas NH, Dubowitz V. The natural history of type I (severe) spinal muscular atrophy. *Neuromuscul Disord*. 1994 Sep-Nov;4(5-6):497-502. doi: 10.1016/0960-8966(94)90090-6. PMID: 7881295.

Kolb SJ, Coffey CS, Yankey JW, Krosschell K, Arnold WD, Rutkove SB, Swoboda KJ, Reyna SP, Sakonju A, Darras BT, Shell R, Kuntz N, Castro D, Parsons J, Connolly AM, Chiriboga CA, McDonald C, Burnette WB, Werner K, Thangarajh M, Shieh PB, Finanger E, Cudkowicz ME, McGovern MM, McNeil DE, Finkel R, Iannaccone ST, Kaye E, Kingsley A, Renssch SR, McGovern VL, Wang X, Zaworski PG, Prior TW, Burghes AHM, Bartlett A, Kissel JT; NeuroNEXT Clinical Trial Network on behalf of the NN101 SMA Biomarker Investigators. Natural history of infantile-onset spinal muscular atrophy. *Ann Neurol*. 2017 Dec;82(6):883-891. doi: 10.1002/ana.25101. Epub 2017 Dec 8. PMID: 29149772; PMCID: PMC5776712.

ClinicalTrials.gov. Results for study NCT02913482: A study of risdiplam (RG7916) in patients with Type 2 or 3 spinal muscular atrophy (SUNFISH) [Internet]. Bethesda (MD): U.S. National Library of Medicine; 2023 [cited 2025 Nov 13]. Available from: <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/results/NCT02913482?term=risdiplam&draw=3&rank=5>

Oskoui M, Levy G, Garland CJ, Gray JM, O'Hagen J, De Vivo DC, Kaufmann P. The changing natural history of spinal muscular atrophy type 1. *Neurology*. 2007 Nov 13;69(20):1931-6. doi: 10.1212/01.wnl.0000290830.40544.b9. PMID: 17998484.

Chung BH, Wong VC, Ip P. Spinal muscular atrophy: survival pattern and functional status. *Pediatrics*. 2004 Nov;114(5):e548-53. doi: 10.1542/peds.2004-0668. Epub 2004 Oct 18. PMID: 15492357.

Dhillon S. Risdiplam: First Approval. *Drugs*. 2020 Nov;80(17):1853-1858. doi: 10.1007/s40265-020-01410-z. PMID: 33044711.
<https://www.clinicaltrials.gov/ct2/results?cond=&term=risdiplam&cntry=&state=&city=&dist=>

Baranello G, Darras BT, Day JW, Deconinck N, Klein A, Masson R, Mercuri E, Rose K, El-Khairi M, Gerber M, Gorni K, Khwaja O, Kletzl H, Scalco RS, Seabrook T, Fontoura P, Servais L; FIREFISH Working Group. Risdiplam in Type 1 Spinal Muscular Atrophy. *N Engl J Med*. 2021 Mar 11;384(10):915-923. doi: 10.1056/NEJMoa2009965. Epub 2021 Feb 24. PMID: 33626251.

FIREFISH Part 2: Efficacy and safety of risdiplam (RG7916) in infants with Type 1 spinal muscular atrophy (SMA) Giovanni Baranello, Laurent Servais, Riccardo Masson, Maria Mazurkiewicz-Beldzińska, Kristy Rose, Dmitry Vlodavets, Hui Xiong, Edmar Zanoteli, Muna El-Khairi, Sabine Fuerst-Recktenwald, Marianne Gerber, Ksenija Gorni, Heidemarie Kletzl, Renata Scalco, Basil T. Darras *European Respiratory Journal* Sep 2020, 56 (suppl 64) 1172; DOI: 10.1183/13993003.congress-2020.1172

U.S. Food and Drug Administration. FDA approves oral treatment for spinal muscular atrophy [Internet]. Silver Spring (MD): FDA; 2020 [cited 2025 Nov 16]. Available from: <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-oral-treatment-spinal-muscular-atrophy>

Rede Nacional de Núcleos de Apoio Técnico ao Judiciário (Redenatjus). Anvisa registra o medicamento risdiplam para atrofia muscular espinhal [Internet]. Brasília: Redenatjus; 2020 [cited 2025 Nov 16]. Available from: <https://redenatjus.org.br/anvisa-registra-o-medicamento-risdiplam-para-atrofia-muscular-espinhal/>

Brasil. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Resolução RE nº 4.079, de 8 de outubro de 2020 [Internet]. Diário Oficial da União; 2020 [cited 2025 Nov 16]. Available from: <https://www.in.gov.br/en/web/dou/-/resolucao-re-n-4.079-de-8-de-outubro-de-2020-282194844>

Roche Brasil. Evrysdi – bula para profissionais de saúde [Internet]. São Paulo: Roche; 2020 [cited 2025 Nov 13]. Available from: https://www.dialogoroche.com/content/dam/brasil/bulas/e/evrysdi/Evrysdi_Bula_Prof.pdf

ClinicalTrials.gov. Study of risdiplam (RG7916) in infants with Type 1 spinal muscular atrophy (FIREFISH) [Internet]. Bethesda (MD): U.S. National Library of Medicine; 2016 [cited 2025 Nov 13]. Available from: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02908685>

Mercuri E, et al. FIREFISH Part 1: Safety and exploratory efficacy of risdiplam in infants with Type 1 spinal muscular atrophy [Internet]. *Neurology*. 2019;92(15 Suppl):S25.007. Available from: https://n.neurology.org/content/92/15_Supplement/S25.007

Baranello G, et al. FIREFISH Part 2: Efficacy and safety of risdiplam in infants with Type 1 spinal muscular atrophy [Internet]. *Neurology*. 2020;94(15 Suppl):1260. Available from: https://n.neurology.org/content/94/15_Supplement/1260

Servais L, et al. SUNFISH Part 2: Efficacy and safety of risdiplam in patients with Type 2 or 3 spinal muscular atrophy [Internet]. *Neurology*. 2021;96(15 Suppl):4126. Available from: https://n.neurology.org/content/96/15_Supplement/4126

Brasil. Ministério da Saúde. *Atrofia muscular espinhal (AME)* [Internet]. Brasília: Ministério da Saúde; [cited 2025 Nov 13]. Available from: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/saude-de-a-a-z/a/ame>

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.

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.

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.