

NOTA TÉCNICA Nº 470-A/2023 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 3ª Vara Federal de Santo André
- 1.3. Processo nº: 5000410-97.2023.4.03.6126
- 1.4. Data da Solicitação: **17/03/2023**
- 1.5. Data da Resposta: **29/03/2023**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 22/09/2021 – 01 ano
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Atrofia Muscular Espinhal Tipo II – CID12.

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

"O diagnóstico realizado pelo médico assistente do autor indica a existência de AMIOTROFIA MUSCULAR ESPINHAL – (CIS10 G12.1) (ID 274234284) TIPO II mas a nota técnica n. 470/2023 apresentada nos autos registra a autora como portadora de Atrofia Muscular Espinhal – tipo I CID10 G12.0. Dessa forma, a nota técnica tece análise acerca da inaplicabilidade do medicamento pleiteado para AME – tipo I (ID 276603428).

Assim, à vista da aparente confusão do tipo de AME que a autora padece com aquela que foi objeto de análise pela Equipe Técnica, determino que retornem à Equipe Técnica Natjus para que fundamente a divergência de diagnóstico apresentada em relação àquela indicada pelo médico assistente, bem como retifique ou ratifique a nota técnica já apresentada.”.

4. Descrição da Tecnologia

- 4.1. Tipo da tecnologia: medicamento
- ZOLGENSMA

5. Discussão e Conclusão

- 5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:
A última nota técnica versa sobre pacientes com AME tipo 1 e tipo 2. Infelizmente, há tamanha escassez de publicações de boa qualidade sobre AME tipo 2 que seria inadequado analisar tão somente essas evidências para elaborar uma nota técnica.

A maior parte dos pacientes com 2 ou 3 cópias do gene SMN2 desenvolvem clinicamente a AME tipo 2. O estudo de SPR1NT citado no último parecer avaliou pacientes com essas características.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

O estudo SPR1NT foi publicado e pode ser mencionado nesse complemento de parecer técnico.

O estudo SPR1NT, previa o recrutamento de 30 crianças, mas recrutou 15 crianças com 2 ou 3 cópias do gene, sendo a maior parte com 3 cópias. Ele identificou que 93% das crianças conseguiram sentar-se independentemente dentro do prazo classificado como normal pela OMS. Tipicamente, apenas 24% dos pacientes com AME alcançariam esse marco. O medicamento se mostrou eficaz para conseguir que crianças alcancem marcos do desenvolvimento motor.

Ainda é necessário determinar a manutenção desses marcos motores. Alguns especialistas que atendem crianças com AME discutem que talvez seja necessário que pacientes recebam mais de uma dose do Zolgensma ou mesmo que recebam terapias combinadas de medicamentos. Isso representaria um incremento ainda maior de custos.

O debate realizado sobre o assunto no último parecer permanece pertinente. O custo do medicamento é elevadíssimo, ultrapassando limites de custo-eficácia e da razoabilidade do mercado.

5.3. Parecer

() Favorável

(X) Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

O medicamento ultrapassa significativamente metas de custo-eficácia para sua implantação, alcançando benefícios promissores, mas que ainda não podem ser qualificados no longo prazo.

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:

Strauss KA, Farrar MA, Muntoni F, Saito K, Mendell JR, Servais L, McMillan HJ, Finkel RS, Swoboda KJ, Kwon JM, Zaidman CM, Chiriboga CA, Iannaccone ST, Krueger JM, Parsons JA,

Shieh PB, Kavanagh S, Wigderson M, Tauscher-Wisniewski S, McGill BE, Macek TA. Onasemnogene abeparvovec for presymptomatic infants with three copies of SMN2 at risk for spinal muscular atrophy: the Phase III SPR1NT trial. *Nat Med.* 2022 Jul;28(7):1390-1397. doi: 10.1038/s41591-022-01867-3. Epub 2022 Jun 17. PMID: 35715567; PMCID: PMC9205287.

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