



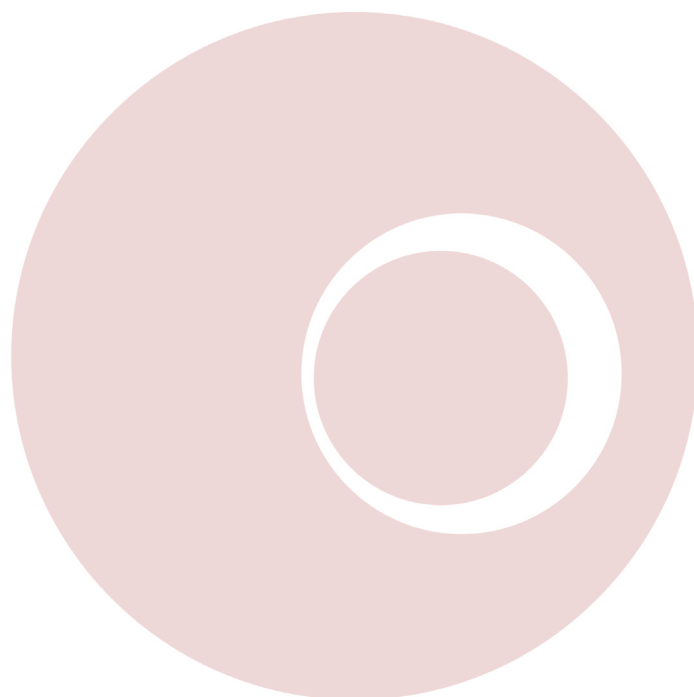
n. 145

publicado em março/2019

RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*NUSINERSENA PARA ATROFIA MUSCULAR
ESPINHAL 5Q*



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>

O que é Atrofia Muscular Espinhal?

As Aтроfias Musculares Espinhais (AME) são doenças neuromusculares genéticas, caracterizadas pela perda ou ausência da proteína de sobrevivência do neurônio motor (SMN), resultando na degeneração desses neurônios do Sistema Nervoso Central. Essas atrofias são consideradas a causa genética mais comum de mortalidade infantil, com poucos dados no mundo todo.

A degeneração característica das AME resulta em fraqueza muscular, seguida de paralisia dos membros inferiores e superiores, falha respiratória e morte. Em alguns casos, ocorre certa contração da língua e fraqueza dos músculos faciais. Além disso, a diminuição de reflexos e da força muscular, perda de função dos músculos e fraqueza muscular são comuns aos subtipos (tipo I, II, III e IV), por trata-se de uma única doença. A AME 5q pode ser classificada de acordo com suas características (Quadro 01).

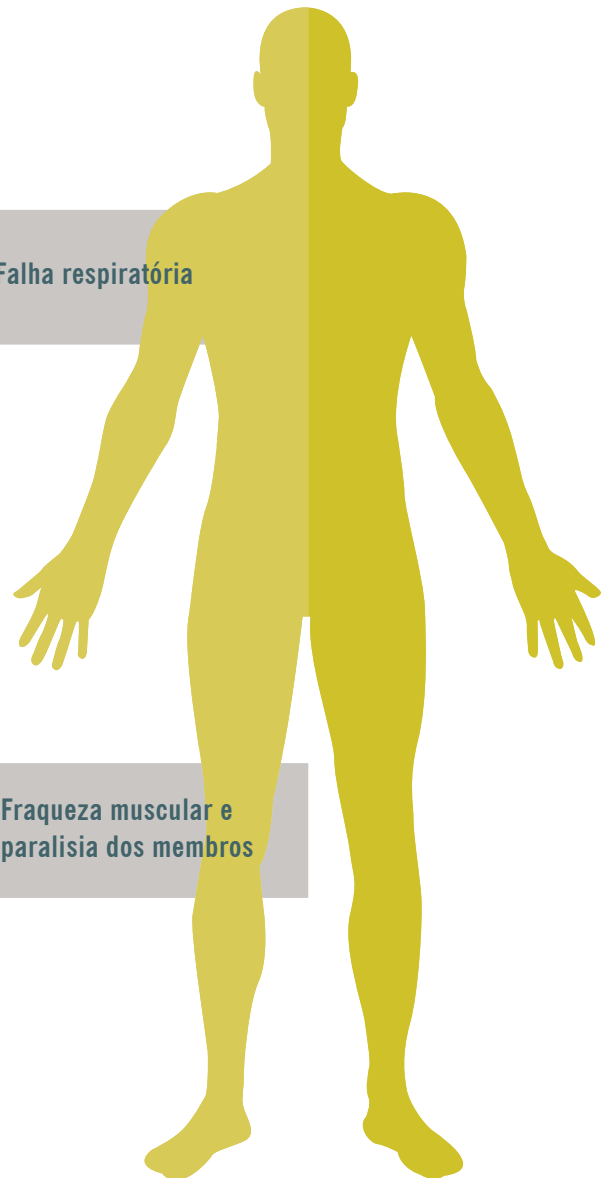
sintomas comuns



Falha respiratória



Fraqueza muscular e paralisia dos membros



Quadro 01: Características dos subtipos de AME

Categoria da AME 5q	Subtipo de AME 5q	Proporção	Idade de início	Características
Início precoce	AME tipo I	58%	0 - 6 meses	Forma mais grave de manifestação da doença. As crianças apresentam uma grave e precoce diminuição da força muscular, são incapazes de sentar sem apoio e têm expectativa de vida de até 24 meses.
Início tardio	AME tipo II	29%	7 - 18 meses	Gravidade intermediária. Pacientes geralmente são capazes de sentar, mas não de andar; expectativa de vida até os 18 anos.
	AME tipo III	13%	>18 meses	Pacientes capazes de andar até a vida adulta, com perda gradativa dessa habilidade ao longo do tempo; expectativa de vida normal.
	AME tipo IV	-	Segunda ou terceira década de vida	Manifestação mais branda e tardia, com perda de função motora gradativa e lenta; expectativa de vida normal.

O diagnóstico da AME é considerado difícil, geralmente motivado por sinais clínicos e pode ser confirmado pela presença de alterações próprias da doença. Atualmente, a confirmação do diagnóstico é baseada em teste genético específico. A avaliação do crescimento e desenvolvimento de crianças até os cinco anos de idade é realizado por meio de padrão da Organização Mundial de Saúde (OMS), que propõe curvas de crescimento físico e marcos de desenvolvimento normais.

Como os pacientes com com atrofia muscular espinhal 5q são tratados no SUS?

Por se tratar de uma doença que causa a degeneração de neurônios de forma progressiva, os tratamentos atualmente disponíveis são paliativos, auxiliando no aumento da expectativa e qualidade de vida dos pacientes. O manejo desses pacientes abrange os cuidados:

Nutricionais: alimentação especial;

Respiratórios: dispositivos para facilitar a tosse, promovendo liberação das vias aéreas; aplicação de um suporte ventilatório sem recorrer a métodos invasivos (ventilação não invasiva), noturna ou contínua, de acordo com a necessidade do paciente; e ventilação invasiva, normalmente com uso de cânula de traqueostomia;

Ortopédicos: controle postural, controle de dores e contraturas, adaptação das atividades diárias, mobilidade com cadeira de rodas ou andador e órteses nos membros.



Medicamento analisado: nusinersena

A Biogen solicitou à CONITEC a incorporação do nusinersena para o tratamento da AME 5q no SUS. O nusinersena é um medicamento registrado na ANVISA que atua na produção da proteína SMN que o indivíduo com AME não tem em quantidade adequada. Assim, a perda de células nervosas motoras é reduzida e, conseqüentemente, os efeitos da AME são minimizados em certo grau.

A CONITEC analisou os estudos apresentados pelo demandante que avaliavam as evidências científicas sobre eficácia (benefícios clínicos), segurança, custo-efetividade e impacto orçamentário do nusinersena para o tratamento da AME. O medicamento apresentou resultados de eficácia e segurança razoáveis exclusivamente para o tratamento de pacientes com AME 5q tipo I, observando-se benefício quando iniciado o tratamento antes dos sete meses de idade, ou seja, de início precoce. Para as demais populações portadoras de AME 5q, os estudos avaliando a doença de início tardio são escassos, dessa forma, não é possível saber o real benefício do nusinersena para esses indivíduos. Novos estudos são necessários para investigar melhor as pessoas com início tardio da doença.

Em relação aos custos estimados com a inclusão desse medicamento no SUS para todos os tipos de AME 5q, considerando os dados obtidos na avaliação econômica, o demandante apresentou um impacto orçamentário no qual estima-se um gasto de R\$122,6 a R\$217,1 milhões no primeiro ano após a incorporação de nusinersena. No quinto ano, o impacto financeiro para o SUS poderá variar entre R\$359,3 e R\$456,8 milhões.

Recomendação inicial da CONITEC

Os membros do plenário da CONITEC, presentes na 75ª reunião ordinária, no dia 14 de março de 2019, consideram que as evidências científicas acerca da eficácia e efetividade do nusinersena para AME 5q demonstram uma melhora na função motora e ganho de sobrevida livre de evento para pacientes com AME 5q tipo I, portadores de duas cópias do gene SMN2, com diagnóstico até o sexto mês de vida e que iniciaram o tratamento em até 13,1 semanas após o diagnóstico. Para as demais populações portadoras de AME 5q as evidências são mais incipientes. Sendo assim, o plenário da CONITEC recomendou inicialmente a inclusão (incorporação) no SUS do nusinersena para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipo I com os seguintes condicionantes: para pacientes com menos de 7 meses de vida, com início de tratamento até 13 semanas após o diagnóstico e com diagnóstico genético confirmatório; atendimento em centros de referência com a disponibilização de cuidados multidisciplinares; protocolo clínico e diretrizes terapêuticas (com estabelecimento de critérios de inclusão, exclusão e interrupção); avaliação da efetividade clínica; reavaliação pela CONITEC em 3 anos; e doação pela empresa fabricante das 3 primeiras doses do tratamento de cada paciente.

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/2019/Relelatorio_Nusinersena_AME5q_CP_12_2019.pdf >



<http://conitec.gov.br>

twitter: @conitec_gov

CONITEC Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS