



**PODER JUDICIÁRIO**  
**TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO**  
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP  
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4  
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2  
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital  
CEP 01415-001  
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

**NOTA TÉCNICA 253/2020-A - NAT-JUS/SP**

**1. Identificação do solicitante**

- 1.1. Solicitante: **MMJD Dr. Leonardo Vietri Alves de Godoi**
- 1.2. Origem: 1ª Vara Federal de Araraquara
- 1.3. Processo nº: 5001929-33.2020.4.03.6120
- 1.4. Data da Solicitação: **09/12/2020**
- 1.5. Data da Resposta: **17/12/2020**

**2. Paciente**

- 2.1. Nome: [REDACTED]
- 2.2. Data de Nascimento/Idade: 04/12/2019 – 11 meses
- 2.3. Sexo: masculino
- 2.4. Cidade/UF: Araraquara - SP
- 2.5. Histórico da doença: paciente é portador de **Atrofia Espinhal tipo I (AME tipo1)** - Segundo relatório médico (ID número 38611818) os "sintomas iniciaram já nas primeiras semanas de vida, hipotonia global e fraqueza bulbar. Recebeu diagnóstico molecular em 08/04/20, confirmando a deleção homozigótica do gene SMN1, com a presença de 2 cópias de SMN2. Faz acompanhamento com equipe multidisciplinar, com equipe de reabilitação."

**3. Resposta aos questionamentos do Magistrado**

**5.1 Tratando-se a doença AME neurodegenerativa, qual dano a parte autora poderá sofrer caso não tenha o tratamento adequado?**

Crianças com AME tipo 1 apresentam paralisia flácida simétrica e grave com incapacidade de sustentação do tronco e cabeça; dificuldade para chorar e sugar; fasciculações da língua; dificuldade para respirar progressiva;



**PODER JUDICIÁRIO**  
**TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO**  
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP  
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4  
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2  
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital  
CEP 01415-001  
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

deformidade progressiva da caixa torácica e dos membros devido à paralisia da musculatura. Essas crianças requisitam suporte nutricional com sondas e gastrostomia, além de suporte ventilatório com o uso de ventilação mecânica e aspiração de líquidos e resíduos presentes na faringe. Algumas crianças apresentam uma sobrevida mais longa, mas espera-se que a maioria faleça até os dois anos de idade por complicações respiratórias.

A medicação nusinersena (Spinraza®) foi capaz de melhorar atividades motoras dessas crianças, tais como sustentação da cabeça, rolar, engatinhar, ficar em pé e andar. Além disso, a medicação mostrou benefício para a redução da taxa de permanência na ventilação mecânica ou óbito. Essa medicação foi aprovada na Anvisa e teve parecer favorável ao seu uso emitido pela COMISSÃO NACIONAL DE INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS NO SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE (CONITEC). O paciente já está recebendo esta medicação.

Em qualquer doença, o atendimento médico pauta-se na probabilidade de determinados eventos ocorrerem, assim como na probabilidade de um determinado tratamento instituído dar certo. Sendo assim, é possível que o paciente em questão apresente a melhor resposta esperada com a medicação instituída no momento, mas também é possível que o resultado não seja tão bom assim.

O paciente em questão possui 2 cópias do gene SMN2. Espera-se que o prognóstico de pacientes com AME tipo 1 seja mais favorável quando há mais de 2 cópias do gene SMN2. Ele já recebe a medicação Spinraza®, a qual apresentou benefícios no manejo desses pacientes. Apesar disso, caso se considere o pior cenário de evolução clínica, a criança necessitaria de ventilação mecânica e teria importante déficit motor, evoluindo ao óbito, provavelmente decorrente de complicações respiratórias, nos seus primeiros anos de vida.

1. Thomas NH, Dubowitz V. The natural history of type I (severe) spinal muscular atrophy. Neuromuscul Disord. 1994 Sep-Nov;4(5-6):497-502. doi: 10.1016/0960-8966(94)90090-6. PMID: 7881295.



**PODER JUDICIÁRIO**  
**TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO**  
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP  
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4  
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2  
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital  
CEP 01415-001  
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

2. Kolb SJ, Coffey CS, Yankey JW, Krossschell K, Arnold WD, Rutkove SB, Swoboda KJ, Reyna SP, Sakonju A, Darras BT, Shell R, Kuntz N, Castro D, Parsons J, Connolly AM, Chiriboga CA, McDonald C, Burnette WB, Werner K, Thangarajh M, Shieh PB, Finanger E, Cudkowicz ME, McGovern MM, McNeil DE, Finkel R, Iannaccone ST, Kaye E, Kingsley A, Renssch SR, McGovern VL, Wang X, Zaworski PG, Prior TW, Burghes AHM, Bartlett A, Kissel JT; NeuroNEXT Clinical Trial Network on behalf of the NN101 SMA Biomarker Investigators. Natural history of infantile-onset spinal muscular atrophy. *Ann Neurol*. 2017 Dec;82(6):883-891. doi: 10.1002/ana.25101. Epub 2017 Dec 8. PMID: 29149772; PMCID: PMC5776712.
3. Oskoui M, Levy G, Garland CJ, Gray JM, O'Hagen J, De Vivo DC, Kaufmann P. The changing natural history of spinal muscular atrophy type 1. *Neurology*. 2007 Nov 13;69(20):1931-6. doi: 10.1212/01.wnl.0000290830.40544.b9. PMID: 17998484.
4. Chung BH, Wong VC, Ip P. Spinal muscular atrophy: survival pattern and functional status. *Pediatrics*. 2004 Nov;114(5):e548-53. doi: 10.1542/peds.2004-0668. Epub 2004 Oct 18. PMID: 15492357.
5. Finkel RS, Mercuri E, Darras BT, Connolly AM, Kuntz NL, Kirschner J, Chiriboga CA, Saito K, Servais L, Tizzano E, Topaloglu H, Tulinius M, Montes J, Glanzman AM, Bishop K, Zhong ZJ, Gheuens S, Bennett CF, Schneider E, Farwell W, De Vivo DC; ENDEAR Study Group. Nusinersen versus Sham Control in Infantile-Onset Spinal Muscular Atrophy. *N Engl J Med*. 2017 Nov 2;377(18):1723-1732. doi: 10.1056/NEJMoa1702752. PMID: 29091570.
6. Mercuri E, Darras BT, Chiriboga CA, Day JW, Campbell C, Connolly AM, Iannaccone ST, Kirschner J, Kuntz NL, Saito K, Shieh PB, Tulinius M, Mazzone ES, Montes J, Bishop KM, Yang Q, Foster R, Gheuens S, Bennett CF, Farwell W, Schneider E, De Vivo DC, Finkel RS; CHERISH Study Group. Nusinersen versus Sham Control in Later-Onset Spinal Muscular Atrophy. *N Engl J Med*. 2018 Feb 15;378(7):625-635. doi: 10.1056/NEJMoa1710504. PMID: 29443664.
7. [http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2019/Relelatorio\\_Nusine\\_rsen\\_a\\_AME5q\\_CP\\_12\\_2019.pdf](http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2019/Relelatorio_Nusine_rsen_a_AME5q_CP_12_2019.pdf)

## **5.2 Qual o perfil de toxicidade apresentada pelo medicamento Zolgensma?**

De acordo com a pouca evidência disponível, constata-se que a o evento adverso mais comum é a elevação de marcadores de lesão hepatocelular, indicando lesão ao fígado (27,3%) e vômitos (6,8%).



**PODER JUDICIÁRIO**  
**TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO**  
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP  
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4  
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2  
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital  
CEP 01415-001  
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

Eventos mais graves reportados incluem risco de lesão hepática grave e hepatite fulminante (insuficiência hepática aguda), trombocitopenia (queda de plaquetas com maior susceptibilidade a sangramentos) e elevação da troponina, um marcador de lesão miocárdica.

1. <https://www.fda.gov/media/126109/download#page=6&zoom=100,93,96>
2. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/zolgensma-epar-public-assessment-report\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/zolgensma-epar-public-assessment-report_en.pdf)
3. Mendell JR, Al-Zaidy S, Shell R, Arnold WD, Rodino-Klapac LR, Prior TW, Lowes L, Alfano L, Berry K, Church K, Kissel JT, Nagendran S, L'Italien J, Sproule DM, Wells C, Cardenas JA, Heitzer MD, Kaspar A, Corcoran S, Braun L, Likhite S, Miranda C, Meyer K, Foust KD, Burghes AHM, Kaspar BK. Single-Dose Gene-Replacement Therapy for Spinal Muscular Atrophy. N Engl J Med. 2017 Nov 2;377(18):1713-1722. doi: 10.1056/NEJMoa1706198. PMID: 29091557.

### **5.3 O medicamento Zolgensma é necessário à manutenção/recuperação da saúde da parte autora?**

O medicamento Zolgensma® é uma das opções atualmente disponíveis para o tratamento de crianças com AME tipo 1. Não há evidências suficientes que permitam afirmar que o tratamento é definitivamente necessário e/ou essencial.

Devido às particularidades da doença, do mecanismo de ação da droga e do seu custo, foi estabelecido um termo de compromisso com a empresa produtora (Novartis), assegurando “a realização de estudos complementares de acompanhamento de pacientes brasileiros, de forma a acompanhar o perfil de segurança e de eficácia do produto no país em longo prazo, na perspectiva da avaliação da manutenção do balanço benefício x risco positivo, como atestado no registro” (retirado do site da Anvisa). A execução desse termo de compromisso permitiria melhor compreender a relevância da medicação.

1. <https://studysmanow.com/>



**PODER JUDICIÁRIO**  
**TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO**  
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP  
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4  
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2  
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 – Consolação – São Paulo – Capital  
CEP 01415-001  
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

2. [http://antigo.anvisa.gov.br/resultado-de-busca?p\\_p\\_id=101&p\\_p\\_lifecycle=0&p\\_p\\_state=maximized&p\\_p\\_mode=view&p\\_p\\_col\\_id=column-1&p\\_p\\_col\\_count=1&101\\_struts\\_action=%2Fasset\\_publisher%2Fview\\_content%2F101\\_assetEntryId=5989035&101\\_type=content&101\\_groupId=219201&101\\_urlTitle=aprovado-registro-de-produto-de-terapia-genica&inheritRedirect=true](http://antigo.anvisa.gov.br/resultado-de-busca?p_p_id=101&p_p_lifecycle=0&p_p_state=maximized&p_p_mode=view&p_p_col_id=column-1&p_p_col_count=1&101_struts_action=%2Fasset_publisher%2Fview_content%2F101_assetEntryId=5989035&101_type=content&101_groupId=219201&101_urlTitle=aprovado-registro-de-produto-de-terapia-genica&inheritRedirect=true)
3. <https://agenciabrasil.ebc.com.br/saude/noticia/2020-08/anvisa-autoriza-registro-do-medicamento-mais-carro-do-mundo>

**5.4. No programa nacional de medicamentos há equivalentes, que tenham a mesma eficácia dos medicamentos prescritos à parte autora para a manutenção/recuperação da sua saúde?**

O medicamento nusinersena (Spinraza®) foi estabelecido como eficaz para o tratamento de pacientes com AME tipo 1 e teve parecer favorável emitido pela CONITEC, sendo então adotado em âmbito nacional.

Dois medicamentos são considerados equivalentes farmacêuticos quando ambos possuem o mesmo fármaco. O medicamento nusinersena (Spinraza®) não é um equivalente farmacêutico do medicamento onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®). Porém, ambos são opções de medicamentos desenvolvidos para o tratamento de pacientes com AME tipo 1. Ainda é incipiente a evidência comparativa entre os dois medicamentos em questão.

Não foram encontrados estudos que tenham comparado diretamente as duas medicações, de maneira que se possa avaliar uma superioridade ou uma não-inferioridade. Existe apenas um estudo que compara dados de diferentes trabalhos para tentar esboçar uma discussão nesse sentido. Apesar disso, sua qualidade é muito baixa porque os trabalhos tinham perfis muito distintos de desenho científico e estatístico, incluindo pacientes com diferentes tempos da doença.

1. [http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2019/Relelatorio\\_Nusine\\_rsen\\_a\\_ME5q\\_CP\\_12\\_2019.pdf](http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2019/Relelatorio_Nusine_rsen_a_ME5q_CP_12_2019.pdf)
2. [https://www.cff.org.br/userfiles/file/resolucao\\_sanitaria/135.pdf](https://www.cff.org.br/userfiles/file/resolucao_sanitaria/135.pdf)



**PODER JUDICIÁRIO**  
**TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO**  
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP  
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4  
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2  
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital  
CEP 01415-001  
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

3. Dabbous O, Maru B, Jansen JP, Lorenzi M, Cloutier M, Guérin A, Pivneva I, Wu EQ, Arjunji R, Feltner D, Sproule DM. Survival, Motor Function, and Motor Milestones: Comparison of AVXS-101 Relative to Nusinersen for the Treatment of Infants with Spinal Muscular Atrophy Type 1. *Adv Ther.* 2019 May;36(5):1164-1176. doi: 10.1007/s12325-019-00923-8. Epub 2019 Mar 16. PMID: 30879249; PMCID: PMC6824368.
4. Sandrock AW, Farwell W. Comparisons Between Separately Conducted Clinical Trials: Letter to the Editor Regarding Dabbous O, Maru B, Jansen JP, Lorenzi M, Cloutier M, Guérin A, et al. *Adv Ther* (2019) 36(5):1164-76. doi:10.1007/s12325-019-00923-8. *Adv Ther.* 2019 Nov;36(11):2979-2981. doi: 10.1007/s12325-019-01087-1. Epub 2019 Sep 11. PMID: 31512142; PMCID: PMC6822795.

**5.5 Há evidências científicas de que o medicamento Zolgensma® pode melhorar a sobrevivência da parte autora, reduzir a necessidade de ventilação permanente para respirar e alcançar marcos de desenvolvimento motores, comparativamente ao nusinersena (Spiranza®)?**

Existem estudos, ainda que pequenos e limitados e que não incluem a população brasileira, indicando que o Zolgensma aparenta ser eficaz para melhorar os desfechos de crianças com AME tipo 1 quando comparado ao curso natural da doença com medidas habituais de suporte de vida. Esses estudos ainda não permitem avaliações no longo prazo porque a droga foi desenvolvida recentemente. Não existe comparação direta entre o Zolgensma e o Spinraza, conforme informado no item 5.4.

1. Mendell JR, Al-Zaidy S, Shell R, Arnold WD, Rodino-Klapac LR, Prior TW, Lowes L, Alfano L, Berry K, Church K, Kissel JT, Nagendran S, L'Italien J, Sproule DM, Wells C, Cardenas JA, Heitzer MD, Kaspar A, Corcoran S, Braun L, Likhite S, Miranda C, Meyer K, Foust KD, Burghes AHM, Kaspar BK. Single-Dose Gene-Replacement Therapy for Spinal Muscular Atrophy. *N Engl J Med.* 2017 Nov 2;377(18):1713-1722. doi: 10.1056/NEJMoa1706198. PMID: 29091557.
2. Al-Zaidy SA, Kolb SJ, Lowes L, Alfano LN, Shell R, Church KR, Nagendran S, Sproule DM, Feltner DE, Wells C, Ogrinc F, Menier M, L'Italien J,



**PODER JUDICIÁRIO**  
**TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO**  
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP  
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4  
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2  
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital  
CEP 01415-001  
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

Arnold WD, Kissel JT, Kaspar BK, Mendell JR. AVXS-101 (Onasemnogene Abeparvovec) for SMA1: Comparative Study with a Prospective Natural History Cohort. J Neuromuscul Dis. 2019;6(3):307-317. doi: 10.3233/JND-190403. PMID: 31381526.

3. Lowes LP, Alfano LN, Arnold WD, Shell R, Prior TW, McColly M, Lehman KJ, Church K, Sproule DM, Nagendran S, Menier M, Feltner DE, Wells C, Kissel JT, Al-Zaidy S, Mendell J. Impact of Age and Motor Function in a Phase 1/2A Study of Infants With SMA Type 1 Receiving Single-Dose Gene Replacement Therapy. Pediatr Neurol. 2019 Sep;98:39-45. doi: 10.1016/j.pediatrneurol.2019.05.005. Epub 2019 May 13. PMID: 31277975.

4. Kolb SJ, Coffey CS, Yankey JW, Krosschell K, Arnold WD, Rutkove SB, Swoboda KJ, Reyna SP, Sakonju A, Darras BT, Shell R, Kuntz N, Castro D, Parsons J, Connolly AM, Chiriboga CA, McDonald C, Burnette WB, Werner K, Thangarajh M, Shieh PB, Finanger E, Cudkowicz ME, McGovern MM, McNeil DE, Finkel R, Iannaccone ST, Kaye E, Kingsley A, Renssch SR, McGovern VL, Wang X, Zaworski PG, Prior TW, Burghes AHM, Bartlett A, Kissel JT; NeuroNEXT Clinical Trial Network on behalf of the NN101 SMA Biomarker Investigators. Natural history of infantile-onset spinal muscular atrophy. Ann Neurol. 2017 Dec;82(6):883-891. doi: 10.1002/ana.25101. Epub 2017 Dec 8. PMID: 29149772; PMCID: PMC5776712.

**5.6 Em face dos documentos anexados, a parte autora se enquadra nos critérios determinados na bula do medicamento Zolgensma®?**

A parte autora apresentou laudo com o diagnóstico de AME tipo 1, além de exame genético no qual consta a deleção do gene SMN1 e a presença de 2 cópias do gene SMN2.

Pacientes nos estudos envolvendo Zolgensma® apresentavam apenas 2 cópias do gene SMN2. Esses pacientes foram selecionados para os estudos porque a menor quantidade de cópias do gene SMN2 se correlaciona com maior gravidade clínica de pacientes com AME tipo 1, incluindo dados sobre ventilação mecânica e óbito.

A bula do medicamento cita que ele seria indicado para pacientes com até 3 cópias do gene SMN2. A bula cita 3 ensaios clínicos como referência bibliográfica.



**PODER JUDICIÁRIO**  
**TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO**  
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP  
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4  
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2  
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital  
CEP 01415-001  
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

O estudo registrado como NCT03306277 e conhecido como STR1VE incluiu pacientes com 1 ou 2 cópias do gene SMN2. Esse estudo ainda não foi publicado, mas teve o relato de análises interinas publicadas por Day JW e colaboradores no *Neurology*. Ele recrutou 22 pacientes.

O estudo registrado como NCT02122952 foi publicado por Mendell JR e colaboradores no *New England Journal of Medicine* (NEJM). Ele incluiu pacientes com 2 cópias do gene SMN2. Participaram deste estudo 15 pacientes, sendo que 3 deles receberam uma dose menor da medicação e 12 deles receberam uma dose maior. A dose recomendada em bula do Zolgensma® é de  $1,1 \times 10^{14}$  gv/Kg. A dose menor do estudo foi de  $0,67 \times 10^{14}$  gv/Kg e a dose maior do estudo foi de  $2 \times 10^{14}$  gv/Kg. O desfecho primário desse estudo foi a determinação da segurança do medicamento em questão e a ocorrência de eventos adversos, mas também foram observadas as evoluções clínicas de cada paciente. Esses pacientes foram observados até próximo dos 20 meses de idade. Dados desses pacientes em comparação com séries históricas de outras publicações permitiram concluir que eles tiveram benefício com o uso do medicamento porque não houve nenhum óbito e a maioria dessas crianças conseguiu alcançar alguns marcos de desenvolvimento motor. Onze pacientes conseguiram sustentar a cabeça, 11 conseguiram desenvolver algum grau da fala, 9 conseguiram rolar e 2 conseguiram engatinhar, levantar e caminhar. Além disso, 5 pacientes permaneceram sem precisar de ventilação mecânica quando o estudo terminou.

O estudo registrado como NCT03505099 e conhecido como SPR1NT incluiu pacientes com 2 ou 3 cópias do gene SMN2. Esse estudo prevê o recrutamento de 30 pacientes. Esse estudo ainda não foi publicado, mas teve o relato de análises interinas publicadas por Strauss KA e colaboradores no *Neurology*. Esse estudo ainda está em andamento e tem seus dados apenas citados na bula da medicação, mas não foram expostos para análise científica mais ampla.



**PODER JUDICIÁRIO**  
**TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO**  
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP  
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4  
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2  
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital  
CEP 01415-001  
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

1. <https://studysmanow.com/>
2. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03306277>
3. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02122952>
4. <https://www.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03505099>
5. Mendell JR, Al-Zaidy S, Shell R, Arnold WD, Rodino-Klapac LR, Prior TW, Lowes L, Alfano L, Berry K, Church K, Kissel JT, Nagendran S, L'Italien J, Sproule DM, Wells C, Cardenas JA, Heitzer MD, Kaspar A, Corcoran S, Braun L, Likhite S, Miranda C, Meyer K, Foust KD, Burghes AHM, Kaspar BK. Single-Dose Gene-Replacement Therapy for Spinal Muscular Atrophy. *N Engl J Med*. 2017 Nov 2;377(18):1713-1722. doi: 10.1056/NEJMoa1706198. PMID: 29091557.
6. [https://n.neurology.org/content/94/15\\_Supplement/1828](https://n.neurology.org/content/94/15_Supplement/1828)
7. [https://n.neurology.org/content/92/15\\_Supplement/P1.6-058](https://n.neurology.org/content/92/15_Supplement/P1.6-058)
8. [https://n.neurology.org/content/94/15\\_Supplement/2384](https://n.neurology.org/content/94/15_Supplement/2384)
9. Al-Zaidy SA, Kolb SJ, Lowes L, Alfano LN, Shell R, Church KR, Nagendran S, Sproule DM, Feltner DE, Wells C, Ogrinc F, Menier M, L'Italien J, Arnold WD, Kissel JT, Kaspar BK, Mendell JR. AVXS-101 (Onasemnogene Apeparvovec) for SMA1: Comparative Study with a Prospective Natural History Cohort. *J Neuromuscul Dis*. 2019;6(3):307-317. doi: 10.3233/JND-190403. PMID: 31381526.
10. Lowes LP, Alfano LN, Arnold WD, Shell R, Prior TW, McColly M, Lehman KJ, Church K, Sproule DM, Nagendran S, Menier M, Feltner DE, Wells C, Kissel JT, Al-Zaidy S, Mendell J. Impact of Age and Motor Function in a Phase 1/2A Study of Infants With SMA Type 1 Receiving Single-Dose Gene Replacement Therapy. *Pediatr Neurol*. 2019 Sep;98:39-45. doi: 10.1016/j.pediatrneurol.2019.05.005. Epub 2019 May 13. PMID: 31277975.
11. Kolb SJ, Coffey CS, Yankey JW, Krosschell K, Arnold WD, Rutkove SB, Swoboda KJ, Reyna SP, Sakonju A, Darras BT, Shell R, Kuntz N, Castro D, Parsons J, Connolly AM, Chiriboga CA, McDonald C, Burnette WB, Werner K, Thangarajh M, Shieh PB, Finanger E, Cudkovic ME, McGovern MM, McNeil DE, Finkel R, Iannaccone ST, Kaye E, Kingsley A, Renusch SR, McGovern VL, Wang X, Zaworski PG, Prior TW, Burghes AHM, Bartlett A, Kissel JT; NeuroNEXT Clinical Trial Network on behalf of the NN101 SMA Biomarker Investigators. Natural history of infantile-onset spinal muscular atrophy. *Ann Neurol*. 2017 Dec;82(6):883-891. doi: 10.1002/ana.25101. Epub 2017 Dec 8. PMID: 29149772; PMCID: PMC5776712.

**5.7 Há elementos técnicos para sustentar a indicação do medicamento Zolgensma em substituição do nusinersena (Spiranza)?**



**PODER JUDICIÁRIO**  
**TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO**  
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP  
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4  
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2  
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital  
CEP 01415-001  
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

Não há elementos técnicos que permitam assegurar o benefício da medicação em questão fora do contexto de pesquisas científicas, quando comparado com aquele oferecido pelo SUS após debate prévio na CONITEC.

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

**Equipe NAT-Jus/SP**