

NOTA TÉCNICA Nº 1281/2023 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 1ª Vara Federal – Comarca de Limeira
- 1.3. Processo nº: 5000271-94.2023.4.03.6143
- 1.4. Data da Solicitação: 11/03/2023
- 1.5. Data da Resposta: 19.03.2023

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 30/05/2007 – 15 anos
- 2.2 Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: Limeira/SP
- 2.4. Histórico da doença: Atrofia Muscular Espinhal – AME tipo 1 – CID10 G12.1.

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

1 – Considerando as condições descritas no relatório médico acostado aos autos, a parte autora se enquadra na especificação do público-alvo descrito na bula do medicamento?

Sim

2 – Há evidências científicas que justifiquem o uso do medicamento para o tratamento da doença que acomete a parte autora? Em caso positivo, citar as evidências científicas.

Sim, ver abaixo

3- Justifica-se a alegação de urgência noticiada na petição inicial?

Não

4- O medicamento requerido é registrado na ANVISA?

Sim

5 – Em caso negativo, há pedido de registro do medicamento no Brasil? Se houver pedido de registro, apresentar informações sobre a tramitação do pedido de registro (data, fase em que se encontra, etc.);

-

6 – O medicamento pleiteado é registrado em renomadas agências de regulação no exterior (ex. EUA, União Européia, Japão)? Em caso positivo quais?

Sim

7- O medicamento pode ser considerado órfão ou existem outras tecnologias disponíveis no SUS, de eficácia comprovada cientificamente, sejam eles cirúrgicos, terapêuticos ou medicamentosos, que ainda não tenham sido ministrados à parte autora e que se encontrem no rol dos recursos disponibilizados pelo SUS?

Sim, pode ser considerado órfão

8 – O medicamento requerido é o único possível para o tratamento da parte autora e, portanto, pode ser considerado imprescindível?

Sim, em termos. O estado avançado da doença não recomenda o uso da medicação pela CONITEC

9 – É possível que seja estabelecido um comparativo (custo x efetividade), entre o medicamento indicado no item anterior e o medicamento pleiteado?

-

10 – Quais os riscos caso a parte autora não utilize o medicamento requerido?

A doença é crônica, de caráter evolutivo. Não é possível afirmar que o uso do medicamento prolongará a sobrevida

11 – Há algum posicionamento da CONITEC acerca do uso do medicamento requerido para o tratamento da enfermidade que acomete a parte autora?

Sim

12 – Apresente outros elementos que considere importante para análise do caso:

13 – Há evidências científicas?

Sim

14 – Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e a Emergência do CFM?

Não

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: Medicamento

- Spinraza 12mg = 5ml, infundir 5ml a cada 4 meses (fase de manutenção) - Via Intratecal – uso contínuo.

4.2. Princípio Ativo: NUSINERSENA

4.3. Registro na ANVISA: 1699300080010

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: 416793,51

4.7.5. Preço máximo de venda ao Consumidor: 531150,13

4.9. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços da ANVISA abril de 2023

4.10. Recomendações da CONITEC: Vide item 5

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

A AME tipo I tem uma evolução no geral mais rápida que os outros tipos de AME. A Conitec deliverou (no Relatório de Recomendação Nº 449 Abril/2019):

“Os membros da CONITEC presentes na 76ª reunião ordinária, no dia 04 de abril de 2019, deliberaram por unanimidade recomendar a incorporação no SUS do nusinersena para AME 5q tipo I, para pacientes com diagnóstico genético confirmatório **que não estejam em ventilação mecânica invasiva permanente de modo ininterrupto** (grifo meu). O atendimento dos pacientes deverá ser realizado em centros de referência com a disponibilização de cuidados multidisciplinares, mediante 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 negociação de preço com a empresa fabricante do medicamento A CONITEC informa que caso sejam apresentadas evidências adicionais sobre eficácia, efetividade e segurança do nusinersena para tratamento dos tipos II e III de AME 5q, o tema poderá ser reavaliado.”

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:vide acima

5.3. Parecer

() Favorável

(X) Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

O paciente não se enquadra nos critérios de fornecimento da medicação, estabelecidos pela Conitec

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

(x) NÃO

5.5. Referências bibliográficas:

[https://www.gov.br/conitec/pt-](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2019/relatorio_nusinersena_ame5q.pdf)

[br/midias/relatorios/2019/relatorio_nusinersena_ame5q.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2019/relatorio_nusinersena_ame5q.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