

## **NOTA TÉCNICA Nº 1230/2023- NAT-JUS/SP**

### **1. Identificação do solicitante**

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 2ª Vara Cível Federal de São Paulo
- 1.3. Processo nº: 5006947-61.2021.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: 04/04/2023
- 1.5. Data da Resposta: 17/04/2023

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 27/07/2016 – 6 anos
- 2.2 Sexo: feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo - SP
- 2.4. Histórico da doença: AME Tipo 2 – G12.1

### **3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)**

### **4. Descrição da Tecnologia**

- 4.1 Tecnologia: medicamento – Nusinersena 12mg/5ml
- 4.2. Princípio Ativo: NUSINERSENA
- 4.3. Registro na ANVISA: 1699300080010
- 4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: sim.
- 4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: não há
- 4.6. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: não há.
- 4.7. Custo da tecnologia:
  - 4.7.1. Denominação genérica: Nusinersena
  - 4.7.2. Laboratório: Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda
  - 4.7.3. Marca comercial: Spinraza
  - 4.7.3. Apresentação: 2.4 mg/ml sol inj ct fa vd trans x 5 ml
  - 4.7.4. Preço máximo de venda ao Governo: R\$ 393.337,24
  - 4.7.5. Preço máximo de venda ao Consumidor: R\$ 515.770,51
- 4.8: Tratamento mensal:
  - 4.8.1: Dose diária recomendada: vide receita
- 4.9. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços de medicamentos da ANVISA. Referência abril de 2023. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/capa-listas-de-precos>
- 4.10. Recomendações da CONITEC: PCDT (Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas) de outubro/2019, nº 492, recomenda o uso da medicação para o subtipo I. Os membros da

Conitec presentes na 5ª Reunião Extraordinária da Conitec, no dia 12 de maio de 2021, deliberaram, por maioria simples, modificar parcialmente a recomendação final da 94ª reunião ordinária. Tendo em vista o exposto na Audiência Pública nº 1/2021, os membros da Conitec 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 pela não incorporação do nusinersena para tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo III. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 619/2021.

## **5. Discussão e Conclusão**

### **5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:**

Nusinersena é um tratamento comprovadamente eficaz para o manejo de pacientes com atrofia muscular espinhal. De acordo com os documentos enviados para elaboração deste parecer, pode-se concluir que a paciente vinha recebendo o medicamento, mas a sua disponibilidade foi interrompida. O motivo da interrupção não ficou evidente.

O PCDT fornece o seguinte texto, o qual é referendado pela literatura médica vigente:

Os critérios de interrupção devem ser apresentados, de forma clara, aos pacientes, pais ou responsáveis legais. As seguintes situações indicam a interrupção do uso de nusinersena:

- Ausência de benefício clínico associado ao tratamento, evidenciada por evolução para necessidade de ventilação mecânica invasiva permanente por 24 horas por dia, continuamente, por período  $\geq 90$  dias;
- desenvolvimento de doença cerebral ou da medula espinhal que impeça a administração intratecal do medicamento ou a circulação do líquido cefalorraquidiano;
- presença de implante de derivação para drenagem do líquido cefalorraquidiano ou de cateter de sistema nervoso central;
- hipersensibilidade ou reação adversa grave ao nusinersena;
- decisão do responsável legal pelo paciente, após ser devidamente informado sobre os riscos e benefícios de sua decisão de não mais se submeter a criança ao tratamento medicamentoso.
- Insuficiência respiratória que demande suporte ventilatório contínuo por outra causa não é considerada critério

### **5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:**

A Conitec deliberou em 12 de maio de 2021 pela incorporação da medicação nusinersena para pessoas com AME 5q tipo II e com diagnóstico até os 18 meses de idade.

“Os membros da Conitec presentes na 5ª Reunião Extraordinária da Conitec, no dia 12 de maio de 2021, deliberaram, por maioria simples, modificar parcialmente a recomendação final da 94ª reunião ordinária. Tendo em vista o exposto na Audiência Pública nº 1/2021, os membros da

Conitec 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 pela não incorporação do nusinersena para tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo III. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 619/2021”

### 5.3. Parecer

( ) Favorável

( X ) Desfavorável

### 5.4. Conclusão Justificada:

A medicação está disponível no SUS pelo Componente Especializado da Assistência Farmacêutica, para as pessoas que se enquadram nos critérios para fornecimento (AME 5q tipo II, diagnóstico até 18 meses de idade). Caso a paciente em questão se enquadre nos critérios, a medicação deverá ser solicitada pelas vias habituais.

Caso a paciente não se enquadre nos critérios diagnósticos (não há, nos relatórios menção à idade do início dos sintomas), a medicação não deve ser fornecida.

Requisitos para dispensação, de acordo com as orientações do Componente Especializado de Assistência Farmacêutica.

[https://saude.sp.gov.br/resources/ses/perfil/cidadao/aceso-rapido/medicamentos/relacao-estadual-de-medicamentos-do-componente-especializado-da-assistencia-farmacutica/consulta-por-medicamento/cartilhas-medicamentos/516\\_nusinersena\\_ame\\_tipo2\\_v2\\_12\\_22.pdf](https://saude.sp.gov.br/resources/ses/perfil/cidadao/aceso-rapido/medicamentos/relacao-estadual-de-medicamentos-do-componente-especializado-da-assistencia-farmacutica/consulta-por-medicamento/cartilhas-medicamentos/516_nusinersena_ame_tipo2_v2_12_22.pdf)

- Laudo de Solicitação

- Avaliação e Autorização de medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica

- Cópia dos exames:

- Análise quantitativa de SMN1 e SMN2 e descrição no campo anamnese do LME ou em relatório médico de um dos critérios abaixo, de acordo com sua situação:
- Pré-sintomáticos: crianças com histórico familiar de AME, diagnóstico genético confirmado e presença de até três cópias de SMN2;
- Sintomáticos: crianças com diagnóstico genético confirmado de AME 5q, presença de até três cópias de SMN2 e início dos sintomas entre 6 e 18 meses de vida.
- Independente da manifestação de sintomas:
  - Diagnóstico genético confirmado de AME 5q, presença de até 3 cópias de SMN2 e início de tratamento até 12 anos de idade.

- Diagnóstico genético confirmado de AME 5q, presença de até 3 cópias de SMN2 e início de tratamento até 12 anos de idade ou acima de 12 anos de idade estando preservada a capacidade de se sentar sem apoio e a função dos membros superiores.

Adicionalmente, independente da manifestação de sintomas, que o paciente apresenta condições de nutrição e hidratação adequadas, com ou sem gastrotomia, pesando, pelo menos, o terceiro percentil de peso corporal para a idade e estando com o calendário de vacinação em dia.

- Questionário para Avaliação Clínica de pacientes com AME 5Q tipo II em uso de Nusinersena (Apêndice 1 e 2, páginas 19 e 20 do protocolo)

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

( ) SIM, com potencial risco de vida

( ) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

( ) NÃO

5.5. Referências bibliográficas:

[https://www.gov.br/conitec/pt-](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210602_relatorio_595_nusinersena_ame5q_2e3_p_26.pdf)

[br/midias/relatorios/2021/20210602\\_relatorio\\_595\\_nusinersena\\_ame5q\\_2e3\\_p\\_26.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210602_relatorio_595_nusinersena_ame5q_2e3_p_26.pdf)

5.6. Outras Informações:

**Considerações NAT-Jus/SP:** A autoria do presente documento não é divulgada por motivo de preservação do sigilo.

**Equipe NAT-Jus/SP**