

NOTA TÉCNICA Nº 3485/2023 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 17ª Vara Cível Federal de São Paulo
- 1.3. Processo nº: 5021191-24.2023.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: 11/08/2023
- 1.5. Data da Resposta: 16.08.2023

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 19/11/1956 – 66 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Esclerose Lateral Amiotrófica - CID10 G12.2

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

4. Descrição da Tecnologia

- 4.1. Tipo da tecnologia: MEDICAMENTO
TOFERSEN 100MG/15ML
- 4.2. Princípio Ativo: o mesmo
- 4.3. Registro na ANVISA: não possui
- 4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: vide discussão

5. Discussão e Conclusão

- 5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

O paciente possui o diagnóstico de esclerose lateral amiotrófica. Trata-se de doença crônica degenerativa sem nenhuma proposta de cura ou de modificação radical do curso da doença.

Independente dos medicamentos que o paciente receba pode-se afirmar que haverá evolução da doença ocasionando fraqueza muscular irreversível com restrição no leito, dependência para realização de atividades básicas e instrumentais de vida, insuficiência respiratória, disfagia, comprometimento da fala, perda de qualidade de vida, risco de óbito precoce.

- 5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

O medicamento possui um estudo de fase 3 publicado em 2022. Neste estudo, 72 participantes foram randomizados para receber o medicamento tofersen ou placebo. Ele não foi comparado com outra droga.

O desfecho primário estudado foi a variação de um escore denominado ALSFRS-R dentro de 28 semanas. Este escore avalia os seguintes 12 domínios: fala, salivação, deglutição, escrita, manipulação de alimentos e utensílios, vestuário e higiene, virar na cama e ajustar a roupa de cama, andar, subir escadas, dispneia, ortopneia, insuficiência respiratória. A sua pontuação máxima (quando tudo é normal) é de 48 pontos.

O grupo tofersen teve uma perda de 6,98 pontos no escore, enquanto o grupo placebo teve uma perda de 8,14 pontos. Essa diferença de 1,2 pontos não alcançou diferença estatisticamente relevante.

Em seguida, os dois grupos passaram a receber o medicamento e foram denominados como um grupo que recebeu tofersen precocemente e um grupo que recebeu tofersen tardiamente. Dentro de 52 semanas de observação, notou-se que o grupo com uso precoce perdeu 6 pontos e que o outro grupo perdeu 9,5 pontos. Mais uma vez, não houve diferença estatisticamente relevante.

Todos esses dados ainda indicam que o medicamento não é capaz de mudar o curso clínico da doença, como dito no item acima deste parecer – contrariando as ideias do relatório elaborado pelo médico assistencial, que dá a entender que a ausência do medicamento determinaria progressão da doença.

Nos Estados Unidos, o medicamento tem o curso de USD 1.138,40 por 100 mg. Isso provocaria um custo anula de aproximadamente USD 17.076 (R\$ 83.773,56) apenas pela aquisição do medicamento. O custo alto poderia ser discutido e, talvez, justificado se houvesse ganho expressivo clínico, o que não parece ser o caso do medicamento. Pela sua aplicação intratecal, o valor agregado será ainda maior.

Tofersen recebeu aprovação recente do FDA para que seja comercializado. Aprovações por agências reguladoras não são baseadas no potencial de eficácia da droga ou em parâmetros de custo-efetividade. No último documento nacional elaborado sobre a droga, ainda não havia essa aprovação do FDA, mas já se discutia a falha em demonstrar resultados clínicos relevantes.

Não foi encontrado registro do medicamento tofersen na ANVISA e há entendimento prévio do STF afirmando que:

- 1) O Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais.
- 2) A ausência de registro na Anvisa impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial.
- 3) É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamento sem registro sanitário, em caso de mora irrazoável da Anvisa em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei 13.411/2016), quando preenchidos três requisitos:

- I – a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil, salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras;
 - II – a existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior;
 - III – a inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil.
- 4) As ações que demandem o fornecimento de medicamentos sem registro na Anvisa deverão ser necessariamente propostas em face da União.

5.3. Parecer

- () Favorável
(X) Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

O medicamento não possui registro na ANVISA, possui alto valor agregado, e não tem evidência de benefício clínico.

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://portal.stf.jus.br/noticias/verNoticiaDetalhe.asp?idConteudo=411857>
https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/radar/2023/20230526_Informe_MHT_ELA.pdf
<https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2204705>

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