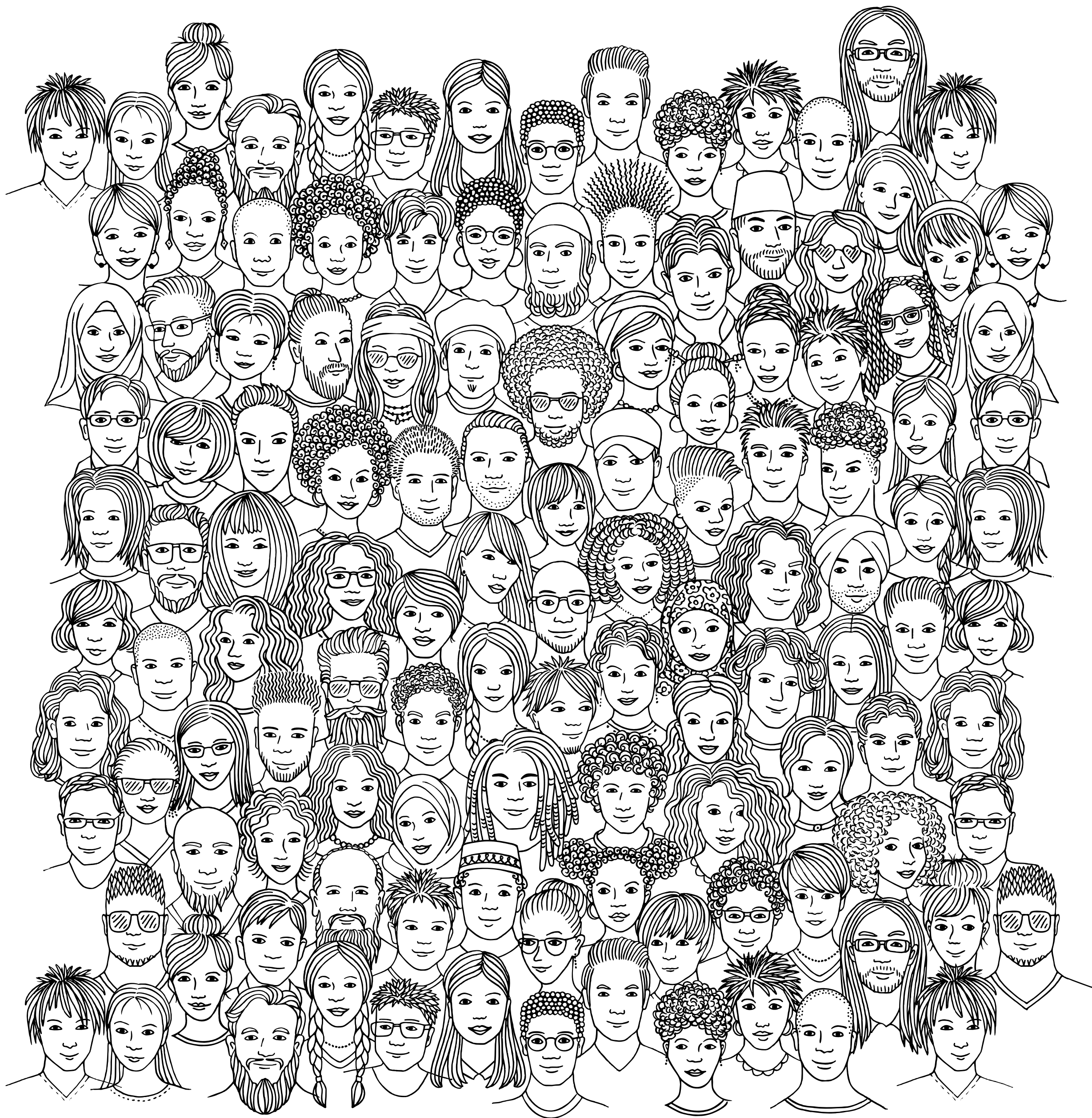




RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

NUSINERSENA PARA TRATAMENTO DA
ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL 5Q TIPO
II E III (INÍCIO TARDIO)

2021 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, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde - SCTIE

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde - DGITIS

Coordenação-Geral de Gestão de Tecnologias em Saúde - CGGTS

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: <http://conitec.gov.br/>

E-mail: conitec@saude.gov.br

Elaboração do relatório

COORDENAÇÃO DE INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS – CITEC/CGGTS/DGITIS/
SCTIE/MS

Elaboração do texto

Luiza Nogueira Losco

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Bruna Cabral de Pina Viana

Élida Lúcia Carvalho Martins

Getulio Cassemiro de Souza Júnior

José Octávio Beutel

Marina Ongaratto Fauth

Patrícia Mandetta Gandara

Tatiane Araújo Costa

Layout e diagramação

Leo Galvão

Supervisão

Vania Cristina Canuto Santos – Diretora DGITIS/SCTIE/MS



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

As recomendações da Comissão 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 ou alteração da tecnologia analisada.

A recomendação final é, então, encaminhada ao Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde - SCTIE/MS, que decide sobre quais tecnologias em saúde serão disponibilizadas no SUS.

Para saber mais sobre a Conitec, acesse:

conitec.gov.br

NUSINERSENA PARA TRATAMENTO DA ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL 5Q TIPO II E III (INÍCIO TARDIO)

O que é a Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q?

A Atrofia Muscular Espinhal (AME) é uma doença neuromuscular que atinge os neurônios motores, responsáveis pelas atividades musculares do corpo como andar, falar, respirar e engolir. Ela ocorre quando uma mutação genética no cromossomo 5q provoca a falta de uma proteína chamada SNM (proteína de sobrevivência do neurônio motor), podendo, assim, ser transmitida de pais para filhos. Os sintomas são fraqueza muscular, perda progressiva dos movimentos, paralisia e falha respiratória. A doença atinge 1 em cada 10.000 nascimentos vivos e é a causa mais comum de mortalidade genética infantil.

A AME 5q é classificada em 4 tipos de acordo com a gravidade, podendo ser de início precoce ou tardio. O tipo I é o mais grave e o mais comum, correspondendo a 60% do total de casos, sendo caracterizado como de início precoce, com sintomas que se iniciam antes dos seis meses de idade. Já os tipos II a IV são de início tardio e apresentam menos complicações quando comparados à AME 5q tipo I. A AME tipo II corresponde a mais ou menos 27% dos casos da doença, e os sintomas tornam evidentes, normalmente,

entre 6 e 18 meses de idade. Pacientes assim diagnosticados costumam chegar à idade adulta e, geralmente, são capazes de sentar, mas não de andar. O tipo III corresponde a 12% dos pacientes com AME e é caracterizado pelo aparecimento dos sintomas entre as idades de 18 meses e a idade adulta. Pessoas com esse tipo apresentam expectativa de vida normal e conseguem andar até a vida adulta, com perda gradativa dessa habilidade ao longo do tempo. O diagnóstico da AME é confirmado por meio de testes genéticos e moleculares.

Como os pacientes com AME 5q tipo II e III são tratados no SUS?

Atualmente, não há tratamento medicamentoso disponível no SUS para o tratamento da AME 5q tipos II e III.

O nusinersena é fornecido apenas para os pacientes com AME 5q tipo I, de acordo com o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da doença. Porém, existe o tratamento não-medicamentoso para os pacientes com AME 5q tipos II e III, relacionado, principalmente, aos cuidados nutricionais, respiratórios, ortopédicos e que buscam aliviar os sintomas. São realizados por uma equipe composta por profissionais de várias áreas com o objetivo de reduzir as complicações derivadas da doença e melhorar a qualidade de vida do paciente e de seus familiares.

Medicamento analisado: nusinersena

A Biogen solicitou à Conitec a avaliação de incorporação do nusinersena para o tratamento de AME 5q tipos II e III. Este medicamento atua na produção da proteína SNM que o indivíduo com AME não tem em quantidade adequada. Assim, a perda de células nervosas motoras é reduzida, melhorando a força e a atividade dos músculos.

A Conitec analisou os estudos que trataram da eficácia (resultados esperados), segurança e impacto orçamentário da tecnologia. A maioria dos estudos buscava avaliar se houve melhora na função motora dos pacientes (capacidade de realizar alguns movimentos como sentar, levantar, andar). Nos estudos com pacientes acima de 30 anos, foram observados melhores resultados com o tratamento de pacientes com o tipo III da doença do que com o tipo II. Por outro lado, os estudos com pacientes mais jovens apresentaram melhores resultados para o tipo II.

A maior parte das evidências científicas encontradas relatou melhora no teste de caminhada de 6 minutos. Com relação à segurança do uso do nusinersena, os eventos adversos mais comuns foram relacionados à administração do medicamento - dor lombar, vômitos e cefaleia - sendo estes também o principal motivo de interrupção do tratamento pelos pacientes. Não foram encontrados estudos que avaliassem ganho no tempo de vida dos pacientes após o diagnóstico da doença. A partir dos estudos existentes é

possível verificar que há, ainda, uma grande incerteza com relação à eficácia, efetividade e segurança do nusinersena em longo prazo, visto que os estudos publicados possuem tempo médio de acompanhamento de 10 a 24 meses.

Quanto ao impacto orçamentário, o valor gasto estimado pelo demandante variou de R\$ 1,4 a R\$ 2,1 bilhões, a depender do acesso desse medicamento pelos pacientes. Se 100% dos pacientes com diagnóstico confirmado de AME tipo II ou III, no Brasil, fizerem uso do nusinersena, o custo em 5 anos é estimado em mais de R\$ 9 bilhões. Porém, na estimativa pela demanda aferida (que se ampara em dados já existentes), com os pacientes cadastrados na Ouvidoria do Ministério da Saúde, o custo variou de aproximadamente R\$ 2 a R\$ 2,5 bilhões, acumulados em cinco anos, a depender do preço do medicamento e da quantidade de pessoas que passe a fazer uso da tecnologia.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não ampliação de uso do nusinersena para AME tipos II e III no SUS. Esse tema foi discutido durante a 92ª reunião ordinária da Comissão, realizada no dia 5 de novembro de 2020. Na ocasião, o Plenário considerou a influência de outras intervenções, como os cuidados fisioterapêuticos e uso de órteses e próteses, por exemplo, nos resultados apresentados pelos pacientes, em comparação aos efeitos do medica-

mento quando usado isoladamente. Assim, alguns membros consideraram que o uso isolado do nusinersena não traria tantos benefícios a ponto de evitar a progressão da doença e, por isso, o alto custo investido não seria justificável diante dos resultados apresentados.

O assunto esteve disponível na consulta pública nº 63, durante 20 dias, no período de 25/11/2020 a 15/12/2020, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 5.950 contribuições, sendo 271 técnico-científicas e 5.679 sobre experiência ou opinião. A maioria foi contrária à recomendação da Conitec, de não incorporação do medicamento. Os principais temas presentes nas contribuições foram referentes aos seguintes aspectos: benefício do nusinersena quanto a ganhos motores, qualidade de vida e não progressão da condição; potencial do medicamento em propiciar uma vida melhor aos pacientes; ser a única tecnologia disponível para o tratamento de pacientes com AME tipos II e III; alto custo da tecnologia; eventos adversos decorrentes da forma de administração do medicamento e relação de custo-efetividade da tecnologia ser insustentável sob a perspectiva do SUS.

Recomendação final da Conitec

Durante a 94ª Reunião, realizada nos dias 3 e 4 de fevereiro de 2021, a Conitec recomendou a não incorporação do nusinersena para o tratamento de AME 5q tipos II e III (início tardio). Os membros presentes entenderam que não houve argumentação suficiente nas contribuições para alterar a recomendação inicial.

Audiência Pública

Diante da quantidade de contribuições recebidas ao longo das análises realizadas pela Comissão, bem como da comoção que a condição de saúde gerou na sociedade, o Secretário convocou audiência pública para coletar mais subsídios e decidir sobre a possível incorporação da tecnologia.

A Audiência Pública nº 01/2021 foi realizada no dia 19 de março de 2021, em formato virtual, com a finalidade de ouvir a sociedade acerca do tema para a tomada de decisão. Na ocasião, houve a apresentação de 17 participantes: três representações da indústria farmacêutica, cinco representações de pacientes, quatro representações de profissionais da saúde, uma representação de metodologista, uma representação de gestores do SUS e três representações de pesquisadores, além daqueles que acompanharam a programação ao vivo pelos canais oficiais da Conitec na internet.

Os representantes das empresas destacaram o impacto que a AME causa na vida dos pacientes, cuidadores e fa-

miliares e no sistema de saúde e reforçaram os benefícios das tecnologias disponíveis atualmente para o tratamento da doença.

Os representantes de pacientes compartilharam experiências, dificuldades e angústias, seja como paciente, cuidador ou familiar; enfatizaram sobre a esperança e os benefícios clínicos que o nusinersena tem proporcionado aos pacientes e solicitaram que o fornecimento do medicamento atenda a todos os pacientes com AME dos tipos II e III.

Os representantes de profissionais de saúde ressaltaram como a doença afeta a qualidade de vida dos pacientes e a melhora proporcionada com o uso do nusinersena. Porém, lamentaram que nem todos os pacientes conseguem ter acesso a ele.

Os demais falaram sobre a necessidade de estudos que comprovem o desempenho do nusinersena, o aumento da judicialização deste medicamento, a utilização dos tratamentos disponíveis para os pacientes com AME e a melhora na qualidade de vida nos que utilizam o nusinersena frente aos demais. Além disso, alguns participantes contribuíram com evidências adicionais, avaliadas posteriormente.

Recomendação final após a Audiência Pública

Durante a 5ª Reunião Extraordinária da Conitec, realizada nos dias 12 e 13 de maio de 2021, a Conitec deliberou

que a recomendação final fosse parcialmente modificada após avaliar as contribuições recebidas na audiência pública. Dessa forma, os membros do Plenário recomendaram a incorporação do nusinersena para o tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo II, com diagnóstico até os 18 meses de idade, conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde; e a não incorporação do nusinersena para tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo III.

Decisão final

O Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu incorporar o nusinersena para tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo II, com diagnóstico até os 18 meses de idade e conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde, e não incorporar o nusinersena para tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo III, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível em: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2021/20210602_Relatorio_595_nusinerse-na_AME5Q_2e3_P_26.pdf.