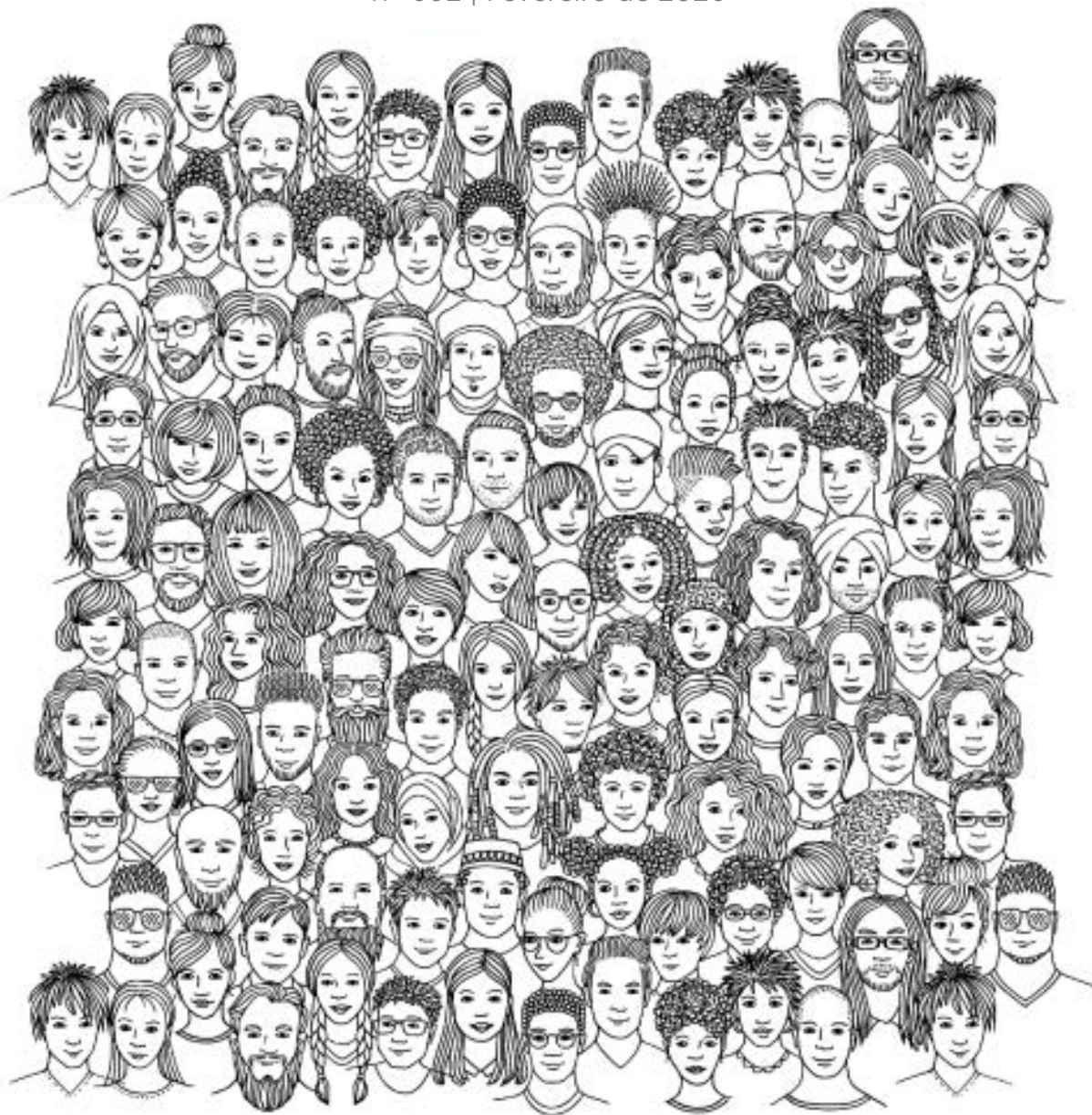




RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

informações sobre recomendações de incorporação
de medicamentos e outras tecnologias no SUS

VOSORITIDA

para o tratamento de acondroplasia em pacientes a partir de 6 meses de idade
e cujas epífises não estão fechadas

2026 Ministério da Saúde.

É permitida a reprodução parcial ou total desta obra, desde que citada a fonte e que não seja para venda ou qualquer fim comercial.

A responsabilidade pelos direitos autorais de textos e imagens desta obra é do Ministério da Saúde. Elaboração, distribuição e informações

MINISTÉRIO DA SAÚDE

Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação em Saúde – SCTIE

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde – DGITS

Coordenação de Incorporação de Tecnologias – CITEC

Esplanada dos Ministérios, bloco G, Edifício Sede, 8º andar

CEP: 70058-900 - Brasília/DF

Tel.: (61) 3315-2848

Site: gov.br/conitec/pt-br

E-mail: conitec@saude.gov.br

Elaboração do relatório

Anna Júlia Medeiros Lopes Garcia

Aérica de Figueiredo Pereira Meneses

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Laura Mendes Ribeiro

Layout e diagramação

Ana Júlia Trovo da Mota

Patricia Mandetta Gandara

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

VOSORITIDA

para o tratamento de acondroplasia em pacientes a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 04/02/2026 para o Vosoritida (VOXZOGO®):

Tratamento de acondroplasia em pacientes pediátricos a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas.

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Tratamento de acondroplasia em pacientes a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas.

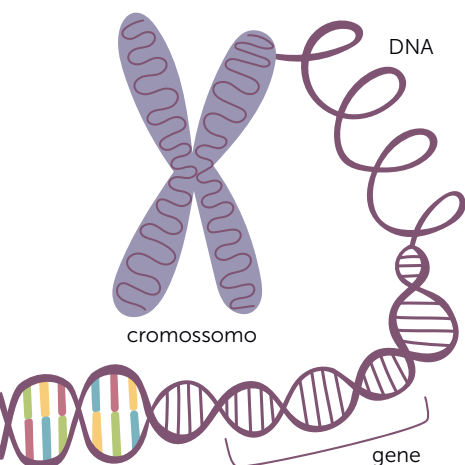
Recomendação inicial da Conitec:

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou inicialmente a não incorporação do Vosoritida para o tratamento de acondroplasia em pacientes a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas.

*De acordo com o §6º do art. 32 do Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017, o pedido de incorporação de uma tecnologia em saúde deve ter indicação específica. Portanto, a Conitec não analisará todas as hipóteses previstas na bula em um mesmo processo.

O que é acondroplasia?

A acondroplasia é uma doença genética rara que afeta principalmente o crescimento dos ossos, levando à estatura baixa e desproporcional dos membros do corpo. Ela acontece por alterações em um gene chamado FGFR3 (Receptor 3 do Fator de Crescimento de Fibroblastos), que controla o crescimento dos ossos. Quando esse gene está alterado, o crescimento ósseo,

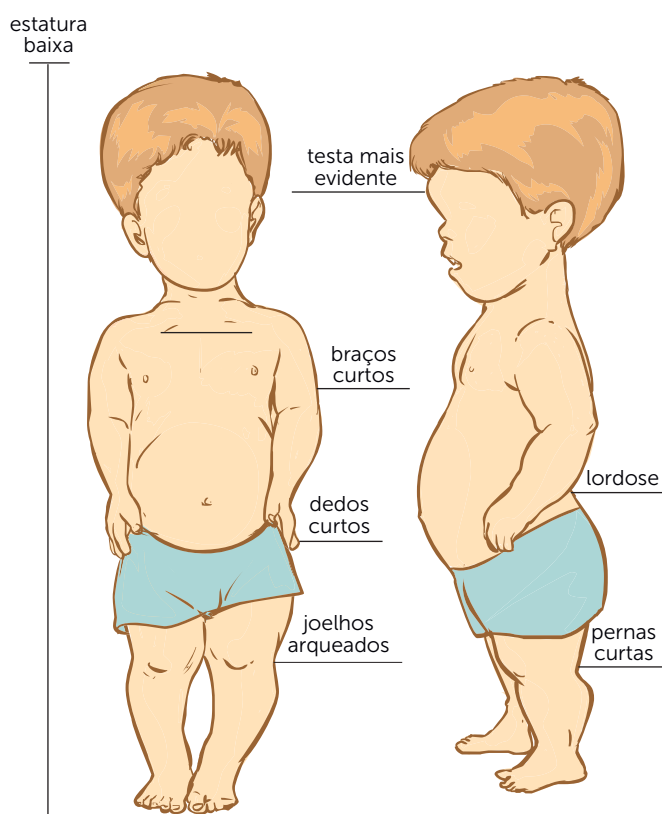


especialmente dos ossos longos, como de braços e pernas, fica mais lento, o que prejudica o aumento da altura. Nesse caso, o crescimento termina quando as placas de crescimento dos ossos se fecham, o que geralmente ocorre por volta dos 17 e 18 anos nos homens, que atingem uma altura média de cerca de 1,29m, e entre 16 e 17 anos nas mulheres, com altura média em torno de 1,22m.

Alterações nesse gene também podem causar outras condições de saúde relacionadas, que variam de quadros mais leves a

mais graves. Pessoas com acondroplasia geralmente apresentam: braços e pernas mais curtos, especialmente na parte mais próxima do tronco, estatura baixa, testa mais evidente, face do rosto menos desenvolvida, aumento da curvatura da coluna (lordose), joelhos arqueados, dedos mais curtos e um formato típico das mãos, conhecido como “mão em tridente”. As articulações também costumam ser mais frouxas. Na infância, é comum haver menor firmeza dos músculos, o que pode causar atraso para se sentar, engatinhar ou andar.

Trata-se de uma condição crônica, que acompanhará a pessoa ao longo da vida e que pode causar complicações como: problemas respiratórios e do sono; alterações na coluna (escoliose, estenose); hidrocefalia (que é o acúmulo de líquido no cérebro que causa aumento do crânio e problemas de desenvolvimento); alterações neurológicas; perda auditiva; dor persistente; obesidade; dificuldades articulares e dificuldades nos movimentos do corpo.



A acondroplasia tem herança autossômica dominante, ou seja, basta herdar dos pais uma cópia do gene alterado para a pessoa ter a condição. Mesmo assim, cerca de 80% das crianças com acondroplasia nascem de pais sem a doença, porque a mutação surge espontaneamente no momento da formação das células reprodutivas. No entanto, destaca-se que se um dos pais tiver acondroplasia, o risco de o filho também ter é de 50%. Ela ocorre em cerca de 1 a cada 25.000 a 30.000 nascimentos no mundo. No Brasil e em outros países da América Latina, existem poucos estudos, mas as estimativas são parecidas com as do restante do mundo. Sobre a qualidade de vida de pessoas com acondroplasia, os estudos ainda são poucos, mas indicam que crianças e adolescentes apresentam maior impacto quando comparados a crianças com estatura média, especialmente nos aspectos físico e social. Os pais tendem a perceber a qualidade de vida dos filhos de forma mais negativa do que a percepção relatada pelos próprios pacientes. Com o passar do tempo, as crianças costumam ter mais autonomia para o autocuidado e para a mobilidade. Na vida adulta, muitos relatam dor frequente, principalmente nos joelhos, ombros e coluna, dificuldade de mobilidade e impactos nas atividades do dia a dia e na saúde emocional. Em geral, a qualidade de vida é prejudicada pela presença de dor, cansaço e limitações físicas.

A obesidade e a apneia obstrutiva do sono, que é quando a pessoa para de respirar por alguns

segundos enquanto dorme, que são comuns em pessoas com acondroplasia, aumentam o risco de pressão alta, aumento do tamanho do coração, problemas no músculo cardíaco e alterações no ritmo do coração. Nos adultos com acondroplasia, as doenças cardiovasculares são a principal causa de morte, especialmente entre 25 e 35 anos.

Por muitos anos, as diretrizes médicas focaram apenas em tratar os sintomas, já que havia poucas opções de medicamentos. Um dos tratamentos mais antigos foi o alongamento cirúrgico dos ossos das pernas, feito em várias cirurgias ao longo do tempo. Hoje, esse método é cada vez menos usado, pois está associado a complicações importantes.

Como os pacientes com acondroplasia são tratados no SUS?

Atualmente, não existe no SUS um medicamento específico para o tratamento da acondroplasia. Por isso, o cuidado dos pacientes é realizado por uma equipe formada por diferentes profissionais de saúde, com foco no acompanhamento contínuo e no tratamento das complicações e problemas de saúde associados à condição.

Durante a infância, é importante acompanhar a altura, o peso e o tamanho da cabeça da criança, utilizando curvas de crescimento específicas para a acondroplasia. Também deve ser avaliado o desenvolvimento motor, como se sentar, andar e outras habilidades esperadas para a idade. Os exames para acompanhamento variam de acordo com cada caso, podendo incluir radiografias e ressonância magnética do cérebro e da coluna. Esses exames são importantes devido ao risco de problemas ortopédicos, hidrocefalia e compressão da medula cervical. Além disso, é recomendada a realização de avaliações auditivas periódicas, adequadas à idade da criança.

Dependendo das doenças associadas à acondroplasia, alguns pacientes podem precisar de cirurgias, tais como: colocação de uma válvula para controlar a pressão no cérebro, para os casos de hidrocefalia, cirurgia para aliviar compressão na base do crânio, retirada das amígdalas e adenoide em casos de infecções frequentes, colocação de tubos no ouvido para melhorar a audição e correções ortopédicas, especialmente para pernas arqueadas. É importante destacar que, especialmente na infância, essas complicações podem aumentar o risco de problemas graves e até de morte precoce, caso não sejam tratadas adequadamente. O tratamento é composto por diferentes etapas: terapia de indução, coleta de células-tronco hematopoiéticas, condicionamento com quimioterapia em alta dose, TCTH autólogo e, posteriormente, terapia de manutenção. A terapia de indução prioriza esquemas com três medicamentos, incluindo, pelo menos, um inibidor de proteassoma (como o bortezomibe) e um corticoide. Para o condicionamento pré-transplante, recomenda-se a utilização de melfalana em dose única de 200 mg/m². Após o transplante, pode ser feita a terapia de consolidação, que usa um

esquema terapêutico fixo, definido de forma individualizada. Por fim, a terapia de manutenção tem o objetivo de manter a doença controlada por mais tempo e evitar que volte a progredir, preservando a qualidade de vida, e baseia-se no uso prolongado de medicamentos com baixa toxicidade. Nessa fase, indica-se o tratamento com imunomoduladores, sendo a talidomida o medicamento disponível no SUS.

Medicamento analisado: vosoritida

A Secretaria de Atenção Especializada à Saúde do Ministério da Saúde (SAES/MS) solicitou à Conitec a avaliação da vosoritida para tratamento de acondroplasia em pacientes a partir de 2 anos de idade e cujas epífises não estão fechadas. A empresa BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda também solicitou a avaliação dessa tecnologia, porém para o tratamento de acondroplasia em pacientes a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas.

A vosoritida é uma versão modificada de um hormônio que o nosso corpo já produz naturalmente, chamado peptídeo natriurético tipo C (CNP), que estimula o crescimento dos ossos em comprimento. Na acondroplasia, ocorre uma alteração genética que faz com que o gene FGFR3 funcione de forma excessiva, enviando sinais que freiam o crescimento dos ossos, principalmente na fase de formação da cartilagem que depois vira osso. A vosoritida atua ajudando a equilibrar esse processo. Ela se liga a um receptor específico presente nas células da cartilagem e bloqueia parte dos sinais que inibem o crescimento ósseo. Com isso, permite que o crescimento ósseo volte a acontecer de forma mais próxima ao normal. Na prática, isso significa que o medicamento reduz os sinais que impedem o crescimento ósseo, estimula as células da cartilagem a se multiplicarem e amadurecerem e favorece o aumento do comprimento dos ossos.

Em 2021, a vosoritida se tornou o primeiro medicamento específico para o tratamento da acondroplasia e foi registrada no Brasil pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) no mesmo ano. Inicialmente, o uso era indicado a partir dos 2 anos de idade. Em 2023, essa indicação foi ampliada para crianças a partir de 6 meses, desde que as placas de crescimento dos ossos (epífises) ainda não estejam fechadas. Em 2025, especialistas publicaram um consenso internacional com orientações sobre quando e como usar a vosoritida. Entre as principais recomendações destacam-se: o diagnóstico precoce, inclusive ainda durante a gestação; o início oportuno do acompanhamento por equipe multidisciplinar; a confirmação diagnóstica por teste genético, quando disponível; a avaliação e o manejo de condições associadas que possam interferir no crescimento e no bem-estar; a identificação e o tratamento das complicações da acondroplasia; o encaminhamento, sempre que possível, para centros especializados; e a discussão da opção terapêutica com vosoritida com todos os pacientes

elegíveis, respeitando a decisão informada de pacientes e famílias, inclusive quando optam por não utilizar o medicamento.

Os estudos sobre a vosoritida indicam benefício no crescimento de crianças com acondroplasia, especialmente a partir dos 5 anos, quando as placas de crescimento ainda estão abertas. Para crianças de 2 a 4 anos, as evidências são muito limitadas, pois apenas um estudo avaliou essa faixa etária, o que gera incerteza sobre os resultados.

Os eventos adversos mais comuns da vosoritida, de acordo com a bula do medicamento, incluem reações no local da aplicação, como vermelhidão, dor ou inchaço, que ocorrem com muita frequência, além de vômitos e queda da pressão arterial. Alguns cuidados são necessários, pois pessoas com doenças no coração ou que usam medicamentos para pressão alta não foram incluídas nos estudos clínicos. Por isso, nesses casos, o uso da vosoritida deve ser avaliado com ainda mais cautela pelo médico. Para reduzir o risco de queda da pressão arterial, que pode causar sintomas como tontura, cansaço ou enjoo, é importante que o paciente esteja bem hidratado no momento da aplicação da injeção. Ainda sobre eventos adversos, o crescimento de pelos no corpo (hipertricrose), descrito como incomum na bula, foi observado em um estudo com crianças brasileiras em uso de vosoritida. Em parte das crianças houve crescimento de pelos finos e discretamente mais escuros, que regrediram após a suspensão do medicamento e reapareceram em um caso com a retomada do tratamento.

De modo geral, as pesquisas realizadas apresentam muitas limitações, como número reduzido de participantes, ausência de grupos comparadores adequados e alta incerteza. Não há evidências consistentes de melhora significativa na proporção corporal, funcionalidade, qualidade de vida ou redução de complicações e cirurgias associadas à acondroplasia. A qualidade das evidências variou de moderada a muito baixa. Apesar de um perfil de segurança considerado aceitável, surgem preocupações, como o relato de possível novo evento adverso (hipertricrose). No Brasil, os dados são escassos e restritos a resumos de congressos. A empresa detentora do registro informou que um estudo observacional em andamento deve trazer novos resultados entre 2025 e 2027.

A análise econômica mostrou que a incorporação da vosoritida no SUS teria um custo muito elevado, com ganho médio estimado de cerca de 26 cm em altura, mas com benefício não equivalente ao custo, muito acima dos valores normalmente aceitos no SUS. O impacto orçamentário estimado variou entre R\$ 755 milhões e R\$ 922 milhões em cinco anos, podendo chegar a R\$ 2,4 bilhões conforme a proposta do demandante.

Assim, embora haja sinal de benefício no crescimento e ausência de alternativas medicamentosas no SUS, permanecem importantes incertezas quanto aos benefícios clínicos relevantes e à sustentabilidade financeira da incorporação.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 89/2026 foi aberta de 31 de outubro a 10 de novembro de 2025 para a inscrição de interessados em participar da Perspectiva do Paciente sobre este tema e 9 pessoas se inscreveram. A indicação dos representantes titular e suplente para trazer relato da experiência foi feita a partir de sorteio em plataforma online, gravado e enviado a todos os inscritos. A representante titular selecionada e a suplente participaram do primeiro encontro preparatório realizado em 18/11/2025 e do segundo encontro preparatório realizado em 04/02/2026. A participação da representante titular ocorreu na 148ª Reunião da Conitec, realizada no dia 11 de fevereiro de 2026 e sua gravação está disponível no endereço eletrônico da Conitec.

O relato apresentado foi realizado pela mãe de paciente em uso de medicamento vosoritida para tratamento do nanismo do tipo acondroplasia. Segundo a narrativa da mãe, a trajetória familiar foi marcada por episódios de preconceito, dores e situações de marginalização social. Em março de 2022, surgiu a possibilidade concreta de melhora na qualidade de vida do filho por meio do tratamento medicamentoso. Após judicialização, o fornecimento do medicamento foi garantido em 11 de abril de 2023.

Desde o início do tratamento, os avanços têm sido considerados significativos. Ao longo de 33 meses, com a aplicação de 1.033 doses, o paciente apresentou ganho de estatura de 16,5 cm, passando de 105,2 cm para 121,7 cm. Esse resultado corresponde a uma velocidade média de crescimento anual de 5,92 cm, indicando resposta clínica favorável. Aos 8 anos de idade, o paciente apresentava idade óssea estimada em 4 anos e 6 meses. Atualmente, sua idade óssea está estimada entre 9 e 10 anos, compatível com a idade cronológica de 11 anos, demonstrando evolução adequada. Observou-se também progressão da envergadura, com ganho total de 16 cm na amplitude dos braços.

Foram relatadas melhorias relevantes na autonomia e independência nas atividades da vida diária, como vestir-se, realizar a própria higiene e escolher roupas adequadas. Exames anuais também evidenciaram melhora na qualidade do sono, com redução de episódios de apneia. No ambiente escolar, o paciente enfrentou situações de bullying, realidade frequentemente relatada por crianças com acondroplasia. Contudo, com os avanços proporcionados pelo tratamento e o fortalecimento da autonomia, tem sido possível promover a construção da autoestima e da autoconfiança.

Quanto à administração, a mãe relatou que as aplicações diárias, embora não sejam simples, têm sido bem toleradas, e o filho compreende que o desconforto momentâneo é pequeno

diante dos benefícios do tratamento. O medicamento deve permanecer 30 minutos em temperatura ambiente antes da aplicação. Ela recebeu treinamento para administração domiciliar. A aplicação é subcutânea, realizada diariamente, com rodízio entre braços e coxas, sendo que a própria criança já aplica nas coxas. Em abril de 2026, completam-se três anos de tratamento. Não foram observados eventos adversos relevantes, apenas vermelhidão leve e transitória no local da aplicação.

Por fim, a mãe destacou que as aplicações diárias exigem disciplina, persistência e enfrentamento do desconforto momentâneo. Ainda assim, considera que a dor transitória é pequena diante dos benefícios alcançados, especialmente quanto aos ganhos funcionais, à redução da perspectiva de intervenções cirúrgicas futuras e à ampliação da qualidade de vida.

O vídeo da 148ª Reunião Ordinária pode ser acessado [aqui](#).

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, do Vosoritida para o tratamento de acondroplasia em pacientes a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas. Esse tema foi discutido durante a 148ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada no dia 11 de fevereiro de 2026. Na ocasião, o Comitê de medicamentos considerou as incertezas sobre população-alvo e faixa etária (especialmente abaixo dos 5 anos), dúvidas sobre início e duração do tratamento e critérios de interrupção (relacionados ao fechamento de epífises), além de preocupações com custo-efetividade e impacto orçamentário.

Dessa forma, entende-se que as contribuições recebidas durante a consulta pública poderão

- Você enfrentou alguma dificuldade na aplicação ou no armazenamento do medicamento?
- Qual foi a forma de acesso ao medicamento?
- Qual a idade de início do tratamento com a tecnologia em avaliação?
- Foi necessário interromper o uso da vosoritida em algum momento? Se sim, por quê?
- De que forma o uso do medicamento contribuiu para a melhora da sua condição de saúde e da sua qualidade de vida?

O assunto está disponível na Consulta Pública nº 12, durante 20 dias, no período de 10/03/2026 a 30/03/2026, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Clique [aqui](#) para enviar sua contribuição.

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível [aqui](#).