

NOTA TÉCNICA Nº 4215/2024 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº: 5003476-34.2023.4.03.6143
- 1.3. Data da Solicitação: 11/07/2024
- 1.4. Data da Resposta: 25/07/2024

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 12/06/1999 - 25 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: Piracicaba /SP
- 2.4. Histórico da doença: Amiotrofia espinhal tipo II – 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, conforme dados do relatório médico anexado.
- 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. O medicamento nusinersena já é dispensado para pacientes com AME tipo 2, conforme PCDT.
- 3- Justifica-se a alegação de urgência noticiada na petição inicial?
Sim.
- 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 Europeia, Japão)? Em caso positivo quais?
Sim, a medicação é aprovada pela Anvisa, FDA, EMA e outros órgãos regulatórios.
- 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?
Até o momento, os medicamentos específicos para o tratamento de AME 5q são escassos. Atualmente, os estudos têm apresentado como alvo terapêutico principal as modificações

genéticas. A possibilidade de alterar o código genético abriu portas para o desenvolvimento de medicamentos que modificam ou modulam a decodificação e transcrição do DNA.

Nusinersena está incluída na Tabela de Procedimentos, Medicamentos, Órteses, Próteses e Materiais Especiais do SUS sob o código 06.04.79.001-9, no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) casos com diagnóstico clínico e genético de AME 5q tipo 1B/C ou AME 5q tipo 2.

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

Nusinersena integra a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica, sendo adquirido pelo Ministério da Saúde e fornecido aos centros de referência definidos pelos respectivos gestores estaduais e distrital do SUS pelos núcleos farmacêuticos das secretarias estaduais e distrital de saúde.

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?

Progressão da doença.

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

Na reunião extraordinária de 12 e 13 de maio de 2021, a Conitec recomendou a incorporação do 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.

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 a Emergência do CFM?

Sim.

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da 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, conforme protocolo.

4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: disponível

Nusinersena integra a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica, sendo adquirido pelo Ministério da Saúde e fornecido aos centros de referência definidos pelos respectivos gestores estaduais e distrital do SUS pelos núcleos farmacêuticos das secretarias estaduais e distrital de saúde.

4.6. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: não

4.7. Recomendações da CONITEC: recomendada incorporação para Tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo II

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

As atrofia muscular espinhal são um grupo diverso de desordens genéticas que afetam o neurônio motor espinhal. As diferentes formas de atrofia muscular espinhal estão associadas a numerosas mutações genéticas e significativa variabilidade fenotípica. A atrofia muscular espinhal (AME) 5q é a forma mais comum entre esse grupo de doenças neuromusculares hereditárias autossômicas recessivas caracterizadas pela degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e tronco encefálico. A AME 5q é a causa mais frequente de morte infantil decorrente de uma condição monogênica.

A atrofia espinhal progressiva (AME) é uma doença neurodegenerativa grave, autossômica recessiva, decorrente de um defeito no gene do neurônio motor (SMN) das células do corno anterior da medula. A classificação clínica da AME 5q é dada pela idade de seu início e máxima função motora adquirida.

A AME 5q tipo 2 é caracterizada pela manifestação dos sintomas entre 6 e 18 meses de idade e estima-se que representa 27% dos casos de AME 5q2. A capacidade de sentar é geralmente alcançada por volta dos nove meses, embora esse marco possa ser atrasado. Os pacientes, em geral, não ficam de pé ou andam independentemente, mas alguns conseguem ficar de pé com a ajuda de órteses ou de uma estrutura ortostática. O exame físico demonstra fraqueza proximal predominante, que é mais grave nos membros inferiores, e os reflexos geralmente estão ausentes¹¹. Além disso, a deglutição prejudicada e a insuficiência ventilatória são frequentes na AME 5q tipo 2, principalmente em pacientes na extremidade grave do espectro do tipo 220. A escoliose ocorre universalmente neste grupo e é um fator contribuinte significativo para distúrbios de ventilação restritivos. Embora a expectativa de vida seja reduzida em pacientes com AME 5q tipo 2, em grande parte devido às complicações respiratórias, a maioria desses indivíduos chega à idade adulta, devido à melhora da história natural relacionada a cuidados de suporte.

Por se tratar de uma condição clínica neurodegenerativa progressiva, os cuidados de suporte e tratamentos médicos especializados são fundamentais, levando a aumento da expectativa e qualidade de vida dos pacientes com AME 5q. Estudos da história natural da

doença comprovam que houve aumento significativo da expectativa e qualidade de vida de indivíduos com AME 5q a partir da disponibilidade de cuidados de suporte e terapêuticos.

O medicamento nusinersena é disponibilizado para pacientes com AME tipo 2, conforme exposto em PCDT específico sobre a doença.

O acompanhamento do uso de nusinersena por pacientes com AME 5q tipos 1 ou 2 deve ser realizado com o objetivo de avaliar o desempenho da tecnologia (resultado terapêutico) em termos de benefícios obtidos, em vida real, para os pacientes com medidas da efetividade clínica e segurança.

A equipe médica deve fornecer documentos e orientações apropriadas aos pacientes e seus familiares para aquisição do medicamento por meio da atenção farmacêutica especializada do SUS.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Independência de ventilação assistida, além de potencial melhora e estabilização de função motora, por meio de avaliação por escala clínica, com melhores qualidade e expectativa de vida.

Na reunião extraordinária de 12 e 13 de maio de 2021, a Conitec, Recomendação final de incorporação do 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

5.3. Parecer

(X) Favorável

() Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

Considerando o diagnóstico de atrofia muscular espinhal do tipo II, quadro neurodegenerativo grave e progressivo, e que há evidência em literatura de benefício do uso da droga pleiteada nessa população, concluímos favoravelmente à solicitação.

Nusinersena integra a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica, sendo adquirido pelo Ministério da Saúde e fornecido aos centros de referência definidos pelos respectivos gestores estaduais e distrital do SUS pelos núcleos farmacêuticos das secretarias estaduais e distrital de saúde. A equipe médica deve fornecer documentos e orientações apropriadas aos pacientes e seus familiares para aquisição do medicamento por via administrativa por meio da atenção farmacêutica especializada do SUS.

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

- () SIM, com potencial risco de vida
(x) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função
() NÃO

5.5. Referências bibliográficas:

https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20230522_portariaconjuntano6atrofiamuscularespinhal5qtipos1e2.pdf

5.6. Outras Informações – conceitos:

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

RENAME - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

O RENAME é um importante instrumento orientador do uso de medicamentos e insumos no SUS. É uma lista de medicamentos que reflete as necessidades prioritárias da população brasileira, contemplando o tratamento da maioria das patologias recorrentes do país.

<https://www.conass.org.br/wp-content/uploads/2022/01/RENAME-2022.pdf>

REMUME - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteadas pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde

prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município.

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT) - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» **Componente Básico da Assistência Farmacêutica:** destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» **Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica:** financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem

abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica:** este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.

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

Equipe NAT-Jus/SP