

## ATUALIZAÇÃO DO ROL DE PROCEDIMENTOS E EVENTOS EM SAÚDE

RESUMO EXECUTIVO		
<b>Ciclo</b>	2019/2020	
<b>Nº UAT</b>	210	
<b>Fonte</b>	FormRol	
<b>Tecnologia em Saúde</b>	Nusinersena	
<b>Indicação de uso</b>	Tratamento de pacientes com Atrofia Muscular Espinhal com deleção ou mutação no gene SMN1 localizado no cromossomo 5q (AME 5q)	
<b>Tipo de Tecnologia em Saúde</b>	Medicamento	
<b>Tipo de PAR*</b>	Incorporação de nova tecnologia em saúde no Rol	
<b>PAR vinculadas</b>		
<b>Nº de protocolo</b>	<b>Unidade</b>	<b>Proponente</b>
43.185.230/0001-85	9705903	ACADEMIA BRASILEIRA DE NEUROLOGIA

Legenda:

PAR – Proposta de Atualização do Rol

UAT – Unidade de Análise Técnica

DUT – Diretriz de Utilização

### CONTEXTO

Trata-se de proposta de atualização do Rol que tem como objeto a incorporação do medicamento Nusinersena para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) 5q.

Conforme o Relatório CONITEC nº 449/2019, Nusinersena para Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q, as Atrofias Musculares Espinhais são um grupo de doenças neuromusculares hereditárias autossômicas recessivas caracterizadas pela degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e tronco encefálico, resultando em fraqueza muscular progressiva. Com um diagnóstico difícil e geralmente determinada por sinais clínicos, a doença é caracterizada por prejudicar os movimentos voluntários mais simples, como sustentar a cabeça, sentar ou andar.

A AME 5q é a forma mais comum entre esse grupo de doenças neuromusculares hereditárias autossômicas recessivas. É uma doença rara. A maioria dos casos (95-98%) ocorre pela deleção homozigótica do gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) que causa uma deficiência da proteína SMN. A proteína SMN está presente em todo o corpo e é fundamental para a função dos neurônios motores que controlam os músculos e outros tecidos corporais. Sem ela, os neurônios motores não conseguem funcionar adequadamente, levando à fraqueza muscular. Nos indivíduos com AME, o gene de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2), que é quase idêntico ao SMN1, funciona como um gene de “backup”, pois também produz proteína SMN, mas de forma muito menos eficiente. O número de cópias do gene SMN2 pode variar de zero a oito e está relacionado à gravidade da doença. A AME 5q pode ser clinicamente subclassificada em duas categorias, de início precoce (AME tipo I) ou tardio (AME tipos II, III e IV).

Nusinersena é o primeiro medicamento para tratamento da doença disponível no País (registro na ANVISA em agosto/2017).

## TECNOLOGIA EM SAÚDE

O medicamento Nusinersena, nome comercial Spinraza<sup>®</sup>, registro ANVISA nº 169930008, tem indicação de uso prevista em bula para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5q (AME). Conforme informações de registro na ANVISA, o medicamento Nusinersena pertence à classe terapêutica “outros medicamentos para transtornos do sistema musculoesquelético”, tem uso restrito a hospitais e apresentação em solução injetável para administração por via intratecal. Conforme bula, Nusinersena é um oligo nucleotídeo anti-senso ou anti-sentido (ASO) que permite a inclusão do exon 7 durante o processamento do ácido ribonucleico mensageiro (RNAm) de SMN2, transcrito a partir do DNA (gene SMN2), levando a produção da proteína funcional relacionada com a sobrevivência do neurônio motor, proteína SMN.

## ANÁLISE TÉCNICA

O medicamento Nusinersena requer administração intratecal e tem uso restrito a hospitais, conforme bula registrada na ANVISA. Por conseguinte, em conformidade com a alínea “d”, inciso II do art. 12 da Lei nº 9.656/1998, o Nusinersena já tem cobertura obrigatória estabelecida no âmbito da saúde suplementar, quando prescrito pelo médico assistente, para administração durante internação hospitalar, para indicação de uso prevista em bula, o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q. O medicamento tem cobertura obrigatória pelos planos novos e antigos adaptados com segmentação hospitalar (com ou sem obstetrícia) e referência.

*“d) cobertura de exames complementares indispensáveis para o controle da evolução da doença e elucidação diagnóstica, fornecimento de medicamentos, anestésicos, gases medicinais, transfusões e sessões de quimioterapia e radioterapia, conforme prescrição do médico assistente, realizados ou ministrados durante o período de internação hospitalar;”*

Para fins de redução da assimetria de informação quanto a cobertura obrigatória do medicamento, Parecer Técnico explicativo já foi disponibilizado em sítio eletrônico da ANS. Disponível em: [http://www.ans.gov.br/images/stories/parecer\\_tecnico/uploads/parecer\\_tecnico/parecer\\_2019\\_01.pdf](http://www.ans.gov.br/images/stories/parecer_tecnico/uploads/parecer_tecnico/parecer_2019_01.pdf).

## PARTICIPAÇÃO SOCIAL

### REUNIÕES TÉCNICAS

Nº: 26

Data: 13/05/2020

URL: <https://www.youtube.com/watch?v=JTOHEkMpao>

Representante do proponente: A Atrofia muscular espinhal (AME) é doença genética rara, de herança autossômica recessiva, neuromuscular. Maior causa genética de mortalidade em crianças de até dois anos de idade. AME é uma doença progressiva e incapacitante, com impacto em sobrevida, especialmente, para o tipo I de AME. Estudos como o ENDEAR, CHERISH, NURTURE e estudos de mundo real apresentam evidências que o medicamento leva a ganhos funcionais, com avanço de marcos motores, bem como redução de risco de morte e ventilação mecânica permanente. Esses ganhos também podem ser observados em pacientes adultos. Trata-se de um medicamento seguro, com perfil de risco-benefício favorável em múltiplas populações com AME. Não se trata de uma discussão sobre a incorporação do medicamento, visto que a cobertura do nusinersena já está estabelecida no âmbito da Saúde Suplementar, conforme Parecer Técnico Nº 01/2019 da ANS. O objeto é a apresentação de uma proposta de diretriz de utilização (DUT) que estabeleça cobertura do nusinersena para pacientes com diagnóstico genético confirmado de AME, para todos os tipos da doença (0 a 4), e alguns critérios de

interrupção. Em relação aos dados econômicos, a razão de custo-efetividade incremental apresentada levou em consideração não somente o ganho de qualidade de vida dos pacientes como também o ganho na qualidade de vida dos cuidadores destes pacientes, reforçando a importância do impacto social gerado na vida da família. O impacto orçamentário apresentado foi estratificado por portes de quantidade de beneficiários das operadoras de planos de saúde, concluindo que embora o medicamento seja caro, como a prevalência na população é baixa a incorporação do nusinersena caberia no orçamento das operadoras.

Representante da UNIMED do Brasil: Apresentou relato da história da análise de incorporação do nusinersena pela CONITEC, que, por fim, com base em evidências científicas, recomendou a incorporação do nusinersena no SUS apenas para a AME tipo I. Visto as incertezas, no âmbito do SUS, para a cobertura dos tipos de AME II e III foi efetuado um acordo de compartilhamento de risco com a Biogen. Principais questões apontadas: as melhores evidências de benefício do tratamento se concentram em lactentes com doença inicial, ainda sem incapacidades; todos os países que incorporaram a nusinersena o fizeram por meio de acordos especiais de acesso e em ambiente controlado com rigor de pesquisa; a incorporação para AME 5q poderá ser insustentável para o saúde suplementar; o custo do medicamento pode ser 134% maior na saúde suplementar do que no SUS. Além disso critica o impacto orçamentário apresentado pelo demandante em relação à população alvo utilizada e também o market share, o que pode tornar o impacto orçamentário ainda maior do que o apresentado. Apresentada sugestão para não incorporação do medicamento ou como proposta alternativa seguir a determinação de cobertura estabelecida pelo PCDT do Ministério da Saúde, apenas para AME tipo I, com negociação de preço com a empresa fabricante do medicamento para, no mínimo, oferecer o mesmo preço e condições oferecidas ao SUS. Não há, atualmente, uma conversa abrangente sobre doenças raras no âmbito da saúde suplementar, é preciso discussão do Ministério da Saúde, para delimitar competências e planejar ações.

Outras considerações:

AMB: A cobertura do medicamento está estabelecida, mas é relevante a preocupação quanto ao financiamento do medicamento no âmbito da saúde suplementar.

Representante de pacientes: Há benefícios objetivos e subjetivos. Ganhos funcionais se traduzem em importante ganho em qualidade de vida.

UNIMED: A avaliação da CONITEC quanto a tecnologia está sendo desconsiderada. O manejo de doenças raras deveria ser uma política de Estado. Cabe questionamento quanto a diferença de cobertura entre o SUS e a saúde suplementar.

## RECOMENDAÇÃO TÉCNICA

### NOTA TÉCNICA DE CONSOLIDAÇÃO DAS PROPOSTAS DE ATUALIZAÇÃO DO ROL

#### RECOMENDAÇÃO PRELIMINAR – RP:

O objeto da proposta de atualização, a incorporação do medicamento Nusinersena como uma nova tecnologia no Rol, não se aplica, uma vez que o medicamento já tem cobertura obrigatória estabelecida no âmbito da Saúde Suplementar. Em conformidade com a alínea “d”, inciso II, do art. 12 da Lei nº 9.656/1998, o medicamento Nusinersena é de cobertura obrigatória quando prescrito pelo médico assistente, para administração durante internação hospitalar, para indicação de uso prevista em bula, o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q. O medicamento tem cobertura obrigatória pelos planos novos e antigos adaptados com segmentação hospitalar (com ou sem obstetrícia) e referência.

## DOCUMENTOS VINCULADOS

Parecer Técnico Nº 01/GEAS/GGRAS/DIPRO/2019. Disponível em:

[http://www.ans.gov.br/images/stories/parecer\\_tecnico/uploads/parecer\\_tecnico/parecer\\_2019\\_01.pdf](http://www.ans.gov.br/images/stories/parecer_tecnico/uploads/parecer_tecnico/parecer_2019_01.pdf)

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde. Relatório de Recomendação nº 449/2019 – CONITEC: Nusinersena para Atrofia Muscular Espinhal 5q. 2019. Disponível em:[http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2019/Relelatorio Nusinersena AME5q 2019.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2019/Relelatorio_Nusinersena_AME5q_2019.pdf) >. Acesso em 19/09/2020.