



**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 172/2020 - NAT-JUS/SP**

### **1. Identificação do solicitante**

- 1.1. Solicitante: **MMJD. Dr. Djalma Moreira Gomes**
- 1.2. Origem: 25ª Vara Cível Federal de São Paulo
- 1.3. Processo nº: 5016187-11.2020.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: **08/10/2020**
- 1.5. Data da Resposta: **16/10/2020**

### **2. Paciente**

- 2.1. Nome: [REDACTED]
  - 2.2. Data de Nascimento/Idade: 16/12/2016 – 3 anos
  - 2.3. Sexo: masculino
  - 2.4. Cidade/UF: São Paulo - SP
  - 2.5. Histórico da doença: Foi diagnosticado com **atrofia muscular espinhal (AME)** em 11/04/2017
- Solicita **Spiranza®**

### **3. Quesitos formulados pelo Magistrado**

3.1. O medicamento solicitado SPIRANZA é o fármaco normalmente utilizado no tratamento da doença de que padece o autor? Há quanto tempo ele foi incorporado à terapêutica da doença do autor?

**Sim. Aprovado pela ANVISA em dez/2018, incorporado ao RENAME em 2019.**

3.2. O medicamento solicitado SPIRANZA é substituível por outro ou outros fornecidos pelo SUS, com eficiência equivalente?

**Não**



**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

3.3. Havendo outros medicamentos fornecidos pelo SUS com eficiência semelhante, quais as eventuais consequências negativas à saúde da autora em razão do uso do medicamento intercambiável, que poderiam ser evitadas pelo uso do pretendido?

**Não há medicação com eficácia semelhante**

3.4 A doença de que padece o autor é considerada doença rara? Se positiva a resposta, qual a política de saúde que é adotada pelo SUS para seu enfrentamento.

**Sim. Há programas de inclusão de pacientes do Ministério da Saúde para compartilhamento de risco**

#### **4. Descrição da Tecnologia**

4.1. Tipo da tecnologia: **medicamento - Spinraza**

4.2. Princípio Ativo: **Nusinersena**

4.3. Registro na ANVISA: 1699300080010

4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: sim. Apenas para o tipo I.

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

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

4.7. Custo da tecnologia:

4.7.1. Denominação genérica: Nusinersena

4.7.2. Laboratório: Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda

4.7.3. Marca comercial: Spinraza

4.7.3. Apresentação: 2.4 mg/ml sol inj ct fa vd trans x 5 ml

4.7.4. Preço máximo de venda ao Governo: R\$ 329.587,52

4.7.5. Preço máximo de venda ao Consumidor: R\$ 412.448,41

4.8. Tratamento mensal:

4.8.1: Dose diária recomendada:

4.8.2: Custo mensal - preço máximo de venda ao Governo:



**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

4.8.3. Custo mensal - preço máximo de venda ao Consumidor:

**4.9. Fonte do custo da tecnologia:** Lista de preços de medicamentos da ANVISA. Referência Outubro/2020. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/capa-listas-de-precos>

**4.10. Recomendações da CONITEC:**

PCDT (Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas) de outubro/2019, nº 492, recomenda o uso da medicação para o subtipo I, e para os subtipos II e III condicionados a inclusão em protocolo terapêutico.

**5. Discussão e Conclusão**

**5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:**

A atrofia muscular espinhal (AME) é uma doença neurodegenerativa rara com herança genética autossômica recessiva, causada por uma deleção ou mutação homozigótica do gene 1 de sobrevivência do motoneurônio (SMN<sub>1</sub>). A AME tipo II tem manifestação por volta dos 6 a 18 meses de vida, mas pode se manifestar mais precocemente. Os pacientes não adquirem a habilidade de andar independentemente. Esses pacientes podem ter dificuldades para tossir e limpar secreções provenientes da traqueia, ter tremores finos (chamados de miofasciculações) e ser acometidos por escoliose e contraturas ao longo dos anos. A expectativa de vida gira em torno de 10 a 40 anos.<sup>1</sup>

Sobre as terapêuticas necessárias: todos os pacientes necessitam de seguimento multiprofissional incluindo fisioterapia respiratória, cuidados ortopédicos, terapia ocupacional, nutrição. A classe dos oligonucleotídeos antissentido, dentre os quais faz parte o nusinersena, é uma das novas alternativas terapêuticas e tem o RNAm como alvo principal. O nusinersena é indicado para uso intratecal por punção lombar. Nas três primeiras doses são administrados 12 mg de por via intratecal a cada 14 dias (nos dias 0, 14 e 28). A quarta dose deve ser administrada 30 dias após a terceira, desde que a criança tenha condições clínicas de receber o medicamento, a critério médico. Na fase



**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

de manutenção: 12 mg de nusinersena administrado por via intratecal a cada quatro meses.

Uma Revisão sistemática recente da Cochrane analisou as terapêuticas farmacológicas disponíveis para a AME dos tipos II e III. Com moderada força de evidência **não** houve benefício clínico de melhora da força muscular com o uso de creatina, ácido valpróico e carnitina, comparados a placebo. Com baixa força de evidência **não** houve benefício clínico de melhora da força muscular com o uso de gabapentina, hidroxiureia, ácido valproico, comparados a placebo. Nesta revisão, o uso de nusinersena demonstrou melhora da função motora em pacientes com AME tipo II. <sup>(2)</sup>

## **5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:**

Não há outras medicações oferecidas pelo SUS com potencial terapêutico semelhante. Alguns novos ensaios clínicos demonstraram melhora da função motora com o uso da medicação nusinersena em pacientes com AME de início tardio. O ganho motor foi avaliado pela escala HFMSE, sendo maior no grupo nusinersena quando comparado ao controle<sup>(3,4,5)</sup>. Outro recente estudo de coorte demonstrou melhora da função motora com bom perfil de segurança na AME de início tardio<sup>(6)</sup>. Outro estudo observacional prospectivo nesta população demonstrou melhora na performance do teste de caminhada de 6 minutos, fluxo expiratório, porém sem melhora nas outras medidas funcionais<sup>(7)</sup>.

A Revisão da CONITEC feita em agosto de 2019, demonstra a escassez de estudos avaliando as outras formas de AME, não sendo possível concluir sobre o seu real benefício. Dessa forma, foram excluídos da indicação de nusinersena pela CONITEC pacientes com sinais ou sintomas de AME 5q compatíveis com os subtipos 2, 3 ou 4<sup>(8)</sup>. As orientações oferecidas para estes pacientes do segundo grupo são: "Assim, o paciente ou os pais devem entrar em contato com a Ouvidoria do SUS, pelo telefone 136, a partir de 4 de novembro (de 2019), e informar dados pessoais, cidade em que mora e prescrição médica para uso do Spinraza. Na sequência, cada paciente cadastrado será orientado,



**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

por telefone, pelo Ministério da Saúde sobre qual Serviço de Referência deve procurar. Os pacientes serão acompanhados por profissionais dos Serviços de Referência e a avaliação dos dados será realizada pelo Hospital Albert Einstein, por meio do PROADI-SUS, por 3 anos, para medir resultados e a melhora do paciente.\* (9,10, 11 links)

### 5.3. Conclusão Justificada:

**Desfavorável.** O paciente não se encontra nos critérios de inclusão baseados nas evidências científicas

### 5.4. Referências bibliográficas:

1. Baioni, M. T., & Ambiel, C. R. (2010). Atrofia muscular espinhal: diagnóstico, tratamento e perspectivas futuras. *Jornal de Pediatria*, 86(4), 261-270.
2. Wadman RI, van der Pol WL, Bosboom WM, Asselman FL, van den Berg LH, Iannaccone ST, Vrancken AF. Drug treatment for spinal muscular atrophy types II and III. *Cochrane Database Syst Rev*. 2020 Jan 6;1(1):CD006282.
3. 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.
4. 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.
5. Darras BT, Chiriboga CA, Iannaccone ST, Swoboda KJ, Montes J, Mignon L, Xia S, Bennett CF, Bishop KM, Shefner JM, Green AM, Sun P, Bhan I, Gheuens S, Schneider E, Farwell W, De Vivo DC; ISIS-396443-CS2/ISIS-396443-CS12



**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

Study Groups. Nusinersen in later-onset spinal muscular atrophy: Long-term results from the phase 1/2 studies. *Neurology*. 2019 May 21;92(21):e2492-e2506.

6. Hagenacker T, Wurster CD, Günther R, Schreiber-Katz O, Osmanovic A, Petri S, Weiler M, Ziegler A, Kuttler J, Koch JC, Schneider I, Wunderlich G, Schloss N, Lehmann HC, Cordts I, Deschauer M, Lingor P, Kamm C, Stolte B, Pietruck L, Totzeck A, Kizina K, Mönninghoff C, von Velsen O, Ose C, Reichmann H, Forsting M, Pechmann A, Kirschner J, Ludolph AC, Hermann A, Kleinschnitz C. Nusinersen in adults with 5q spinal muscular atrophy: a non-interventional, multicentre, observational cohort study. *Lancet Neurol*. 2020 Apr;19(4):317-325.

7. Walter MC, Wenninger S, Thiele S, Stauber J, Hiebeler M, Greckl E, Stahl K, Pechmann A, Lochmüller H, Kirschner J, Schoser B. Safety and Treatment Effects of Nusinersen in Longstanding Adult 5q-SMA Type 3 - A Prospective Observational Study. *J Neuromuscul Dis*. 2019;6(4):453-465

8. CONITEC PROTOCOLO CLÍNICO E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS DA ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL 5q TIPO 1. Ago 2019 Ministério da Saúde.

9. <https://portalarquivos2.saude.gov.br/images/jpg/2019/outubro/30/spinraza--II.jpg>

10. <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/noticias/quem-tem-ame-agora-tem-spinraza>

11. <https://www.gov.br/pt-br/noticias/saude-e-vigilancia-sanitaria/2019/10/pacientes-com-atrofia-muscular-espinhal-ame-contam-agora-com-novo-medicamento-1>

12. CONITEC. Monitoramento do Horizonte Tecnológico. Medicamentos em desenvolvimento para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME). Agosto 2020. Disponível em: [http://conitec.gov.br/images/Artigos\\_Publicacoes/20200904\\_informe\\_AME.pdf](http://conitec.gov.br/images/Artigos_Publicacoes/20200904_informe_AME.pdf)

### 5.5. Outras Informações:

Acesso ao site do ministério da Saúde, em matéria datada de 31 de outubro de 2019, pacientes com AME tipo I receberão pelo SUS a medicação e, pacientes com AME tipo II e III poderiam receber a medicação via SUS em modalidade de compartilhamento de risco. Orientações oferecidas para estes pacientes do segundo grupo são: "Assim, o paciente ou os pais devem entrar em contato com a Ouvidoria do SUS, pelo telefone 136, a partir de 4 de novembro, e informar



**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

dados pessoais, cidade em que mora e prescrição médica para uso do Spinraza. Na sequência, cada paciente cadastrado será orientado, por telefone, pelo Ministério da Saúde sobre qual Serviço de Referência deve procurar. Os pacientes serão acompanhados por profissionais dos Serviços de Referência e a avaliação dos dados será realizada pelo Hospital Albert Einstein, por meio do PROADI-SUS, por 3 anos, para medir resultados e a melhora do paciente.” (9,10, 11 links)

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

**Equipe NAT-Jus/SP**