



Ministério da
Saúde

Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos

Acesso ao tratamento da AME 5q Tipos 2 e 3

Denizar Vianna

Brasília, 12 de junho/2019



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde
Gabinete

DESPACHO

SCTIE/GAB/SCTIE/MS

Brasília, 11 de junho de 2019.

Assunto: Projeto piloto de acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde, para oferecer acesso ao medicamento Spinraza[®] (Nusinersena).

Considerando o teor da Nota Técnica nº 3/2019-SCTIE/GAB/SCTIE/MS (9616701), encaminha-se à Coordenação-Geral do Gabinete do Ministro (CGGM), para análise do Senhor Ministro de Estado da Saúde e providências decorrentes, Minuta de Portaria anexa que 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.

Ressalta-se que o texto da minuta já se encontra revisado com base no Parecer n. 00451/2019/CONJUR-MS/CGU/AGU (9687471), emitido pela Consultoria Jurídica.

DENIZAR VIANNA ARAUJO

Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde
Gabinete

NOTA TÉCNICA Nº 3/2019-SCTIE/GAB/SCTIE/MS

Assunto: Acordo de compartilhamento de risco para oferecer acesso ao medicamento Spinraza® (Nusinersena) aos pacientes com Atrofia Muscular Espinhal (AME) Tipos 2 e 3.

Tabela 1. Classificação clínica da AME 5q em subtipos			
AME 5q	Idade de Início	Maior função motora alcançada	Expectativa de vida*
Tipo 0	Pré- ou Neonatal	Nenhuma	Poucos dias/semanas
Tipo 1	0 – 6 meses	Não senta	< 2 anos
Tipo 2	7 – 18 meses	Senta, não fica em pé e não anda	> 2 anos
Tipo 3	> 18 meses	Fica em pé e anda	Normal
Tipo 4	A partir da 2ª década	Anda	Normal

***Expectativa de vida de acordo com a história natural da doença (14).**

Lunn MR, Wang CH. Spinal muscular atrophy. Lancet. 2008;371(9630):2120–33

Modelos de compartilhamento de risco

- Compartilhamento de risco com base em volume
- Compartilhamento do risco com base em desfecho clínico

Proposta do projeto-piloto

Etapa 1 – Mitigação de riscos financeiros e acesso ao Spinraza[®] (Nusinersena)

Objetivos

Garantir o acesso em tempo adequado aos pacientes com AME 5q, inclusive aqueles não incluídos na portaria SCTIE no 24/2019, e ao mesmo tempo mitigar o risco financeiro para o Ministério da Saúde decorrente das incertezas acerca da epidemiologia da doença, durante o período de estruturação do modelo de acordo de compartilhamento de risco (ACR).

Proposta do projeto-piloto

Etapa 2 – Estruturação do ACR por desfecho

Objetivos

Estruturar o modelo de ACR por desfecho e garantir a existência e implementação de toda a estrutura necessária para a execução do acordo.

Proposta do projeto-piloto

Proposta de atividades

1. Definição dos desfechos e condições do ACR



Proposta do projeto-piloto

Proposta de atividades

2. Avaliação dos centros de referência do cuidado de pacientes



Proposta do projeto-piloto

Operacionalização

Teste genético

Educação da equipe multiprofissional

Newborn Screening
SMA now meets World Health Organisation criteria for NBS*

SMA is a severe devastating neurodegenerative disease

30 babies are born annually with this condition in Australia

There is a latent phase in which we can intervene

Early treatment makes a difference to survival and motor outcomes

NBS is essential for an early diagnosis of SMA

New Hope for Treating SMA
Children with the mildest forms of SMA (SMA type 1) who are born and early identified, with a supportive level of motor function, may have a life expectancy that is comparable and open to treatment.

There are small treatment studies for therapeutic intervention. These may improve motor function in a group, but not for survival and motor outcomes. Comprehensive treatment of supportive care.

Newborn screening will identify children with SMA early.

Newborn screening allows treatment to start as early as possible to achieve these important outcomes.

Refer to: [http://www.nbs.gov.au/Screening](#) for more information about newborn screening.

We can now treat SMA

New South Wales
NSW Health

For further information please contact:
Neurogenetics Support Australia Inc.
Unit 1, 25 Greenway Park, Sydney NSW 1585, Australia
Phone: 02 9593 0744 Email: neurogenetics@nbsa.org.au Web: www.nbsa.org.au

Proposta do projeto-piloto

Etapa 3 – Elaboração do contrato de ACR



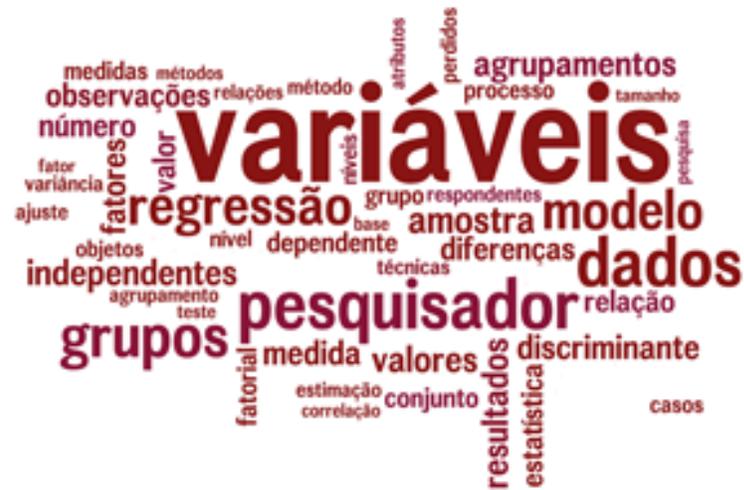
Proposta do projeto-piloto

Etapa 4 – Coleta de informações



Proposta do projeto-piloto

Etapa 5 – Análise dos desfechos



Proposta do projeto-piloto

Etapa 6 – Revisão do PCDT

CONITEC Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS

Nusinersena para Atrofia Muscular
Espinhal 5q



medicamento

**RELATÓRIO
DE RECOMENDAÇÃO**





Ministério da
Saúde

Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos

OBRIGADO

gabinete.sctie@saude.gov.br

Brasília, 12 de junho/2019