



SENADO FEDERAL
Gabinete do Senador Romário

REQUERIMENTO Nº DE - CAS

Sr. Presidente,

Requeiro, nos termos do art. 58, § 2º, II, da Constituição Federal e do art. 93, II, do Regimento Interno do Senado Federal, a realização de audiência pública, com o objetivo de para discutir o Acesso e aquisição gratuita do medicamento VASORITIDA - VOXZOGO pelas pessoas com ACONDROPLASIA.

A ANABRA - Associação Nacional Nanismo BRASIL, tem o objetivo de atuar em defesa das pessoas com nanismo, buscando uma sociedade justa e inclusiva. Tem como pilares a educação, saúde, políticas públicas e esporte.

Em constante busca de atualização e acompanhamento para a defesa dos interesses das pessoas com esta deficiência, tomou-se conhecimento do medicamento Vosoritida, cujo nome comercial é VOXZOGO.

O medicamento, cujo registro e pesquisa pertence ao laboratório Biomarimn Brasil Farmaceutica Ltda foi aprovado pela ANVISA em 11/2021, cujo cadastro é de nº 173330005, atualmente encontrado na CMED- Câmara de Regulação de Mercado de Medicamentos para definição de preços máximos de medicamentos para o mercado.

A demora nos trâmites para inserção no mercado e incorporação pelo SUS - Sistema Unico de Saúde, faz-se necessário tal assunto ser debatido pela sociedade, entes públicos e órgão responsável pela demanda.

Diante do exposto solicitamos aprovação para realização de audiência pública.



Proponho para a audiência a presença dos seguintes convidados:

- o Senhor Representante do CONITEC, Diretor;
- o Senhor Representante da ANVISA, Diretor;
- o Senhor Representante CMED, Diretor;
- o Exmo. Sr. Representante do Ministério da Saúde, Ministro da Saude;
- a Senhora Kenia, Presidente da Annbra;
- a Senhora Karine, Vice presidente da Annbra;
- a Senhora Vélvit, Membro Diretoria da Annbra;
- o Senhor Pai de criança dom Acondroplasia;
- a Senhora mãe de criança com Acondroplasia;
- o Doutor Juan, Medico especialista na área;
- o Doutor Temis, Presidente da Sociedade Brasileira de Genétic.

JUSTIFICAÇÃO

JUSTIFICATIVA

A acondroplasia é uma displasia óssea resultante de uma mutação genética, causada por uma mutação de ganho de função no receptor 3 do fator de crescimento de fibroblastos (FGFR3), que provoca alteração no desenvolvimento da cartilagem das placas de crescimento, resultando no crescimento anormal do corpo, e caracterizada por membros curtos, tronco normal, macrocefalia, hipoplasia facial com ponte nasal deprimida. O FGFR3 ativado inibe a proliferação e diferenciação de condrócitos e perturba a síntese da matriz.

Vosoritida inibe a sinalização a jusante (downstream) de FGFR3 ao nível de Raf# 1 na placa de crescimento por meio da indução da geração de monofosfato de guanosina 3', 5'# guanosina (cGMP) cíclico e induz a proliferação e diferenciação de condrócitos. O Voxzogo (nome comercial do vosoritide) está associado a



um aumento sustentado na velocidade de crescimento anualizada (VCA), cuja magnitude representa a restauração de uma proporção substancial do déficit de VCA estimado de 2 cm/ano observado

entre crianças com ACH e aquelas com estatura média. Ao longo dos anos de tratamento, isso resulta em um aumento significativo da altura em pé.

O ganho cumulativo de altura observado com o uso em longo prazo de vosoritida é clinicamente significativo não apenas por proporcionar maior estatura a crianças com ACH, mas também porque pode oferecer impacto substancial na vida cotidiana em um mundo pensado para a população de estatura média. Por meio do mecanismo de ação e do efeito favorável e durável observado sobre o crescimento até o momento, prevê-se que o tratamento com vosoritida possa oferecer diversos outros benefícios na ACH # da melhora na proporcionalidade até efeito positivo nas comorbidades, onde o comprometimento da ossificação endocondral desempenha um papel patogênico fundamental.

Voxzogo (vosoritida) é um produto biológico que foi registrado como um produto novo, cumprindo com o disposto na RDC nº 55/2010 para o registro de produtos biológicos novos. Por se tratar de uma necessidade médica não atendida atualmente, este produto foi priorizado de acordo com os critérios da RDC nº 204/2017. Esse medicamento visa na melhora exponencial da qualidade de vida de milhares de crianças. VOXZOGO é indicado para o tratamento de acondroplasia (ACH) 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. Como comprovado, quanto mais cedo esse tratamento for iniciado, melhor o resultado, considerando o fechamento das placas de crescimento e idade.

Solicitamos a celeridade na tratativa de liberação do tratamento via centros de referência em genética no Brasil cadastrados e incorporados pelo SUS, para dar início ao tratamento em crianças a partir de 2 anos de idade.

Não trata a discussão de aceitar a deficiência; mas dar qualidade de vida e dignidade humana as pessoas acometidas pelo nanismo cujo tem diversos problemas de saúde decorrente da redução do crescimento. Ademais, nossa sociedade insiste em rotular, excluir, bem como ceifar diariamente suas rotinas básicas pela falta de acessibilidade e cultura da segregação e ridicularizarão.

De suma importância do governo em concluir o mapeamento de pessoas e famílias com nanismo e incluir essa deficiência no cadastro Censo. Para corroborar e dar a visibilidade e tratativas adequadas a essa deficiência no Brasil, bem como a construção de políticas assertivas.

Sala da Comissão, 24 de março de 2022.

Senador Romário
(PL - RJ)

