



INAME

Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal

Agosto/2021

O INAME

Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal

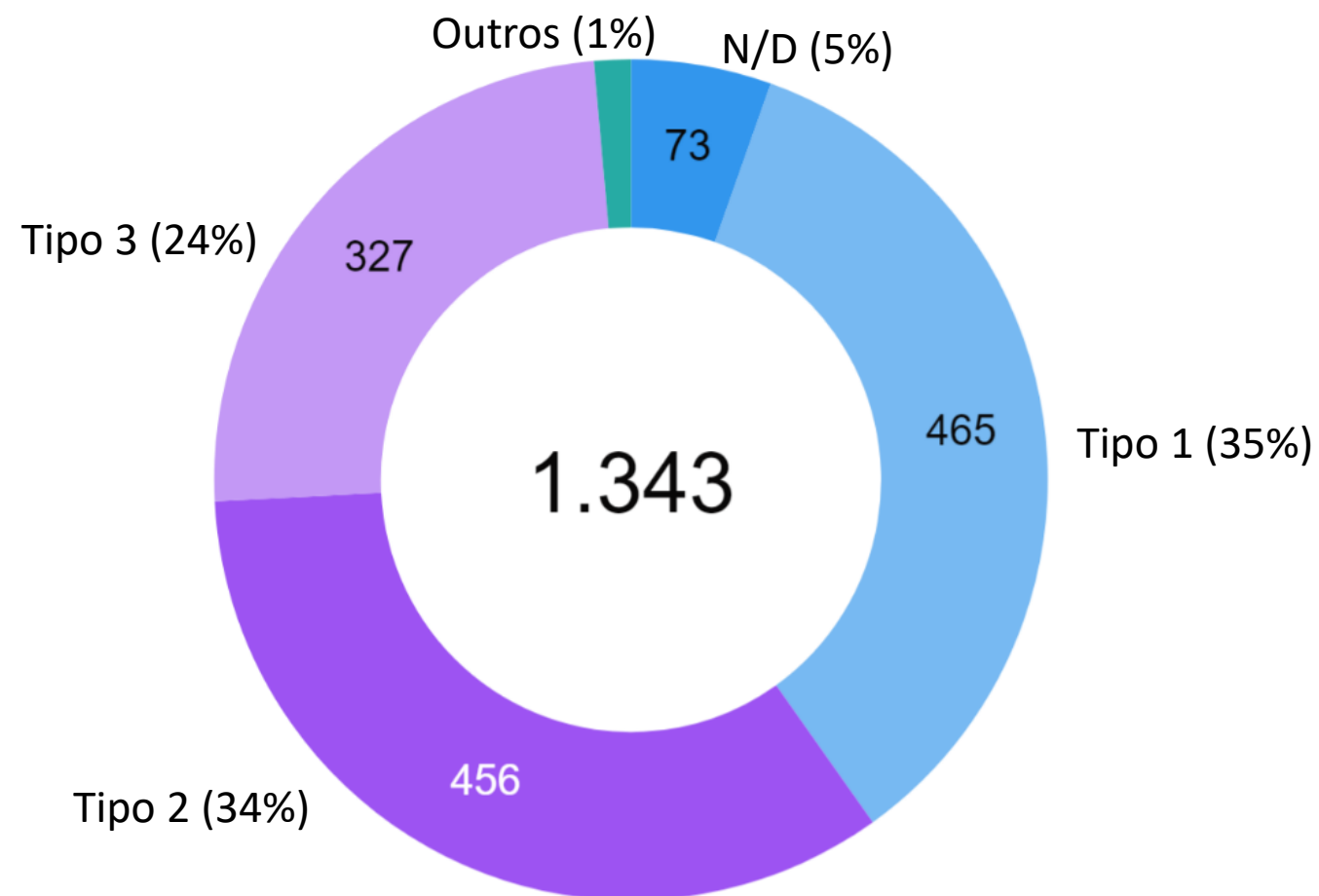


- > Associação sem fins lucrativos, baseada em trabalho voluntário;
- > Busca de tratamento e cuidados adequados para **todos** os pacientes com AME no Brasil;
- > **Missão:** atuar para possibilitar que todos tenham **diagnóstico rápido** e **acesso aos tratamentos** para AME no Brasil da forma mais veloz e eficaz possível.
- > Universo Coletivo AME



ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL

Cenário dos Pacientes AME por Tipo no Brasil (07/2021):



ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL

Cenário dos Pacientes AME por Tipo no Brasil (07/2021):

- > 168 pacientes com idade até 2 anos (independente do tipo);
- > 750 pacientes tratados com nusinersena (mais de 50% da população total AME)
- > 52 pacientes no Brasil que já receberam Zolgensma (mais de 30% da população alvo da bula).



Desses, quase 70% receberam do Poder Público pela via judicial

Medicamentos para AME

- > Aprovados pela ANVISA:
 - > Spinraza (nusinersena): aplicação intratecal, a cada 4 meses, pelo resto da vida
 - > Evrysdi (risdiplam): via oral, uso diário, pelo resto da vida
 - > Zolgensma (via intravenosa, dose única)
- > Todos os 3 tratamentos regularizam a produção da proteína SMN no organismo
- > Nenhum dos tratamentos é a cura, mas todos conseguem impedir a progressão da doença
- > Quando mais cedo inicia, melhores os resultados (independente do medicamento)
- > Melhor cenário para todos (paciente, família, médicos, sistema de saúde) é ter os 3 tratamentos disponíveis no SUS no momento do diagnóstico, para que família + médico possam escolher o melhor tratamento para aquele caso concreto e iniciar o mais cedo possível, e que o Governo possa ter o preço negociado da melhor forma e a otimização dos resultados através da redução de outros custos relacionados à doença.

O caminho de um medicamento até o SUS

- > Aprovação ANVISA
 - > Precificação CMED
 - > Submissão dossiê CONITEC:
 1. Relatório Preliminar
 2. Consulta Pública
 3. Relatório final
 4. Decisão do Secretário SCTIE
 5. Publicação do PCDT – 180 dias
 6. Dispensação aos pacientes
- 180 dias

Preço dos Medicamentos para AME

Etapa	Spinraza	Zolgensma
Aprovação ANVISA	R\$ 500 mil frasco R\$ 3 MM 1º. Ano R\$ 7,5MM em 4 anos	USD 2,1 MM R\$ 9 MM dose única
Precificação CMED	R\$ 342 mil frasco (PF) R\$ 2,1MM 1º. Ano R\$ 5,1MM em 4 anos	Etapa estagnada (CMED “aprovou” R\$ 2,8 MM preço lista)
Incorporado ao SUS	R\$ 160 mil frasco R\$ 960 mil 1º. Ano R\$ 2,4MM em 4 anos	???



REDUÇÃO DE 68% NO PREÇO

Conclusão

- > Melhor cenário para todos é ter os 3 tratamentos disponíveis no SUS no momento do diagnóstico:
 - > Família + médico possam escolher o melhor tratamento para aquele caso concreto e ter o melhor resultado
 - > Governo possa ter o preço negociado da melhor forma e a otimização dos recursos.
- > Indefinição CMED (Conselho de Ministros):
 - > Prejudica pacientes e famílias, que precisam recorrer à Justiça (lentidão!), o que faz com que as crianças recebam o tratamento tardiamente e não tenham os melhores resultados possíveis, que teriam caso tivessem sido tratadas imediatamente após o diagnóstico.
 - > Prejuízo para o Governo federal, que continua pagando preço cheio do Zolgensma no fornecimento via judicial e não reduz custos acessórios que economizaria se as crianças fossem tratadas imediatamente após o diagnóstico.
 - > Impossibilita submissão de dossiê para incorporação ao SUS

Conclusão

- > Incorporação via Projeto de Lei x Fluxo de incorporação via Conitec
- > **Apoio parlamentar** para dar fluxo e “resolver” o preço lista CMED:
 - > Conselho de Ministros:
 - > Saúde, Casa Civil, Economia, Justiça.
 - > Última instância