

NOTA TÉCNICA Nº 8950/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5000466-77.2025.4.03.6703
1.3. Data da Solicitação: 14/11/2025
1.4. Data da Resposta: 07/01/2026
1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento: 03/05/2024
2.2. Sexo: Masculino
2.3. Cidade/UF: Patrocínio Paulista/SP
2.4. Histórico da doença: Acondroplasia - CID Q77.4

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

1. Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação?
Não. Foi solicitada em setembro de 2025 sua incorporação e ainda não há avaliação por parte da CONITEC.
2. Caso haja manifestação contrária da CONITEC para incorporação, a parte autora apresentou evidências científicas de alto nível decorrentes de estudos posteriores à avaliação pelo órgão?
Acima.
3. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS?
O tratamento da acondroplasia se baseia no manejo e prevenção de complicações. A vosorotida é o primeiro medicamento aprovado para o tratamento específico da doença.
4. Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido?
De acordo com a bula aprovada pela ANVISA, é indicado para o tratamento da acondroplasia em pacientes pediátricos a partir de 6 meses de idade cujas e epífises não estão fechadas.
5. A indicação específica para [CID da parte autora] consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado?

Sim.

6. Caso a indicação não esteja aprovada, trata-se de uso off-label do medicamento?
Indicação de acordo com a bula aprovada pela ANVISA.

7. Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada (Fase III, duplo-cego, controlados) que demonstrem a eficácia e segurança do medicamento especificamente para o quadro da parte autora?

Informações retiradas da bula do medicamento aprovada pela ANVISA:

A eficácia e a segurança de vosoritida em pacientes com acondroplasia com mutação FGFR3 confirmada foram avaliadas em um estudo de 52 semanas randomizado, duplo-cego, controlado por placebo (estudo ACH 111-301). No estudo ACH 111-301, os pacientes foram randomizados para vosoritida (n = 60) ou placebo (n = 61) e a dose de vosoritida foi de 15 mcg/kg, administrada por via subcutânea uma vez ao dia. Antes da randomização, todos os pacientes foram incluídos em um estudo observacional (estudo ACH 111-901) para pacientes pediátricos com acondroplasia por pelo menos um período de 6 meses durante o qual a altura inicial de pé e outras avaliações de crescimento pré-tratamento foram coletadas. Pacientes com cirurgia de alongamento de membro nos 18 meses anteriores ou que planejavam fazer a cirurgia de alongamento de membro durante o período do estudo, foram excluídos. O estudo compreendeu uma fase de tratamento controlada por placebo de 52 semanas seguida por um estudo aberto de extensão no qual todos os pacientes receberam vosoritida. O desfecho primário de eficácia foi a alteração na velocidade de crescimento anual (VCA) a partir da linha de base até a Semana 52 em comparação com o grupo placebo.

8. Os estudos disponíveis demonstram: a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS? b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo? c) Ganho de sobrevida livre de progressão? d) Melhora de qualidade de vida mensurável?

Não existem outras opções terapêuticas aprovadas ou disponíveis no SUS.

9. O esquema proposto está em conformidade com:

- a) Protocolos internacionais reconhecidos? Sim
- b) Bula aprovada pela ANVISA? Sim
- c) Literatura científica de qualidade? Sim

10. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento pretendido em relação aos demais tratamentos disponíveis no SUS?

Como descrito acima, não há outras opções terapêuticas disponíveis, sendo a vosorotida o primeiro medicamento aprovado para o tratamento específico da doença.

11. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento em relação aos demais tratamentos já realizados pela parte autora?

Como descrito acima, não há outras opções terapêuticas disponíveis, sendo a vosorotida o primeiro medicamento aprovado para o tratamento específico da doença.



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? |
|---|-----------------|--------------------|--------------------|---|-----------------------------|
| Vosoritida 0,40mg - reconstituir 1 frasco em 0,5ml do diluente e aplicar 0,25ml dessa solução via subcutânea 1 vez ao dia todos os dias | Vosoritida | 1733300050018 | Não | Não há outros medicamentos com os mesmos objetivos | Não |

| Medicamento | Marca Comercial | Laboratório | Apresentação | PMVG | Dose | Custo Anual* |
|--|-----------------|-----------------------------------|---|------------------|----------------------------|------------------|
| Vosoritida | VOXZOGO | BIOMARIN BRASIL FARMACÊUTICA LTDA | 0,4 MG PO LIOF SOL INJ SC CT 10 FA VD TRANS + 10 SER PREENC VD TRANS DIL X 0,5 ML + 10 AGU + 10 SER | R\$ 34. 785,99 | 1 vez ao dia todos os dias | R\$ 1.287.081,63 |
| CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO | | | | R\$ 1.287.081,63 | | |
| MÉDICO PRESCRITOR | | | | Saúde Pública | | |

* 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 DEZEMBRO/2025

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

Avaliado como monitorização do horizonte terapêutico (Brasília, 2022), com a seguinte conclusão: Os resultados disponíveis, até a última atualização deste alerta, foram promissores e subsidiaram o registro da vosoritida em vários países, inclusive no Brasil. Mas é importante destacar que devido à variabilidade do crescimento e ao menor pico de crescimento durante a puberdade, em crianças com acondroplasia, os efeitos a longo prazo da vosoritida só serão conhecidos quando as crianças atingirem a altura adulta final.

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

O tratamento de pessoas com acondroplasia deve envolver os diferentes aspectos que se associam às manifestações da doença, como por exemplo:

- atraso do desenvolvimento: terapias físicas (disponíveis pelo SUS)
- Auxílio e adaptação às atividades de vida diária: o que pode ser feito no SUS por equipes multidisciplinares que envolvam terapeutas ocupacionais e fisioterapeutas, entre outros.
- Crescimento: neste ponto reside o maior desafio. A desproporção entre os membros e o tronco leva a dificuldades de vida diária e baixa estatura. O PCDT de baixa estatura contempla apenas situações relacionadas à deficiência do hormônio do crescimento e situações correlatas. Para acondroplasia, a reposição de hormônio do crescimento não é recomendada e inclusive tem potencial para piorar a desproporção entre os membros e o tronco. A medicação proposta, Vosorotida, é a primeira aprovada para o tratamento específico da doença, o que aconteceu no segundo semestre de 2021. Trata-se de um análogo do peptídeo natriurético do tipo C recombinante que estimula a ossificação endocondral, um processo que é inibido em pacientes com acondroplasia e foi aprovado pela *Food and Drug Administration* dos EUA em 2021 para aumentar o crescimento linear em crianças com acondroplasia ≥ 5 anos de idade cujas epífises ainda estão abertas. Em um estudo de fase III, 121 crianças com acondroplasia com idade entre 5 e <18 anos foram aleatoriamente designadas para vosoritide 15 mcg/kg por via subcutânea diariamente ou placebo por 52 semanas. Os pacientes tratados com vosoritide tiveram um aumento maior na velocidade média de crescimento anual desde a linha de base até 52 semanas em comparação com o grupo placebo (diferença média ajustada 1,57 cm/ano; IC 95% 1,22-1,93). No Brasil, a ANVISA o aprovou em novembro de 2021 para o tratamento de acondroplasia em pacientes a partir de 2 anos de idade e cujas epífises não estão fechadas. O diagnóstico de acondroplasia deve ser confirmado por teste genético apropriado. A agência europeia de medicamentos também o aprova para crianças acima de 2 anos.
- Cirurgias de alongamentos de membros – são bastante controversas e não devem ser indicadas rotineiramente
- Controle de peso, com abordagem multidisciplinar, disponível no SUS
- Controle e prevenção de otite média – também multidisciplinar, coordenado por médicos otorrinolaringologistas, é fundamental para prevenir alterações de fala e audição; Disponível no SUS
- Tratamento da apneia do sono – com medidas comportamentais e possivelmente com abordagens otorrinolaringológicas. Disponível no SUS
- Arqueamento das pernas – necessária terapia física e órteses, disponíveis no SUS

- Estenose medular e compressão cervico-medular. Necessita de intervenção neurocirúrgica, disponível no SUS

Assim, o tratamento é complexo e necessário ao longo de toda a vida do paciente. Muitas das necessidades podem ser supridas a partir dos recursos disponíveis no SUS, entretanto, a única medicação aprovada para o tratamento da doença é a que está sendo pleiteada pelo demandante, não disponível pelo SUS e não avaliada pela CONITEC até o momento. Por outro lado, a medicação foi recentemente aprovada tanto no Brasil (aprovada pela ANVISA em novembro de 2021) quanto internacionalmente, e, embora os resultados dos estudos iniciais sejam promissores, não há dados quanto ao uso ao longo prazo e não há dados sobre a possibilidade de prevenção de todas as complicações relacionadas à doença.

Vosoritide, um análogo do peptídeo natriurético do tipo C recombinante que estimula a ossificação endocondral, um processo que é inibido em pacientes com acondroplasia, foi aprovado pela Food and Drug Administration dos EUA em 2021 para aumentar o crescimento linear em crianças com acondroplasia ≥ 5 anos de idade cujas epífises ainda estão abertas. Em um estudo de fase III, 121 crianças com acondroplasia com idade entre 5 e <18 anos foram aleatoriamente designadas para vosoritide 15 mcg/kg por via subcutânea diariamente ou placebo por 52 semanas. Os pacientes tratados com vosoritide tiveram um aumento maior na velocidade média de crescimento anual desde a linha de base até 52 semanas em comparação com o grupo placebo (diferença média ajustada 1,57 cm/ano; IC 95% 1,22-1,93). A taxa de eventos adversos foi semelhante em ambos os grupos, com exceção de que as reações no local da injeção foram mais comuns no grupo vosoritide. A maioria dos eventos adversos foram leves. Nenhuma reação alérgica grave foi observada e nenhum evento adverso grave relatado foi relacionado ao medicamento do estudo. Estudos de longo prazo são necessários para determinar se o vosoritide afeta a velocidade de crescimento puberal, a proporcionalidade do segmento corporal, a altura final do adulto ou as complicações associadas à acondroplasia (Savarirayan, 2019; Savarirayan, 2020; Wrobel, 2021). O seguimento de pacientes mostrou que o uso da medicação por dois anos é seguro e promove efeitos benéficos em seu crescimento por esse período (Savarirayan, 2021; Savarinayan, 2024).

A opinião de especialistas internacionais é a de que o aumento da velocidade de crescimento após o tratamento com vosoritida continuará até próximo da altura adulta em indivíduos que iniciaram o tratamento antes da puberdade, e que o tratamento a longo prazo com vosoritida provavelmente ou muito provavelmente resultará em melhorias clinicamente significativas na proporção entre os segmentos corporais superior e inferior em indivíduos que iniciaram o tratamento entre 2 anos de idade e a puberdade.

Um efeito positivo contínuo no crescimento foi demonstrado em estudos de extensão em

andamento após 7 anos de tratamento com vosoritida, sem diminuição do efeito do tratamento ao longo do tempo. Com até 3 anos de acompanhamento, melhorias na qualidade de vida relacionada à saúde foram relatadas entre crianças e adolescentes com acondroplasia tratados com vosoritide, particularmente em pontuações do domínio físico, com uma mudança mais pronunciada observada em participantes que apresentaram as maiores melhorias em seu escore Z de altura para acondroplasia (Savarirayan, 2025).

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Melhora da velocidade de crescimento somático

6. Conclusão

6.1. Parecer

() Favorável

(x) Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Trata-se da primeira medicação aprovada para o tratamento da acondroplasia e as perspectivas com o uso da medicação são promissoras (Savarirayan, 2022; Brasil, 2022), entretanto não há ainda clareza acerca do tempo durante o qual ela deva ser utilizada e quais seus efeitos a longo prazo sobre o crescimento esquelético, proporções corporais e funcionalidade, bem como como o tratamento pode melhorar as complicações médicas relacionadas à acondroplasia. A CONITEC avaliou a medicação como monitorização do horizonte terapêutico e concluiu que na perspectiva do Sistema Único de Saúde (SUS), o tratamento com vosoritida é considerado de altíssimo custo, tendo em vista a quantidade de frascos necessários para o tratamento anual de cada paciente; Os pacientes que participaram do estudo ainda não atingiram a altura adulta máxima, para que se comprovem a eficácia do tratamento. Existe a necessidade de diretrizes clínicas que guiem o tratamento (Semler, 2024). Foi anexado há 2 meses pedido para incorporação do medicamento, mas ainda não há avaliação publicada pela CONITEC.

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

() NÃO

7. Referências bibliográficas

- Bacino CA. Achondroplasia [in] Uptodate. 2022 UpToDate Inc. Disponível em https://www.uptodate.com/contents/achondroplasia?source=history_widget

- Brasil, Ministério da Saúde. Vosoritida para o tratamento de acondroplasia. Monitoramento do Horizonte Terapêutico, N 6, 2022. Brasília, 2022
- Duggan S. Vosoritide: First Approval. *Drugs*. 2021 Nov;81(17):2057-2062
- European Medicines Agency. Voxzogo. Disponível em <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/voxzogo>
- European Medicines Agency. Voxzogo. Summary of product characteristics. Disponível em https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2021/20210826152503/anx_152503_en.pdf
- Kitoh H, Matsushita M, Mishima K, Kamiya Y, Sawamura K. Disease-specific complications and multidisciplinary interventions in achondroplasia. *J Bone Miner Metab*. 2022 Mar;40(2):189-195
- Núcleo de apoio técnico ao judiciário- Distrito Federal. Nota técnica vosoritide/ acondroplasia. Disponível em <https://www.tjdft.jus.br/informacoes/notas-laudos-e-pareceres/natjus-df/1294.pdf>
- Savarirayan R, Baratela W, Butt T, Cormier-Daire V, Irving M, Miller BS, Mohnike K, Ozono K, Rosenfeld R, Selicorni A, Thompson D, White KK, Wright M, Fredwall SO. Literature review and expert opinion on the impact of achondroplasia on medical complications and health-related quality of life and expectations for long-term impact of vosoritide: a modified Delphi study. *Orphanet J Rare Dis*. 2022 Jun 13;17(1):224
- Savarirayan, R., Hoover-Fong, J., Ozono, K. et al. International consensus guidelines on the implementation and monitoring of vosoritide therapy in individuals with achondroplasia. *Nat Rev Endocrinol*. 2025;21:314–324
- Savarirayan R, Irving M, Bacino CA, Bostwick B, Charrow J, Cormier-Daire V, Le Quan Sang KH, Dickson P, Harmatz P, Phillips J, Owen N, Cherukuri A, Jayaram K, Jeha GS, Larimore K, Chan ML, Huntsman Labeled A, Day J, Hoover-Fong. C-Type Natriuretic Peptide Analogue Therapy in Children with Achondroplasia. *N Engl J Med*. 2019;381(1):25
- Savarirayan R, Tofts L, Irving M, Wilcox W, Bacino CA, Hoover-Fong J, Ullot Font R, Harmatz P, Rutsch F, Bober MB, Polgreen LE, Ginebreda I, Mohnike K, Charrow J, Hoernschemeyer D, Ozono K, Alanay Y, Arundel P, Kagami S, Yasui N, White KK, Saal HM, Leiva-Gea A, Luna-González F, Mochizuki H, Basel D, Porco DM, Jayaram K, Fischeleva E, Huntsman-Labeled A, Day J. Once-daily, subcutaneous vosoritide therapy in children with achondroplasia: a randomised, double-blind, phase 3, placebo-controlled, multicentre trial. *Lancet*. 2020 Sep 5;396(10252):684-692
- Savarirayan, R., Tofts, L., Irving, M. et al. Safe and persistent growth-promoting effects of vosoritide in children with achondroplasia: 2-year results from an open-label, phase 3 extension study. *Genet Med* 23, 2443–2447 (2021). <https://doi.org/10.1038/s41436-021-01287-7>

- Savarirayan R, Wilcox WR, Harmatz P, Phillips J 3rd, Polgreen LE, Tofts L, Ozono K, Arundel P, Irving M, Bacino CA, Basel D, Bober MB, Charrow J, Mochizuki H, Kotani Y, Saal HM, Army C, Jeha G, Qi Y, Han L, Fischeleva E, Huntsman-Labed A, Day J. Vosoritide therapy in children with achondroplasia aged 3-59 months: a multinational, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 2 trial. Lancet Child Adolesc Health. 2024 Jan;8(1):40-50.
- Semler O, Cormier-Daire V, Lausch E, Bober MB, Carroll R, Sousa SB, Deyle D, Faden M, Hartmann G, Huser AJ, Legare JM, Mohnike K, Rohrer TR, Rutsch F, Smith P, Travessa AM, Verardo A, White KK, Wilcox WR, Hoover-Fong J. Vosoritide Therapy in Children with Achondroplasia: Early Experience and Practical Considerations for Clinical Practice. Adv Ther. 2024 Jan;41(1):198-214
- Wrobel W, Pach E, Ben-Skowronek I. Advantages and Disadvantages of Different Treatment Methods in Achondroplasia: A Review. Int J Mol Sci. 2021 May 25;22(11):5573

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://bvsms.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.