



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

RESPOSTA TÉCNICA NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: **1ª Vara Federal de Barretos - 38ª Subseção Judiciária de Barretos/SP**
- 1.3. Processo nº e senha: **5000955-73.2019.4.03.6138**
- 1.4. Data da Solicitação: **20/12/2019**
- 1.5. Data da Resposta: **09/01/2020**

2. Paciente

- 2.1. Nome: [REDACTED]
- 2.2. Data de Nascimento/Idade: 24/02/1952 – 67 anos
- 2.3. Sexo - feminino
- 2.4. Cidade/UF: Colina - SP
- 2.5. Histórico da doença:

Paciente com diagnóstico geneticamente confirmado de **Amiotrofia Muscular Espinhal (AME) 5q tipo III (G12.1)** por ter deleção em homozigose do éxon 7 do gene SMN1 e cópias do gene SMN2. Paciente com sintomas nos primeiro anos de vida, mas manteve a marcha até 2015, com 63 anos de idade. Atualmente, com 67 anos de idade, usa cadeira de roda, mas consegue ficar em pé com apoio e andar com duplo apoio.

3. Quesitos formulados pelo Magistrado

Solicito parecer técnico visando esclarecer?

1. a imprescindibilidade ou necessidade do medicamento Nusinersena para tratamento da patologia que acomete a parte autora;



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. a ineficácia de outros fármacos fornecidos pelo SUS para o tratamento da autora.

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: Medicamento

4.2. Princípio Ativo: **Nusinersena** (SPINRAZA)

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

O medicamento nusinersena é o **único medicamento aprovado para uso em pacientes acima de dois anos de idade com atrofia muscular espinal**.

A atrofia muscular espinal é uma doença que leva a perda progressiva de neurônios motores com um quadro clínico caracterizado por fraqueza muscular e deformidades. Apresenta as formas 0, 1, 2, 3 e 4; sendo a forma 0 a mais grave, quando os sintomas se iniciam antes do nascimento, até a forma 4, a mais leve, em adultos geralmente. A paciente em questão apresenta a forma 2.

A Comissão Nacional de incorporação de tecnologias (CONITEC) no Sistema Único de Saúde recomendou a adoção do medicamento pelo SUS para tratamento da forma 1 (em pacientes que não necessitem ainda de respiradores artificiais). O Ministério da Saúde publicou uma portaria que institui projeto piloto de acordo de compartilhamento de risco com a indústria produtora do medicamento para o tratamento da Atrofia Muscular Espinal (AME 5q) tipos II e III no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

O “compartilhamento de risco” é uma modalidade inédita no Brasil em que a indústria e o SUS arcam com as despesas de tratamento com monitorização periódica dos resultados e reavaliação da continuidade do tratamento baseada em respostas individuais



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

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Trabalhos científicos mostram que **o uso de nusinersena em paciente com AME retarda a perda da força muscular, levando a melhor qualidade de vida e diminuição das complicações.**

5.3. Conclusão Justificada:

A CONITEC não recomendou o uso de nusinersena por falta de evidências de melhora significativa a longo prazo dessa medicação em pacientes com subtipos 2 e 3, mas recomenda que mais estudos sejam feitos e que seja implantado esse acordo de compartilhamento de risco para poder melhor avaliar pacientes que realmente se beneficiariam desse tratamento.

O Ministério da Saúde disponibiliza em sua página na internet as informações para pacientes com AME tipos 2 e 3 se cadastrarem nesses Serviços de Referência- <http://saude.gov.br/saude-de-a-z/atrofia-muscular-espinhal-ame>

5.4. Referências bibliográficas:

Wood H. Motor neuron disease: Benefits of nusinersen extend to later-onset SMA. Nat Rev Neurol; 2018 Mar 02

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;378(7):625-635, 2018 02 15.

Burgart AM; Magnus D; Tabor HK; Paquette ED; Frader J; Glover JJ; Jackson BM; Harrison CH; Urion DK; Graham RJ; Brandsema JF; Feudtner C. Ethical Challenges Confronted When Providing Nusinersen Treatment for Spinal Muscular Atrophy. JAMA Pediatr;172(2):188-192, 2018 Feb 01

<http://saude.gov.br/saude-de-a-z/atrofia-muscular-espinhal-ame>

PORTARIA Nº 1.297, DE 11 DE JUNHO DE 2019 Institui projeto piloto de acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde, para oferecer acesso ao medicamento Spinraza (Nusinersena) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS.



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

5.5. Outras Informações:

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

Equipe NAT-Jus/SP