



**DOENÇAS
RARAS**

Conhecer, acolher e cuidar



NOTA INFORMATIVA:

Orientações sobre a Terapia

Gênica Zolgensma®

(onasemnogeno abeparvoveque)

no Sistema Único de Saúde

Coordenação-Geral de Doenças Raras
(CGRAR/DAET/SAES/MS)



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

OFÍCIO CIRCULAR Nº 9/2025/CGRAR/DAET/SAES/MS

Brasília, 19 de maio de 2025.

Assunto: Orientações sobre a terapia gênica Zolgensma® (onasemnogene abeparvoveque) no SUS.

Prezados(as) senhores(as),

1. O presente Ofício tem como objetivo sanar dúvidas sobre a terapia gênica com Onasemnogene abeparvoveque (Zolgensma) incorporada no Sistema Único de Saúde.

2. No dia 21 de março de 2025 (0046998750) o Ministério da Saúde (MS) publicou a Portaria Conjunta SAES/SECTICS nº 3, atualizando o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinal (AME) 5q tipos 1 e 2 (PCTD) (<https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/pctd/a/atrofia-muscular-espinhal-5q-tipos-1-e-2/>).

3. Essa atualização incorpora no SUS a terapia gênica com **Zolgensma® aos pacientes pediátricos até 6 meses de idade com Atrofia Muscular Espinal (AME) do tipo I**, exigindo a estruturação de um modelo de governança que garanta acesso equitativo, segurança e eficácia no tratamento, que deve seguir estritamente os aspectos definidos no Protocolo Clínico e Diretriz Terapêuticas e os pressupostos estabelecidos pelo Acordo de Compartilhamento de Risco (ACR), publicado por meio de Extrato no Diário Oficial da União.

4. Destacamos que o Ministério da Saúde (MS) tem atuado em diversas frentes, com objetivo de tornar célere o acesso à terapia gênica. Nesse sentido, está em andamento a conformação de uma rede de serviços que serão habilitados para a infusão de terapia genética, seguindo um procedimento estruturado, o que inclui publicação de diretrizes técnicas sobre a elegibilidade do paciente, a habilitação de serviços e a organização da rede, o que inclui os procedimentos para acompanhamento de casos antes da infusão, durante a infusão e após a infusão.

5. Vale destacar que os pacientes diagnosticados com AME no âmbito do Sistema Único de Saúde podem ser tratados com duas outras terapias já incorporadas ao SUS: Nusinersen e Ridiplam. De acordo com o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da AME 5q tipos 1 e 2 do Ministério da Saúde, a equipe clínica pode administrar terapia ponte ou seja, fazer a administração **prévia das duas outras terapias, o que não impedirá o uso subsequente do**

Zolgensma®, desde que se respeite aos critérios estabelecidos no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde.

6. Nesse sentido, solicitamos que **os pacientes pacientes pediátricos até 6 meses de idade com Atrofia Muscular Espinal (AME) do tipo I sejam prontamente acolhidos pelo serviços de saúde** e que recebam tratamento conforme estabelecido no PCDT, preparando-os, caso elegíveis, para a infusão de terapia genética com Zolgensma.

7. Acrescenta-se ainda que a Coordenação-Geral de Doenças Raras dentro de sua competência assistências e responsável por acolher qualquer dúvida ou demandas relacionada a terapia genética com onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma®) de pacientes com AME tipo 1, elegíveis conforme estabelecido no PCDT.

8. Com a certeza de que podemos contar com a sua pronta resposta, expressamos nossa gratidão antecipadamente. Quaisquer questões relacionadas a esta solicitação devem ser enviadas, de preferência através de um meio digital no e-mail cgraras@saud.gov.br, referenciando-se o registro **SEI nº 25000.050228/2025-38 e o número deste Ofício.**

9. Por fim, a Coordenação-Geral de Doenças Raras está à disposição para suporte e esclarecimentos por meio do e-mail cgraras@saud.gov.br ou telefone (61)3315-6175 ou 6143.

Atenciosamente,

NATAN MONSORES DE SÁ

Coordenador-Geral

Coordenação-Geral de Doenças Raras - CGRAR/DAET/SAES/MS

Ciente. De Acordo.

ARTHUR LOBATO BARRETO MELLO

Diretor

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

Ciente. De Acordo.

MOZART SALES

Secretário

Secretaria de Atenção Especializada à Saúde - SAES/MS



Documento assinado eletronicamente por **Natan Monsores de Sá, Coordenador(a)-Geral de Doenças Raras**, em 19/05/2025, às 18:03, 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.



Em casos de dúvidas entre em contato com a Coordenação-Geral de Doenças Raras (CGRAR/DAET/SAES)

Telefone: (61) 3315-6143

E-mail: cgrar@saude.gov.br



**DOENÇAS
RARAS**



MINISTÉRIO DA
SAÚDE

