

MEDICAMENTOS NUSINERSENA E ECULIZUMABE NO ÂMBITO DA SAÚDE SUPLEMENTAR

21ª Reunião do COSAÚDE

Agosto/2018

Contexto

- Recebimento pela ANS de demandas para esclarecimento quanto à cobertura assistencial obrigatória dos medicamentos Nusinersena (Spiranza[®]) e Eculizumabe (Soliris[®]) no âmbito da Saúde Suplementar;
- Ambos os medicamentos receberam registro na ANVISA em 2017;
- **Nusinersena e Eculizumabe** são medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras e categorizadas como drogas órfãs. Desenvolver esses tratamentos exige altos investimentos em pesquisa e desenvolvimento (P&D), bem como em tecnologia, para um número muito pequeno de pacientes no mundo.

Contexto

- A Portaria GM/MS nº 199, de 30 de janeiro de 2014 (republicada no Diário Oficial da União em 23 de maio de 2014), institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras;
- Projeto de Lei da Câmara nº 56, de 2016 – Aprovado na Comissão Assuntos Sociais (CAS) em 04/07/2018. O projeto institui a Política Nacional para Doenças Raras no Sistema Único de Saúde (SUS), tramitado em regime de urgência para o Plenário.

Nusinersena

- Nusinersena (Spiranza[®]):
 - registrado na ANVISA em 28/08/2017
 - classe terapêutica: “outros medicamentos para transtornos do sistema musculoesquelético”
 - apresentação: solução injetável
 - via de administração: intratecal, com destinação hospitalar/institucional.
- Indicação: Tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q.

Nusinersena

- Conforme bula profissional do medicamento Nusinersena:
 - Posologia: A dose recomendada é de 12 mg (5 ml) por administração. O tratamento com Nusinersena deve ser iniciado o mais cedo possível após o diagnóstico com 4 doses de carga. As três primeiras doses de carga devem ser administradas em intervalos de 14 dias, ou seja, nos dias 0, 14 e 28. A quarta dose de carga deve ser administrada 30 dias após a terceira dose, ou seja, no dia 63. Em seguida, uma dose de manutenção deve ser administrada uma vez a cada 4 meses;

Nusinersena

- A eficácia e segurança de Spiranza® (Nusinersena) foi estabelecida em pacientes pediátricos desde recém-nascidos até 17 anos idade;
- Pacientes com diagnóstico de Atrofia Muscular Espinhal (AME) com os fenótipos clínicos Tipo 0 e Tipo IV não foram incluídos no programa de desenvolvimento de estudos clínicos envolvendo o medicamento Spiranza® (Nusinersena);
- Estão disponíveis informações limitadas sobre a longa duração da eficácia e segurança do SPINRAZA™ (Nusinersena) após 3 anos de início do tratamento de Atrofia Muscular Espinhal (AME). A necessidade de continuação da terapia dever ser revisada regularmente e considerada de forma individual, dependendo das condições clínicas do paciente e da resposta ao tratamento.

- Atrofia Muscular Espinhal – AME

- A atrofia muscular espinhal (AME) é uma doença neurodegenerativa com herança genética autossômica recessiva, com uma incidência de 1:6.000 a 1:10.000 nascimentos (considerando todos os tipos de AME);
- A doença é causada por uma deleção ou mutação homocigótica do gene 1 de sobrevivência do motoneurônio (SMN1), localizado na região telomérica do cromossomo 5q, sendo que o número de cópias de um gene semelhante a ele (SMN2), localizado na região centromérica, é o principal determinante da severidade da doença;
- A classificação clínica da AME é dada pela idade de início e máxima função motora adquirida;
- **AME tipo I:** também denominada AME severa, doença de Werdnig-Hoffmann ou AME aguda, caracteriza-se pelo início precoce (de 0 a 6 meses de idade), pela falta de habilidade de sentar sem apoio e pela curta expectativa de vida. Estima-se que a AME tipo I responda por 60% dos casos de AME, com incidência estimada de 4.1 por 100.000. O prognóstico da AME tipo I é geralmente ruim, com a maioria dos doentes falecendo nos primeiros dois anos de vida devido à insuficiência respiratória;

- Atrofia Muscular Espinhal – AME
 - Por ser uma doença neurodegenerativa progressiva, o paciente acometido pela AME necessita de vários cuidados especiais e acompanhamento por equipe multiprofissional que podem estacionar o progresso da doença e prolongar a vida do mesmo. O tratamento visa atuar sobre os efeitos primários e secundários da fraqueza muscular e deve incluir o manejo de complicações pulmonares, suporte nutricional e gastrointestinal, cuidados ortopédicos, intervenções de reabilitação e cuidados de fim de vida;
 - **Nusinersena** é o primeiro medicamento aprovado para o tratamento da atrofia muscular espinhal.

Eculizumabe

- Eculizumabe (Soliris®):
 - registrado na ANVISA em 13/02/2017
 - anticorpo (IgG2/4κ) monoclonal humanizado, produzido numa linha celular de NS0 por tecnologia de DNA recombinante.
 - O medicamento tem destinação comercial, é apresentado como solução para diluição para infusão e deve ser administrado por via intravenosa.
- Conforme bula profissional registrada na ANVISA, Eculizumabe é indicado em adultos e crianças para o tratamento de pacientes com: **Hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) e Síndrome hemolítico urêmica atípica (SHUa)**.
- O regime posológico na HPN e na SHUa, para pacientes adultos (≥ 18 anos), consiste numa fase inicial de 4 semanas, seguida por uma fase de manutenção (administração a cada 14 dias);

- Hemoglobinúria paroxística noturna - HPN:
 - Hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) é uma anemia hemolítica crônica adquirida rara, de curso clínico extremamente variável. Pode atingir pessoas em qualquer faixa etária, embora seja mais comum entre 40 e 50 anos de idade, afeta igualmente ambos os sexos. Apresenta-se frequentemente com infecções recorrentes, neutropenia e trombocitopenia, e surge em associação com outras doenças hematológicas, especialmente com síndromes de insuficiência medular, como anemia aplásica e síndromes mielodisplásicas. É considerada ainda um tipo de trombofilia adquirida, apresentando-se com trombooses venosas variadas, com especial predileção por trombose de veias hepáticas e intra-abdominais, sua principal causa de mortalidade.

Eculizumabe

- Hemoglobinúria paroxística noturna – HPN (cont.):
 - Sua incidência não é totalmente conhecida, não só pela sua raridade como pela dificuldade diagnóstica que ela impõe. A hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) é uma doença rara com uma prevalência de 1,59 casos por 100.000 pessoas. Cerca de 65% dos pacientes com HPN sobrevivem 10 anos, sendo a trombose o principal fator de risco que afeta a sobrevida.
 - A depender da situação clínica do paciente, o transplante de medula óssea é o tratamento mais indicado e o único que possibilita a cura da doença. Eculizumabe é a primeira droga a demonstrar eficácia no tratamento de HPN.

- Síndrome Hemolítico Urêmica Atípica (SHUa):
 - A Síndrome Hemolítico Urêmica (SHU) é uma rara e grave doença caracterizada por anemia hemolítica, trombocitopenia e insuficiência renal aguda;
 - A SHUa atípica representa 5 -10% da SHU em crianças, mas a maioria dos casos de SHU em adultos. A incidência da SHUa não é conhecida com precisão. Nos EUA a incidência é estimada em 2 por milhão. A SHUa atípica tem prognóstico ruim com até 25% de mortalidade e 50% de progressão para doença renal terminal.

Avaliação por Agências Internacionais de ATS

- Nusinersena:
 - CADTH, Canadá – Recomendação para reembolso para com diretriz de utilização e com condições: redução substancial de preço, monitoramento com coleta de dados de vida real e acompanhamento por especialista em SMA;
 - NICE, Reino Unido - Relatório em elaboração, data provável de publicação: novembro/2018;
 - MSAC, Austrália – Recomendação para não incorporação do medicamento.

Avaliação por Agências Internacionais de ATS

- Eculizumabe:
 - CADTH, Canadá – Não foi encontrado relatório de recomendação;
 - NICE, Reino Unido - Foi encontrada recomendação de uso do Eculizumabe para tratamento da síndrome hemolítico urêmica atípica (SHUa), com condições. Não foi encontrado documento referenciando a utilização do Eculizumabe no tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna (HPN).
 - MSAC, Austrália – O medicamento está listado no PBAC para tratamento da síndrome hemolítico urêmica atípica (SHUa). Não foi encontrado referência a utilização do Eculizumabe no tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna (HPN).

Obrigada!



Disque ANS
0800 701 9656



Central de
Atendimento
www.ans.gov.br



Atendimento pessoal
12 Núcleos da ANS.
Acesse o portal e
confira os endereços.



Atendimento
exclusivo para
deficientes auditivos
0800 021 2105



[ans.reguladora](https://www.facebook.com/ans.reguladora)



[@ANS_reguladora](https://twitter.com/ANS_reguladora)



[ansreguladora oficial](https://www.youtube.com/ansreguladoraoficial)



[company/ans_reguladora](https://www.linkedin.com/company/ans_reguladora)



MINISTÉRIO DA
SAÚDE

GOVERNO
FEDERAL