



n. 111

publicado em agosto/2018

# RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*NUSINERSENA PARA O TRATAMENTO DE PACIENTES  
COM ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL 5Q TIPO 1*



# RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

Este relatório é uma versão resumida do relatório técnico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – Conitec e foi elaborado numa linguagem simples, de fácil compreensão, para estimular a participação da sociedade no processo de avaliação de tecnologias em saúde que antecede a incorporação, exclusão ou alteração de medicamentos, produtos e procedimentos utilizados no SUS.

Todas as recomendações da Conitec são submetidas à consulta pública pelo prazo de 20 dias. Após analisar as contribuições recebidas na consulta pública, a Conitec emite a recomendação final, que pode ser a favor ou contra a incorporação/exclusão/alteração da tecnologia analisada.

A recomendação da Conitec é, então, encaminhada ao Secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, que decide sobre quais medicamentos, produtos e procedimentos serão disponibilizados no SUS.

Para saber mais sobre a Conitec, acesse <[conitec.gov.br](http://conitec.gov.br)>

## Atrofia Muscular Espinhal (AME)

As AME são um grupo de doenças neuromusculares passadas dos pais para os filhos através de um gene recessivo (gene que só reproduz sua característica quando presente na herança genética transmitida pelo pai e pela mãe). Assim, por conta do erro genético, as pessoas com AME têm deficiência na produção de uma proteína essencial para que as células que controlam o movimento dos músculos possam sobreviver e funcionar normalmente. Essa disfunção leva os doentes a uma fraqueza muscular progressiva, comprometendo gradualmente as funções vitais, diminuindo a qualidade e expectativa de vida dessas pessoas.

As AME 5q (resultantes de deficiência no cromossomo 5q) são clinicamente subclassificadas em cinco tipos, de acordo com a idade de início da doença e função motora, sendo a tipo I a de maior gravidade e a IV a mais leve. A AME 5q tipo I, também chamada de doença de Werdnig-Hoffman é forma mais comum, podendo se manifestar desde a fase intrauterina até os 6 meses de vida, sendo as complicações respiratórias as principais causas de mortalidade da AME.

O diagnóstico é considerado difícil e geralmente motivado pelos sinais clínicos, afirmado pela redução considerável de volume muscular e detectado por meio de exames.

## Como o SUS atua no controle e tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo 1

Os tratamentos atualmente disponíveis no SUS para AME são um conjunto de cuidados que auxiliam na qualidade e aumento da expectativa de vida. Esses cuidados abrangem alimentação especial, dispositivos respiratórios que facilitam o ato de tossir para liberar as vias aéreas, ventilação mecânica e tratamentos ortopédicos, tais como, controle postural, controle de dores e contraturas, adaptação das atividades diárias, mobilidade com cadeira de rodas ou andador, órteses nos membros e terapias que incentivem o desenvolvimento da mobilidade, prolongando a sobrevivência dessas crianças e o enfrentamento da doença.

## Tecnologia analisada: Nusinersena

A Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos solicitou à CONITEC a incorporação do nusinersena como tratamento para a Atrofia Muscular Espinhal (AME) TIPO I 5q. O nusinersena é o primeiro medicamento para tratamento da doença disponível no país e representa uma nova forma de intervenção terapêutica, onde buscou-se desenvolver e inserir no paciente uma sequência de ácidos nucleicos específica, com vistas a ativar a produção da proteína correta nos pacientes com a doença.

A CONITEC analisou os estudos apresentados pelo demandante que avaliavam as evidências científicas sobre eficácia, segurança, custo-efetividade e impacto orçamentário do nusinersena. Foi avaliado um estudo do tipo ensaio clínico de fase III, que avaliou 121 crianças com AME e idade média de 5,4 meses, observando-se um discreto benefício do uso de nusinersena nos resultados associados à função motora e tempo de vida sem necessidade de uso de ventilação mecânica, sendo esse resultado melhor percebido nas crianças que iniciaram o uso do medicamento mais precocemente (com menos de 13,1 semanas de idade). Para pacientes de maior faixa etária e/ou maior tempo de



doença, a incerteza sobre o benefício é ainda maior. Sobre a ocorrência de eventos adversos, estudos que observaram pacientes que já utilizam o medicamento mostraram uma alta taxa de eventos adversos graves.

Com a análise, concluiu-se que se fazem necessários novos estudos para compreender os resultados do uso de nusinersena a longo prazo, especialmente para entender se o medicamento apenas diminui a progressão da doença ou também é capaz de promover a recuperação da função motora já perdida, o que não parece ocorrer, considerando estudos já conduzidos em animais. Além disso, as evidências mostram que o medicamento parece não apresentar efeito para todos os pacientes tratados.

Em relação aos custos com a inclusão do nusinersena no SUS, percebe-se que o valor do medicamento extrapola os precedentes históricos, principalmente em função dos modestos resultados clínicos do medicamento. O preço praticado no mercado brasileiro é de R\$ 233 mil por frasco de medicamento, o que levaria a um impacto orçamentário de R\$ 380 milhões até R\$ 2,85 bilhões para os cinco primeiros anos de oferta do medicamento no SUS. Acredita-se ser necessária a inclusão de mecanismos para acompanhar os reais efeitos do medicamento nos pacientes que seriam submetidos a esta terapia e ainda, a negociação do valor de compra, que deve ser adequado à demanda do país, comparado a outros países, onde a empresa já realizou contratos com reduções de preços.

## Recomendação inicial da Conitec

Os membros do Plenário da CONITEC, presentes na 69ª reunião ordinária, realizada em 1º de agosto de 2018, consideraram que além do alto custo, o fator mais relevante e principal a ser considerado é a evidência, que demonstrou benefícios discretos e em apenas uma parcela pequena de pacientes. Todos os membros concordam que é necessária uma discussão mais ampla e que devem ser incluídas abordagens sobre cuidados multidisciplinares e uma diretriz clínica que norteie o cuidado das pessoas com AME.

Sendo assim, o plenário da CONITEC recomendou inicialmente pela não incorporação no SUS do nusinersena para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) TIPO I 5q.

O assunto está agora em consulta pública para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema. Para participar, preencha o formulário eletrônico disponível em:

< <http://conitec.gov.br/consultas-publicas> >

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível em:

< [http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2018/Relatorio\\_nusinersena\\_5q\\_tipo\\_I\\_2018\\_CP.pdf](http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2018/Relatorio_nusinersena_5q_tipo_I_2018_CP.pdf) >



<http://conitec.gov.br>    twitter: @conitec\_gov    app: conitec

**CONITEC** Comissão Nacional de  
Incorporação de  
Tecnologias no SUS