



Ministério da Saúde  
Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos

OFÍCIO Nº 85/2024/ASPAR/MS

Brasília, 10 de janeiro de 2024.

A Sua Excelência o Senhor  
**Deputado Federal Luciano Bivar**  
Primeiro-Secretário da Câmara dos Deputados

**Referência: Requerimento de Informação nº 2956/2023**

**Assunto:** Informações sobre a regularidade de fornecimento de medicação Zolgensma para crianças com AME pelo SUS, após Portaria SCTIE/MS Nº 172, de 6 de dezembro 2022.

Senhor Primeiro-Secretário,

1. Cumprimentando-o cordialmente, em atenção ao Ofício nº 508/2023, proveniente da Primeira Secretaria da Câmara dos Deputados, referente ao **Requerimento de Informação nº 2956/2023**, de autoria do Deputado Federal Mauricio Marcon - Pode/RS, por meio do qual são requisitadas informações sobre a regularidade de fornecimento de medicação Zolgensma para crianças com AME pelo SUS, após Portaria SCTIE/MS Nº 172, de 6 de dezembro 2022, sirvo-me do presente para encaminhar as informações prestadas pelas áreas técnicas da Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, por meio da Nota Técnica N.º 214/2023-CGRAR/DAET/SAES/MS (0038017877), e da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde, por meio das Notas Técnicas nº 31/2024-CGCEAF/DAF/SECTICS/MS (0038417234) e nº 17/2024-CITEC/DGITS/SECTICS/MS (0038415678).

2. Desse modo, no âmbito do Ministério da Saúde, essas foram as informações exaradas pelo corpo técnico sobre o assunto.

3. Sem mais para o momento, este Ministério permanece à disposição para eventuais esclarecimentos que se façam necessários.

Atenciosamente,



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/GoodArquivo/Tipo/2383438> Ofício 85 (00000000226) SER 23000185255/2023-69 / pg. 1

2383438

**SWEDENBERGER DO NASCIMENTO BARBOSA**  
Ministro de Estado da Saúde, Substituto



Documento assinado eletronicamente por **Swedenberger do Nascimento Barbosa, Ministro(a) de Estado da Saúde substituto(a)**, em 16/01/2024, às 20:29, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site [http://sei.saude.gov.br/sei/controlador\\_externo.php?acao=documento\\_conferir&id\\_orgao\\_acesso\\_externo=0](http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0), informando o código verificador **0038333228** e o código CRC **60814C8A**.

**Referência:** Processo nº 25000.185255/2023-69

SEI nº 0038333228

Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos - ASPAR  
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900  
Site - saude.gov.br



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

[https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/GoodArquivo\\_Tipo/2383438](https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/GoodArquivo_Tipo/2383438)

Chave 69 (0038333228) - SEI 25000.185255/2023-69 / pg. 2

2383438



Ministério da Saúde  
Secretaria de Atenção Especializada à Saúde  
Gabinete

DESPACHO

SAES/GAB/SAES/MS

Brasília, 21 de dezembro de 2023.

- 1. RESTITUA-SE à Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos - ASPAR/MS**, para conhecimento e providências, informando que estou de acordo com o conteúdo do Nota Técnica N.º 214/2023-CGRAR/DAET/SAES/MS (0038017877), emitido pela Coordenação-Geral de Doenças Raras do Departamento de Atenção Especializada e Temática, desta Secretaria.
2. Ressalta-se a recomendação de envio da presente demanda à Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde (SCTICS/MS), em razão da abrangência da proposta apresentada.

**HELVÉCIO MIRANDA MAGALHÃES JÚNIOR**  
Secretário de Atenção Especializada à Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Helvécio Miranda Magalhães Júnior, Secretário(a) de Atenção Especializada à Saúde**, em 22/12/2023, às 18:00, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site [http://sei.saude.gov.br/sei/controlador\\_externo.php?acao=documento\\_conferir&id\\_orgao\\_acesso\\_externo=0](http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0), informando o código verificador **0038054880** e o código CRC **93D639F8**.

**Referência:** Processo nº 25000.185255/2023-69

SEI nº 0038054880



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.saude.gov.br/codArquivoTeor=2383438>

Despacho GAB/SAES 0038054880

SEI 25000.185255/2023-69 / pg. 3

2383438



Ministério da Saúde  
Secretaria de Atenção Especializada à Saúde  
Departamento de Atenção Especializada e Temática  
Coordenação-Geral de Doenças Raras

NOTA TÉCNICA Nº 214/2023-CGRAR/DAET/SAES/MS

## 1. ASSUNTO

Trata-se do Requerimento n.º 2956/2023 (0037805670), oriundo da Senhor Deputado Federal Mauricio Marcon, no qual solicita as seguintes informações sobre a regularidade de fornecimento de medicação Zolgensma para crianças com AME pelo SUS, após Portaria SCTIE/MS Nº 172, de 6 de dezembro 2022:

1. O deferimento de Onasemnogeno Abeparvoveque para o tratamento de pacientes pediátricos foi incorporado para fornecimento pelo SUS apenas para crianças até seis meses de idade com Atrofia Muscular Espinal (AME) do tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia. A questão consiste que se havendo prescrição médica esse fármaco está sendo fornecido diretamente de forma regular ou está sendo exigido o uso do medicamento Nusinersena e o risdiplam, como pré-requisito para o deferimento Zolgensma.
2. Se usar dos medicamentos Nusinersena e o Risdiplam forem pré-requisitos, requer o esclarecimento de como poderá ser respeitado o prazo fixado de seis meses, eis que o uso de ambos ou de um deles tornaria o prazo exíguo.
3. Se o fornecimento for de forma direta, sem exigência de uso prévio de outras medicações, qual o prazo máximo fixado que as crianças tem recebido a aplicação, a contar do protocolo.
4. Desde a data que esta sendo disponibilizada a medicação Zolgensma pelo SUS, quantas crianças já foram efetivamente beneficiadas, sem a necessidade de intervenção do Poder Judiciário?
5. Segundo o INAME Instituto Nacional Muscular Espinal 1, os pacientes AME Tipo 1, no curso natural da doença geralmente passam a precisar de suporte ventilatório. Nesses termos, qual é o entendimento do fabricante da medicação quanto a eficiência da medicação vinculada a ventilação invasiva acima de 16 horas por dia? Sendo essa condição clínica do Tipo 1 é a mais recorrente, quantas crianças desde a implementação da Portaria tiveram o seu pedido negado devido a esse critério (ventilação)?
6. Quantos pedidos de fornecimento de Zolgensma foram realizados e quantos foram negados desde a implementação da Portaria? Qual das condições clínicas exigidas pelo SUS, tem ocasionado o maior índice de negativa de fornecimento?

## 2. ANÁLISE

Com relação aos questionamentos esta Coordenação-Geral informa:

Itens 01, 02 e 03:

A incorporação do onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de pacientes pediátricos até 6 meses de idade com AME do tipo I que estejam de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia, conforme protocolo



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

estabelecido pelo Ministério da Saúde e Acordo de Compartilhamento de Risco – ACR. Conforme o Relatório de Recomendação nº 793:

*"Os membros do Plenário consideraram para esta recomendação que, apesar de a proposta de incorporação e a bula da terapia gênica indicarem o uso do onasemnogeno abeparvoveque em pacientes de até 2 anos de idade, a evidência clínica disponível sobre eficácia e segurança sugere sucesso do tratamento apenas para uma população de até 6 meses de idade, não submetidas ao uso de ventilação mecânica invasiva permanente. Majoritariamente, os membros concordaram que os questionamentos feitos à empresa demandante foram esclarecidos satisfatoriamente. Consideraram adequada a análise de custo-efetividade apresentada pela empresa, onde a terapia gênica resulta em menor custo por QALY ganho em relação aos seus comparadores, terapia de suporte, nusinersena e risdiplam, ao longo do tempo. Nesta estratégia, foram equalizadas as sobrevidas das coortes entre as três tecnologias ativas, o que resultou em economia para o SUS, no uso de onasemnogeno abeparvoveque em 8 anos. Para os membros do Plenário, os itens sugeridos pelo Ministério da Saúde e incorporados à atualização da proposta do Acordo de Compartilhamento de Risco, apresentado pela empresa, também foram satisfatoriamente atendidos."*

Portaria SCTIE/MS nº 172, de 06/12/2022

O PCDT (Protocolo de diretrizes clínicas e terapêuticas) que define as condições ideais de aplicação, critérios de inclusão e exclusão e todos os detalhes do compartilhamento de risco para o Zolgensma está em fase de elaboração. As definições do PCDT ajudam a manter o controle, registro e monitoramento desejáveis e recomendados para uso de tecnologia deste porte. As tecnologias já constantes no PCDT (risdiplam ou nusinersena) se ainda não estiverem sendo utilizadas podem ser utilizadas neste caso conforme orientação do médico prescritor.

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/consultas/relatórios/2023/protocolo-clínico-e-diretrizes-terapêuticas-de-atrofia-muscular-espinhal-ame-5q-tipos-i-e-ii>

Item 04, 05 e 06:

Considerando as informações prestadas nos itens acima a Coordenação-Geral de Doenças Raras/CGRAR/DAET/SAES/MS informa não dispor das referidas informações pelo tema estra sob responsabilidade de outras áreas técnicas deste Ministério da Saúde.

### 3. CONCLUSÃO

Diante do exposto informamos que os questionamentos dos itens 04 a 06, não entram no rol de competência da Coordenação-Geral de Doenças Raras (CGRAR/DAET/SAES/MS) devendo ser encaminhados à SECTICS para ciência e complementação do que couber.

Assim, restitui-se o expediente ao GAB/SAES, com sugestão de envio dos autos à ASPAR.

**SUZANA RIBEIRO**

Diretora

Departamento de Atenção Especializada e Temática - DAET/SAES/MS  
Secretaria de Atenção Especializada à Saúde - SAES/MS



Documento assinado eletronicamente por **Suzana Cristina Silva Ribeiro**

Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camaralegis.br/ProdArquivoTeor/2383438>

Nota Técnica 214 (0050017817)

SET25000.185255/2023-69 / pg. 5

2383438



Documento assinado eletronicamente por **Diretor(a) do Departamento de Atenção Especializada e Temática**, em 20/12/2023, às 19:49, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020; e art. 8º, da Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site [http://sei.saude.gov.br/sei/controlador\\_externo.php?acao=documento\\_conferir&id\\_orgao\\_acesso\\_externo=0](http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0), informando o código verificador **0038017877** e o código CRC **4A516E43**.

---

**Referência:** Processo nº 25000.185255/2023-69

SEI nº 0038017877

Coordenação-Geral de Doenças Raras - CGRAR  
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900  
Site - saude.gov.br



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/ProdArquivoTeor/2383438>

Nota Técnica 214 (0038017877)

SEI 25000.185255/2023-69 / pg. 6

2383438



Ministério da Saúde

Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial  
da Saúde  
Gabinete

Coordenação de Gestão Técnica e Administrativa

## DESPACHO

SECTICS/COGAD/SECTICS/GAB/SECTICS/MS

Brasília, 12 de janeiro de 2024.

**URGENTE**

Referência Sei: 0038417234, 0038415678 e 0038361715.

Proveniência: Câmara dos Deputados. Gabinete do Deputado Maurício Marcon.

**Assunto: Requerimento de Informação nº 2956/2023, o qual solicita informações sobre a regularidade de fornecimento da medicação Zolgensma para crianças com AME pelo SUS, após Portaria SCTIE/MS Nº 172, de 6 de dezembro 2022.**

Ciente e de acordo com o teor das Notas Técnicas nº 31/2024-CGCEAF/DAF/SECTICS/MS (0038417234) e nº 17/2024-CITEC/DGITS/SECTICS/MS (0038415678), elaboradas no âmbito das áreas técnicas desta Secretaria, que tratam de manifestações acerca do Requerimento de Informação nº 2956/2023, que requisita informações acerca da regularidade do fornecimento do medicamento Zolgensma® para crianças com Atrofia Muscular Espinal - AME pelo Sistema Único de Saúde - SUS.

Restitua-se à Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos (ASPAR), para análise e providências pertinentes.

CARLOS A. GRABOIS GADELHA

Secretário de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial  
da Saúde

Documento assinado eletronicamente por **Carlos Augusto Grabois Gadelha, Secretário(a) de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde**, em 15/01/2024, às 20:41, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site [http://sei.saude.gov.br/sei/controlador\\_externo.php?acao=documento\\_conferir&id\\_orgao\\_acesso\\_externo=0](http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0), informando o



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.



<https://infolag.autenticidade.assinatura.camara.leg.br/Code/Arquivo/Opn=2383438>

Despacho COGAD/SECTICS/00983591995 SEI 25000.185255/2023-69 / pg. 7

2383438



código verificador **0038391993** e o código CRC **142B2CBC**.

---

**Referência:** Processo nº 25000.185255/2023-69

SEI nº 0038391993



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infolen.autenticidade.assinaturadigital.gov.br/CodeArquivoSEIpr=2383438>

Despacho CGC/AD/SECTEC/0038391993 - SEI 25000.185255/2023-69 / pg. 8

2383438



## Ministério da Saúde

Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial  
da Saúde

Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos  
Coordenação-Geral do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica

### NOTA TÉCNICA Nº 31/2024-CGCEAF/DAF/SECTICS/MS

#### 1. ASSUNTO

1.1. Trata-se do Requerimento de Informação nº 2956/2023 (0037805670), proveniente do Gabinete do Deputado Federal Maurício Marcon, que requisita informações acerca da regularidade do fornecimento do medicamento Zolgensma® para crianças com Atrofia Muscular Espinal - AME pelo Sistema Único de Saúde - SUS.

#### 2. ANÁLISE

2.1. Preliminarmente, informa-se que a disponibilidade ambulatorial de medicamentos do SUS ocorre por meio dos Componentes da Assistência Farmacêutica, sendo: Componente Básico, Componente Estratégico e Componente Especializado, que possuem características, forma de organização, financiamento e elenco de medicamentos diferenciados entre si, bem como critérios distintos para o acesso e disponibilização dos fármacos. O elenco de medicamentos disponíveis, de acordo com os seus Componentes, pode ser consultado na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (Rename).

2.2. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF, regulamentado por meio do anexo XXVIII da Portaria de Consolidação GM/MS nº 02 e capítulo II da Portaria de Consolidação GM/MS nº 06, ambas de 28 de setembro de 2017, é uma estratégia de acesso a medicamentos no âmbito do SUS, 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 publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que fazem parte das linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos conforme características, responsabilidades e formas de organização distintas, consoante o artigo nº 49 do Anexo XXVIII da Portaria de Consolidação GM/MS nº 02/2017, *in verbis*:

Art. 49. Os medicamentos que fazem parte das linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos conforme características, responsabilidades e formas de organização distintas:

I - Grupo 1: medicamentos sob responsabilidade de financiamento pelo Ministério da Saúde, sendo dividido em:

a) Grupo 1A: medicamentos com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal,



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/cod/ArquivoTec/2383438>

Nota Técnica 31 (0037805670) SET2500.185255/2023-69 / pg. 9

2383438

sendo delas a responsabilidade pela programação, armazenamento, distribuição e dispensação para tratamento das doenças contempladas no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica; e

b) Grupo 1B: medicamentos financiados pelo Ministério da Saúde mediante transferência de recursos financeiros para aquisição pelas Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal sendo delas a responsabilidade pela programação, armazenamento, distribuição e dispensação para tratamento das doenças contempladas no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica;

II - Grupo 2: medicamentos sob responsabilidade das Secretarias de Saúde dos Estados e do Distrito Federal pelo financiamento, aquisição, programação, armazenamento, distribuição e dispensação para tratamento das doenças contempladas no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica; e

III - Grupo 3: medicamentos sob responsabilidade das Secretarias de Saúde do Distrito Federal e dos Municípios para aquisição, programação, armazenamento, distribuição e dispensação e que está estabelecida em ato normativo específico que regulamenta o Componente Básico da Assistência Farmacêutica. (Grifos nossos)

**2.3. Superadas as preliminares, passa-se a responder aos questionamentos constantes no Requerimento de Informação nº 2.956/2023, proveniente do Gabinete do Deputado Federal Maurício Marcon, que requisita informações acerca da regularidade do fornecimento do medicamento Zolgensma® para crianças com Atrofia Muscular Espinal - AME pelo Sistema Único de Saúde - SUS, após publicação da Portaria SCTIE/MS nº 172, de 6 de dezembro 2022:**

**1.O deferimento de Onasemnogeno Abeparvoveque para o tratamento de pacientes pediátricos foi incorporado para fornecimento pelo SUS apenas para crianças até seis meses de idade com Atrofia Muscular Espinal (AME) do tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia. A questão consiste que se havendo prescrição médica esse fármaco esta sendo fornecido diretamente de forma regular ou esta sendo exigido o uso do medicamento Nusinersena e o risdiplam, como pré-requisito para o deferimento Zolgensma.**

A disponibilização de medicamentos pelo CEAf é determinada por critérios dispostos na Portaria de Consolidação GM/MS nº 02/2017, os quais devem ser atendidos quando ocorre a incorporação de novas tecnologias, sendo:

#### 1. Decisão de incorporação

"Art. 61. A incorporação, exclusão, ampliação ou redução de cobertura de medicamentos no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica ocorrerá mediante decisão do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)";

#### 2. Pactuação de financiamento no âmbito da CIT

"Art. 61 (...) § 2º A responsabilidade pelo financiamento das incorporações de medicamentos, de ampliação de cobertura para medicamentos já incorporados e incorporações de novas concentrações e/ou apresentações farmacêuticas será pactuada no âmbito da Comissão Intergestores Tripartite (CIT), respeitando-se a manutenção do equilíbrio financeiro entre as esferas de gestão do SUS e a garantia da linha de cuidado da doença";

#### 3. Publicação do PCDT em sua versão final

"Art. 62. A inclusão efetiva de um medicamento nos Grupos 1, 2 e 3 deste Componente ocorrerá somente após a publicação da versão final do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas específico pelo Ministério da Saúde,



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camaralegis.br/rodr/ArquivoTec/2383438>

Nota Técnica 31 (003617/204)

SET 23000.185255/2023-69 / pg. 10

2383438

observadas as pactuações no âmbito da CIT".

Com relação ao cumprimento do primeiro critério, informa-se que a Portaria SCTIE/MS nº 172, de 6 de dezembro de 2022, publicada no Diário Oficial da União, em 7 de dezembro de 2022, tornou pública a decisão de incorporar o onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de pacientes pediátricos até 06 (seis) meses de idade com Atrofia Muscular Espinal (AME) do tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, conforme protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde e Acordo de Compartilhamento de Risco.

Quanto ao segundo critério ("Pactuação de financiamento no âmbito da Comissão Intergestores Tripartite - CIT"), informa-se que o medicamento onasemnogeno abeparvoveque foi alocado no Grupo 1A do CEAF na 12ª Reunião Ordinária da CIT, de 15 de dezembro de 2022.

Outrossim, para o cumprimento do derradeiro critério, o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas** - PCDT de Atrofia Muscular Espinal 5q Tipo I e II, aprovado pela Portaria Conjunta SAES-SCTIE/MS nº 03, de 18 de janeiro de 2022, será atualizado com a inclusão do medicamento onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma®) pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde – DGITIS/SECTICS/MS.

Ademais, dada a relevância do fato de a incorporação deste medicamento no SUS ter sido realizada mediante Acordo de Compartilhamento de Risco (ACR), conforme Portaria SCTIE/MS nº 172, de 6 de dezembro de 2022, informa-se que há necessidade do estabelecimento do referido Acordo para a aquisição do medicamento em questão, cujos detalhes estão sendo discutidos no âmbito da Subcomissão Técnica de Acesso Gerenciado, a qual foi instituída pela Portaria GM/MS nº 4.228, de 06 de dezembro de 2022, que apresenta como uma de suas competências, contribuir com a avaliação e acompanhamento da implementação de propostas de acordos de acesso gerenciado submetidas à Conitec.

Por fim, quanto ao questionamento sobre a exigência do uso ou não dos medicamentos nusinersena e risdiplam como pré-requisito para o deferimento do medicamento Zolgesma, este somente poderá ser respondido após a publicação da versão final da atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - PCDT de Atrofia Muscular Espinal 5q Tipo I e II.

Assim sendo, sugere-se, s.m.j., que o presente questionamento seja direcionado ao Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde – DGITIS/SECTICS/MS para maiores informações acerca da publicação do PCDT, bem como do seguimento da implementação do ACR para a disponibilização do onasemnogeno abeparvoveque, uma vez que o referido Departamento atua como coordenador da Subcomissão de Acesso Gerenciado, conforme alínea "a", inciso "I", artigo 26 da Portaria GM/MS nº 4.228/2022, bem como tem atribuições para acompanhar, subsidiar e dar suporte às atividades e demandas da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde - Conitec.

**2. Se usar dos medicamentos Nusinersena e o Risdiplam forem pré-requisitos, requer o esclarecimento de como poderá ser respeitado o prazo fixado de seis meses, eis que o uso de ambos ou de um deles**



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camaraleg.br/rodr/ArquivoTec/2383438>

Nota Técnica 31 (00047294) | SET 23000.185255/2023-69 / pg. 11

2383438

**tornaria o prazo exígua.**

Conforme já explanado no item 1 supra, sobre o questionamento da exigência do uso ou não dos medicamentos nusinersena e risdiplam como pré-requisito para o deferimento do medicamento Zolgesma, este somente poderá ser respondido após a publicação da versão final da atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - PCDT de Atrofia Muscular Espinhal 5q Tipo I e II.

**3. Se o fornecimento for de forma direta, sem exigência de uso prévio de outras medicações, qual o prazo máximo fixado que as crianças tem recebido a aplicação, a contar do protocolo.**

Conforme já explanado no item 1 supra, para o fornecimento administrativo do medicamento, aguarda-se a publicação da versão final da atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - PCDT de Atrofia Muscular Espinhal 5q Tipo I e II, com a inclusão do medicamento onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma®) pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde – DGITIS/SECTICS/MS, bem como o estabelecimento do Acordo de Compartilhamento de Risco. Assim, não é possível mensurar o cumprimento de prazos para administração da terapia.

**4. Desde a data que esta sendo disponibilizada a medicação Zolgensma pelo SUS, quantas crianças já foram efetivamente beneficiadas, sem a necessidade de intervenção do Poder Judiciário?**

Conforme já explanado no item 1 supra, para o fornecimento administrativo do medicamento, aguarda-se a publicação da versão final da atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - PCDT de Atrofia Muscular Espinal 5q Tipo I e II, com a inclusão do medicamento onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma®) pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde - DGITIS/SECTICS/MS, bem como o estabelecimento do Acordo de Compartilhamento de Risco.

**5. Segundo o INAME Instituto Nacional Muscular Espinhal<sup>1</sup> , os pacientes AME Tipo 1, no curso natural da doença geralmente passam a precisar de suporte ventilatório. Nesses termos, qual é o entendimento do fabricante da medicação quanto a eficiência da medicação vinculada a ventilação invasiva acima de 16 horas por dia? Sendo essa condição clínica do Tipo 1 é a mais recorrente, quantas crianças desde a implementação da Portaria tiveram o seu pedido negado devido a esse critério (ventilação)?**

Sugere-se, s.m.j., que o presente questionamento acerca do entendimento do fabricante do medicamento acerca da eficiência da medicação vinculada à ventilação invasiva acima de 16 horas por dia seja direcionada diretamente ao fabricante.

Conforme já explanado no item 1 supra, para o fornecimento administrativo do medicamento, aguarda-se a publicação da versão final da atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - PCDT de Atrofia Muscular Espinal 5q Tipo I e II, com a inclusão do medicamento onasemnogeno beparvoveque (Zolgensma®) pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde - DGITIS/SECTICS/MS, bem como o



Autenticado eletronicamente, após conferência com original

estabelecimento do Acordo de Compartilhamento de Risco. Desta forma, não há informações acerca de pedidos negados devido ao critério relacionado ao suporte ventilatório.

## **6. Quantos pedidos de fornecimento de Zolgensma foram realizados e quantos foram negados desde a implementação da Portaria? Qual das condições clínicas exigidas pelo SUS, tem ocasionado o maior índice de negativa de fornecimento?**

Conforme já explanado no item 1 supra, para o fornecimento administrativo do medicamento, aguarda-se a publicação da versão final da atualização do o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - PCDT de Atrofia Muscular Espinal 5q Tipo I e II, aprovado pela Portaria Conjunta SAES-SCTIE/MS nº 03, de 18 de janeiro de 2022, com a inclusão do medicamento onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma®) pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde – DGITIS/SECTICS/MS, bem como o estabelecimento do Acordo de Compartilhamento de Risco.

2.4. Sendo essas as considerações, colocamo-nos à inteira disposição para eventuais esclarecimentos adicionais.

À consideração superior,

ROBERTO EDUARDO SCHNEIDERS  
Diretor Substituto

---

Documento assinado eletronicamente por **Roberto Eduardo Schneiders, Diretor(a) do Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos substituto(a)**, em 15/01/2024, às 18:08, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site [http://sei.saude.gov.br/sei/controlador\\_externo.php?acao=documento\\_conferir&id\\_orgao\\_acesso\\_externo=0](http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0), informando o código verificador **0038417234** e o código CRC **331AA620**.

---

**Referência:** Processo nº 25000.185255/2023-69

SEI nº 0038417234

Coordenação-Geral do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - CGCEAF  
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900  
Site - saude.gov.br



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camaralegis.br/rodaArquivoTec/2383438>

Nota Técnica 31 (0038417234) SEI 25000.185255/2023-69 / pg. 13

2383438



Ministério da Saúde

Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial  
da Saúde

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde  
Coordenação de Incorporação de Tecnologias

## NOTA TÉCNICA Nº 17/2024-CITEC/DGITS/SECTICS/MS

**ASSUNTO:** Requerimento de Informação nº 2956/2023 - Solicita informações sobre a regularidade de fornecimento do medicamento onasemnogeno abeparvoveque para crianças com Atrofia Muscular Espinhal após publicação da Portaria SCTIE/MS nº 172, de 6 de dezembro 2022.

**INTERESSADO:** Câmara dos Deputados - Gabinete do Deputado Federal Mauricio Marcon.

**NUP:** 25000.185255/2023-69.

### I. OBJETIVO

Esta Nota Técnica tem por objetivo apresentar informações acerca do medicamento onasemnogeno abeparvoveque.

### II. DOS FATOS

Trata-se do Requerimento de Informação - RIC nº 2956/2023 (0037805670), de 06/12/2023, que solicitou o quanto segue:

- "1. O deferimento de Onasemnogeno Abepravoveque para o tratamento de pacientes pediátricos foi incorporado para fornecimento pelo SUS apenas para crianças até seis meses de idade com Atrofia Muscular Espinhal (AME) do tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia. A questão consiste que se havendo prescrição médica esse fármaco está sendo fornecido diretamente de forma regular **ou** esta sendo exigido o uso do medicamento Nusinersen e o Risdiplam, como pré-requisito para o deferimento Zolgensma.*
- 2. Se usar dos medicamentos Nusinersen e o Risdiplam forem pré-requisitos, requer o esclarecimento de como poderá ser respeitado o prazo fixado de seis meses, eis que o uso de ambos ou de um deles tornaria o prazo exíguo.*
- 3. Se o fornecimento for de forma direta, sem exigência de uso prévio de outras medicações, qual o prazo máximo fixado que as crianças tem recebido a aplicação, a contar do protocolo.*
- 4. Desde a data que esta sendo disponibilizada a medicação Zolgensma pelo SUS, quantas crianças já foram efetivamente beneficiadas, sem a necessidade de intervenção do Poder Judiciário?*
- 5. Segundo o INAME Instituto Nacional Muscular Espinhal1 , os pacientes AME Tipo 1, no curso natural da doença geralmente passam a precisar de suporte*



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/Protocolo/Protocolo/2383438>

Nota Técnica 17 (0037805670) SET 25000.185255/2023-69 / pg. 14

2383438

ventilatório. Nesses termos, qual é o entendimento do fabricante da medicação quanto a eficiência da medicação vinculada a ventilação invasiva acima de 16 horas por dia? Sendo essa condição clínica do Tipo 1 é a mais recorrente, quantas crianças desde a implementação da Portaria tiveram o seu pedido negado devido a esse critério (ventilação)?

6. Quantos pedidos de fornecimento de Zolgensma foram realizados e quantos foram negados desde a implementação da Portaria? Qual das condições clínicas exigidas pelo SUS tem ocasionado o maior índice de negativa de fornecimento?".

O assunto foi encaminhado ao Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde – DGITS/SECTICS/MS, tendo em vista sua competência em atuar como Secretaria-Executiva da Conitec – SE/Conitec<sup>[1]</sup>.

Conforme estabelece o art. 19-Q, da Lei nº 8.080/1990<sup>[2]</sup>, a Conitec tem por objetivo assessorar o Ministério da Saúde nas atribuições relativas à incorporação, exclusão ou alteração pelo SUS de tecnologias em saúde, bem como na constituição ou alteração de protocolo clínico ou de diretriz terapêutica.

### III. DA ANÁLISE

Em primeiro ponto, informa-se que os questionamentos supracitados já foram encaminhados ao Departamento no NUP 25000.131030/2023-92 e, por meio da Nota Técnica nº 402/2023-CITEC/DGITS/SECTICS/MS (0038361715), de 04/10/2023, foram prestados esclarecimentos sobre o item de competência da Conitec. O RIC em tela suprimiu o questionamento de competência da Comissão e reiterou os demais itens. Dessa forma, o presente documento se restringirá a atualizar as informações de competência da área.

O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - PCDT da Atrofia Muscular Espinhal - AME Tipos 1 e 2 foi atualizado para incluir as orientações sobre o uso do onasemnogeno abeparvoveque para o **tratamento de pacientes pediátricos de até 6 meses de idade com AME do tipo 1 que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia**. A nova versão, submetida ao Comitê de PCDT da Conitec durante a 125ª Reunião Ordinária<sup>[3]</sup>, ocorrida no dia 07/12/2023, foi encaminhada para decisão do Secretário de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde - SECTICS/MS que, em atendimento ao art. 22 do Decreto nº 7.646/2011<sup>[4]</sup>, solicitou a manifestação do titular da Secretaria de Atenção Especializada à Saúde - SAES/MS no dia 27/12/2023, por ser a área responsável pela Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Após manifestação do setor – que não ocorreu até o momento – será publicada portaria decisória no Diário Oficial da União – DOU.

No que tange ao Acordo de Compartilhamento de Risco (ACR) mencionado, vale destacar que suas bases estão dispostas no Relatório de Recomendação nº 793<sup>[5]</sup>, como as orientações voltadas à possibilidade de parcelamento do pagamento do valor do tratamento por paciente, desfechos de eficácia e segurança a serem monitorados para pagamento ou não das referidas parcelas.

Dentro das competências do DGITS, foi elaborado relatório acerca do acordo de compartilhamento de risco para incorporação do onasemnogeno abeparvoveque, com vistas a auxiliar na construção do acordo. O referido relatório foi cionado, no âmbito da Subcomissão Técnica de Acesso Gerenciado, que



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camaralegis.br/codificarquivo?ref=2383438>

Nota Técnica 17 (0038361715)

SE 23000.185255/2023-69 / pg. 15

este Departamento coordena.

Para compor o relatório técnico consubstanciado no âmbito da Subcomissão Técnica de Acesso Gerenciado, foi realizada uma sequência de reuniões, cujas pautas resumidas estão descritas abaixo:

- 04/04/2023 – Apresentação da Subcomissão Técnica de Acesso Gerenciado (SubAG), sua composição e atribuições; Pactuação dos fluxos de trabalho; Apresentação dos termos de incorporação do Zolgensma.
- 13/04/2023 – Implementação do acordo de acesso gerenciado para a incorporação do Zolgensma, com apresentação de contribuições relativas à atuação de cada área técnica integrante da SubAG.
- 27/04/2023 – Implementação do acordo de acesso gerenciado para a incorporação do Zolgensma, com discussão com a Consultoria Jurídica do Ministério da Saúde.
- 18/05/2023 – Implementação do acordo de acesso gerenciado para a incorporação do Zolgensma, com apresentação e discussão da experiência de representantes de serviços de saúde com a infusão do Zolgensma.
- 20/07/2023 – Apresentação e discussão da primeira versão do relatório técnico construído a partir das reuniões anteriores, com o conteúdo das discussões prévias realizadas no âmbito da SubAG sobre a implementação do acordo de acesso gerenciado para a incorporação do Zolgensma.
- O relatório supracitado sintetiza o discutido pela subcomissão e foi encaminhado ao Gabinete Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde - GAB/SECTICS/MS.

Para se compreender a complexidade das discussões, ao menos oito áreas técnicas do Ministério da Saúde estão envolvidas nessas reuniões, são elas:

- Secretaria de Atenção Especializada à Saúde;
- Secretaria de Atenção Primária à Saúde;
- Secretaria de Vigilância em Saúde e Ambiente;
- Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde/SECTICS;
- Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos/SECTICS;
- Departamento de Ciência e Tecnologia/SECTICS;
- Departamento de Economia da Saúde, Investimento e Desempenho/SECTICS; e
- Departamento de Logística em Saúde/SE.

Em setembro de 2023 e janeiro de 2024, o GAB/SECTICS/MS convocou reunião com a Novartis para tentar definir o ACR, tendo o DGITS participado para subsidiar a Secretaria, nos termos do inciso I do art. 36 do Decreto nº 11.798, de 28 de novembro de 2023. Neste ínterim, foram realizadas reuniões internas para discussão de proposta de acordo e analisada a documentação recebida pela empresa.



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camaraleg.br/validarArquivoTkn=2383438>

Nota Técnica 17 (000476676) - SEI 23000.185255/2023-69 / pg. 16

#### IV. CONCLUSÕES

Com base no apresentado, conclui-se que:

- 1) o PCDT da AME Tipos 1 e 2 foi atualizado no âmbito da Conitec e encaminhado para decisão do Secretário SECTICS/MS. Em atendimento ao art. 22 do Decreto nº 7.646/2011, a autoridade solicitou a manifestação do titular da SAES/MS no dia 27/12/2023, área técnica responsável pela Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Até o momento não houve retorno do setor. Ao final, será publicada portaria decisória no DOU;
- 2) sintetizou-se os trabalhos da SubAG com vistas a auxiliar na construção do acordo de acesso gerenciado do onasemnogeno abeparvoveque. Foi elaborado relatório sobre o tema e encaminhado ao GAB/SECTICS/MS; e
- 3) em setembro de 2023 e janeiro de 2024, o GAB/SECTICS/MS convocou reunião com a Novartis para tentar definir o ACR, tendo o DGITS participado para subsidiar a Secretaria, nos termos do inciso I do art. 36 do Decreto nº 11.798, de 28 de novembro de 2023. Neste ínterim, foram realizadas reuniões internas para discussão de proposta de acordo e analisada a documentação recebida da empresa.

ÁVILA TEIXEIRA VIDAL  
Coordenadora-Geral  
CGGTS/DGITS/SECTICS/MS

MARTA DA CUNHA LOBO SOUTO MAIOR  
Diretora Substituta  
DGITS/SECTICS/MS

---

[1] Conforme dispõe o art. 13 do Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017 a SE/Conitec é exercida pelo DGITS/SECTICS/MS.

[2] [http://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/leis/l8080.htm](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l8080.htm)

[3] [https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/reunião\\_conitec/2023/PautaSite125Reunião\\_PCDT.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/reunião_conitec/2023/PautaSite125Reunião_PCDT.pdf)

[4] [https://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/ato2011-2014/2011/decreto/d7646.htm](https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/ato2011-2014/2011/decreto/d7646.htm)

[5] [https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/relatórios/portaria/2022/20221207\\_relatório\\_zolgensma\\_ame\\_tipo\\_i\\_793\\_2022.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/relatórios/portaria/2022/20221207_relatório_zolgensma_ame_tipo_i_793_2022.pdf)



Documento assinado eletronicamente por **Ávila Teixeira Vidal, Coordenador(a)-Geral de Gestão Estratégica de Tecnologias em Saúde**, em 15/01/2024, às 16:59, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Documento assinado eletronicamente por **Marta da Cunha Lobo Souto Maior, Diretor(a) do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde substituto(a)**, em 15/01/2024, às 17:00, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camaralegis.br/validarArquivo?token=2383438>

Nota Técnica 17 (0008176576) | SEI 25000.185255/2023-69 / pg. 17



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site  
[http://sei.saude.gov.br/sei/controlador\\_externo.php?  
acao=documento\\_conferir&id\\_orgao\\_acesso\\_externo=0](http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0), informando o  
código verificador **0038415678** e o código CRC **03D37BF7**.

---

**Referência:** Processo nº 25000.185255/2023-69

SEI nº 0038415678

Coordenação de Incorporação de Tecnologias - CITEC  
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900  
Site - saude.gov.br



Autenticado eletronicamente, após conferência com original.

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camaralegis.br/codArquivoTec=2383438>

Nota Técnica 17 (0038415678)

SEI 25000.185255/2023-69 / pg. 18

2383438



CÂMARA DOS DEPUTADOS  
Primeira-Secretaria

Ofício 1<sup>a</sup>Sec/RI/E/nº 508

Brasília, 14 de dezembro de 2023.

A Sua Excelência a Senhora  
**NÍSIA TRINDADE**  
Ministra de Estado da Saúde

Assunto: **Requerimento de Informação**

Senhora Ministra,

Nos termos do art. 50, § 2º, da Constituição Federal, encaminho a Vossa Excelência cópia(s) do(s) seguinte(s) Requerimento(s) de Informação:

PROPOSIÇÃO	AUTOR
Requerimento de Informação nº 2.889/2023	Deputado Zé Haroldo Cathedral
Requerimento de Informação nº 2.898/2023	Deputado Sargento Portugal
Requerimento de Informação nº 2.900/2023	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 2.914/2023	Deputado Pedro Aihara
Requerimento de Informação nº 2.923/2023	Deputada Laura Carneiro
Requerimento de Informação nº 2.931/2023	Deputada Laura Carneiro
Requerimento de Informação nº 2.948/2023	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 2.954/2023	Deputada Erika Hilton
Requerimento de Informação nº 2.956/2023	Deputado Mauricio Marcon
Requerimento de Informação nº 2.989/2023	Deputado Geraldo Resende e outros

Por oportuno, solicito, na eventualidade de a informação requerida ser de natureza sigilosa, seja enviada também cópia da decisão de classificação proferida pela autoridade competente, ou termo equivalente, contendo todos os elementos elencados no art. 28 da Lei nº 12.527/2011 (Lei de Acesso à Informação), ou, caso se trate de outras hipóteses legais de sigilo, seja mencionado expressamente o dispositivo legal que fundamenta o sigilo. Em qualquer caso, solicito ainda que os documentos sigilosos estejam acondicionados em invólucro lacrado e rubricado, com indicação ostensiva do grau ou espécie de sigilo.

Atenciosamente,

**Deputado LUCIANO BIVAR**  
Primeiro-Secretário

**- NOTA: os Requerimentos de Informação, quando de autorias diferentes, devem ser respondidos separadamente.**

/LMR



Documento assinado por: Dep. LUCIANO BIVAR  
Autenticado eletronicamente, após conferência com original.  
O digital de segurança: 2023-TVNM-YTOP-EBUR-QEKM

<https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/codArquivoTeor=2383488>

Ofício 1<sup>a</sup>Sec/RI/E/nº 508 (5058555140) - SGP/25000.185255/2023-69 / pg. 19

2383438



## REQUERIMENTO N° , DE 2023

(Do Sr. Deputado Federal MAURICIO MARCON)

Requer que seja reiterada ao Senhor Ministro da Saúde, o pedido de informações sobre a regularidade de fornecimento de medicação Zolgensma para crianças com AME pelo SUS, após Portaria SCTIE/MS Nº 172, de 6 de dezembro 2022.

Senhor Presidente,

Com fundamento no § 2º do art. 50 da Constituição Federal, combinado com o art. 15, XIII, e arts. 115 e 116 todos do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, solicito que Vossa Excelência encaminhe ao Senhor Ministro da Saúde, estamos reiterando pedido de informações sobre a regularidade de fornecimento de medicação Zolgensma para crianças com AME pelo SUS, após Portaria SCTIE/MS Nº 172, de 6 de dezembro 2022

1. O deferimento de Onasemnogeno Abeparvoveque para o tratamento de pacientes pediátricos foi incorporado para fornecimento pelo SUS apenas para crianças até seis meses de idade com Atrofia Muscular Espinal (AME) do tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia. A questão consiste que se havendo prescrição médica esse fármaco esta sendo fornecido diretamente de forma regular **ou** esta sendo exigido o uso do medicamento Nusinersena e o risdiplam, como pré-requisito para o deferimento Zolgensma.
2. Se usar dos medicamentos Nusinersena e o Risdiplam forem pré-requisitos, requer o esclarecimento de como poderá ser respeitado o prazo fixado de seis meses, eis que o uso de ambos ou de um deles tornaria o prazo exígido.
3. Se o fornecimento for de forma direta, sem exigência de uso prévio de outras medicações, qual o prazo máximo fixado que as crianças tem receber a aplicação, a contar do protocolo.





4. Desde a data que esta sendo disponibilizada a medicação Zolgensma pelo SUS, quantas crianças já foram efetivamente beneficiadas, sem a necessidade de intervenção do Poder Judiciário?
5. Segundo o INAME Instituto Nacional Muscular Espinal<sup>1</sup>, os pacientes AME Tipo 1, no curso natural da doença geralmente passam a precisar de suporte ventilatório. Nesses termos, qual é o entendimento do fabricante da medicação quanto a eficiência da medicação vinculada a ventilação invasiva acima de 16 horas por dia? Sendo essa condição clínica do Tipo 1 é a mais recorrente, quantas crianças desde a implementação da Portaria tiveram o seu pedido negado devido a esse critério (ventilação)?
6. Quantos pedidos de fornecimento de Zolgensma foram realizados e quantos foram negados desde a implementação da Portaria? Qual das condições clínicas exigidas pelo SUS, tem ocasionado o maior índice de negativa de fornecimento?

## JUSTIFICAÇÃO

1. O pedido de informações RI 2245/2023 foi respondido somente uma das questões pelo Ofício 1654/2023/ASPAR/MS pela Conitec, entretanto, as demais questões devem ser integralmente respondidas pelo Ministério, conforme § 2º do art. 50 da Constituição Federal, combinado com o art. 15, XIII, e arts. 115 e 116 todos do Regimento Interno da Câmara dos Deputados
2. Saúde é um direito universal garantido pela Constituição Federal de 1988. Isso quer dizer que todos têm direito a tratamentos adequados, fornecidos pelo poder público. Na prática, ao criar esse direito, a Carta Magna criou também um dos maiores sistemas públicos de saúde do mundo, que faz desde procedimentos simples, como medir a pressão arterial, aos mais complexos, como transplante de órgãos.

<sup>1</sup> <https://iname.org.br/vivendo-com-ame/cuidados-respiratorios/>





3. O meio de comunicação Jota<sup>2</sup>, datada de 13.06.2023 publicou uma matéria com a manchete “Ministério da Saúde atrasa fornecimento de Zolgensma no SUS” afirmando que o Ministério da Saúde atrasou a disponibilização do Zolgensma, para tratar a Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo 1 no Sistema Único de Saúde (SUS). O prazo de 180 dias, dado pela pasta para fornecer a terapia gênica na rede pública, se esgotou em 4 de junho.
  
4. Segundo divulgado pela Zero Hora<sup>3</sup>, em 07.12.2022, com a manchete “Entenda em quais casos as crianças com AME poderão receber o Zolgensma pelo SUS” trouxe a informação que a neurologista infantil no Hospital de Clínicas de Porto Alegre e no Hospital da Criança Conceição e responsável pelo Ambulatório Infantil de Doenças Neuromusculares do Hospital de Clínicas de Porto Alegre, destacou que a terapia gênica está aprovada no Brasil para tratar pacientes com AME até os dois anos de idade. Michele lembra também que os estudos clínicos que avaliam a eficácia do remédio incluíram somente bebês de até seis meses e este pode ter sido o critério do Ministério da Saúde para definir a idade limite.

Brasília, 06 de dezembro de 2023

Deputado Federal **Mauricio Marcon**

---

<sup>2</sup> <https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/ministerio-da-saude-atrasa-fornecimento-de-zolgensma-no-sus-13062023>

<sup>3</sup> <https://www.nsctotal.com.br/noticias/noticias-whatsapp-nsc-total>  
<https://gauchazh.clicrbs.com.br/saude/noticia/2022/12/entenda-em-quais-casos-as-criancas-com-ame-poderao-receber-o-zolgensma-pelo-sus-clbe6rlqc00di014uho2nj5jk.html>

238114333 LexEdit  
\* c d 2 3 0 5 9 4 6 8 9 2 0 0 \*