



Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal

Audiência Pública: A incorporação do medicamento Zolgensma no âmbito do SUS

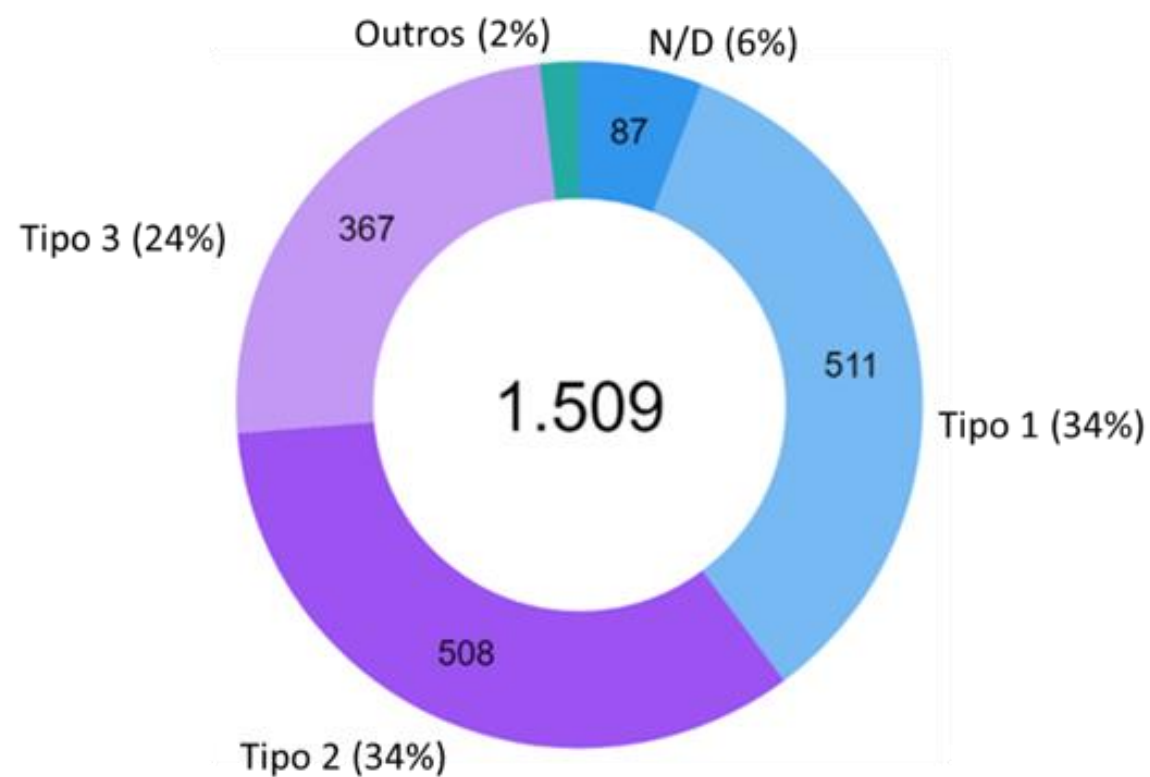
Diovana Loriato

Outubro/2022



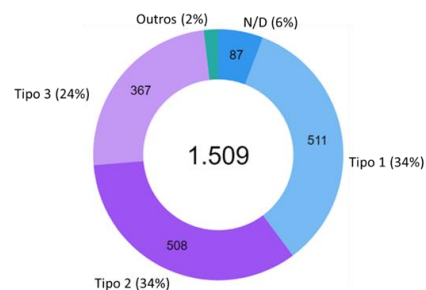
CONSIDERAÇÕES INICIAIS

Informações sobre a População com AME no Brasil (INAME, Set 2022)



CONSIDERAÇÕES INICIAIS

Informações sobre a População com AME no Brasil (INAME, Set 2022)



- > Mais de 900 pactes em tratamento nusinersena (60% da população mapeada):
- > 108 pactes em tratamento risdiplam (7% da população mapeada)
- > 119 pactes receberam Zolgensma:
 - Estudos clínicos ou Programa Novartis: 21 pacientes
 - Recursos próprios ou campanhas de arrecadação: 8 pacientes
 - Saúde suplementar (pela via judicial ou não): 6 pacientes
 - Poder Público (pela via judicial): 84 (**mais de 70% do total de 119**)

ESTUDO INAME: REGISTRO AUTO-REPORTADO

Número Protocolo CEP: 5100. Número do Parecer: 4.424.808



- > 706 considerados na população do estudo;
- > **Mediana de idade de diagnóstico genético dos pacientes do Tipo 1: 12 meses**;
- > **51% dos pacientes do Tipo 1 tiveram diagnóstico após os seis meses de idade.**
- > Mediana da idade no diagnóstico dos pacientes do Tipo 2: **36 meses**

Tabela 1 - Porcentagens dos diferentes tipos de ame, faixa etária geral e sexo

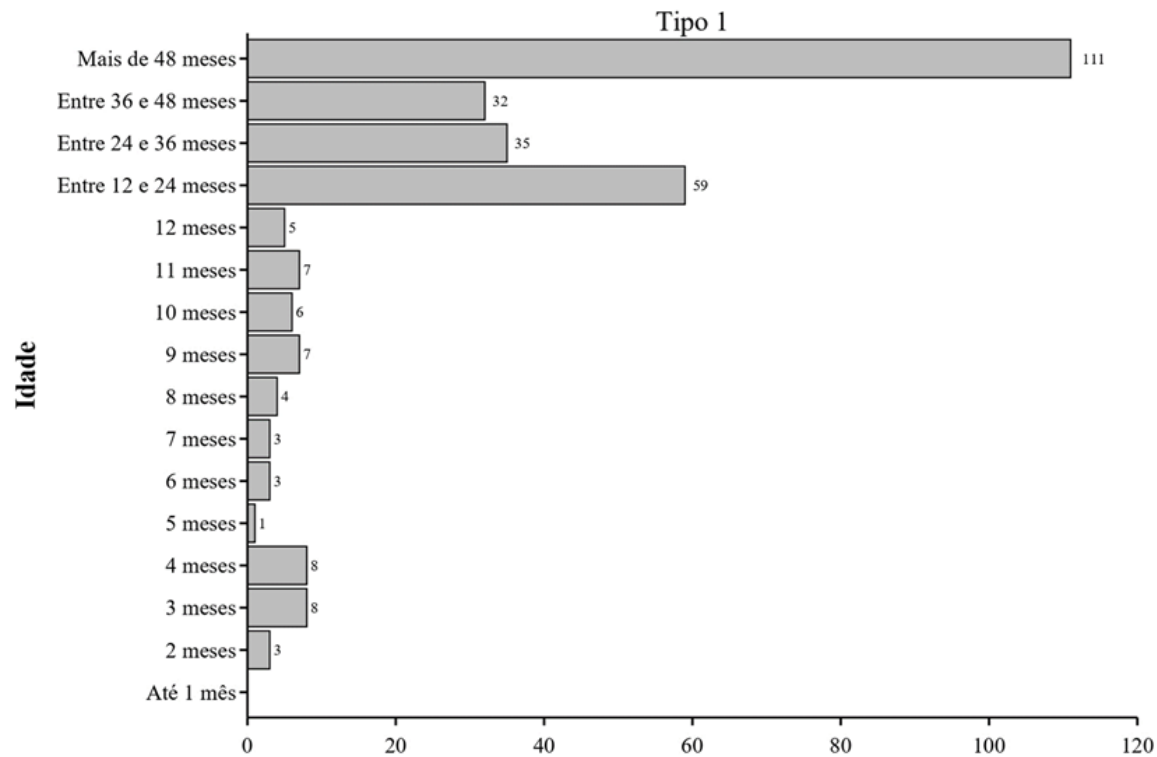
Características	Total, N = 706 ¹	Tipo 1, N = 296 (42%) ¹	Tipo 2, N = 235 (33%) ¹	Tipo 3, N = 160 (23%) ¹	Outros, N = 15 (2.1%) ¹	Valor p ²
Idade (anos)	8.0 (3.0, 20.0)	3.0 (1.0, 6.0)	11.0 (6.0, 21.5)	26.0 (12.0, 36.2)	33.0 (1.5, 40.5)	<0.001
Sexo						0.071
Feminino	366 (51.8%)	146 (49.3%)	114 (48.5%)	98 (61.3%)	8 (53.3%)	
Masculino	339 (48.0%)	150 (50.7%)	120 (51.1%)	62 (38.8%)	7 (46.7%)	
Não especificado	1 (0.1%)	0 (0.0%)	1 (0.4%)	0 (0.0%)	0 (0.0%)	

¹Mediana (AIQ); n (%)

²Teste de Kruskal-Wallis; Teste exato de Fisher

ESTUDO INAME: REGISTRO AUTO-REPORTADO

Distribuição de idade da População Tipo 1



> 114 pactes (quase 40% da população de 296 pactes Tipo 1 do estudo) têm até 24 meses, ou seja, estão dentro da faixa etária da bula de Zolgensma

Evidências clínicas



- > Estudos clínicos, estudos de comparação indireta e estudos observacionais: perfil de eficácia muito robusto e satisfatório;
- > Discussão se a amplitude dos resultados de Zolgensma é superior aos demais tratamentos disponíveis para AME, ou o quão superiores esses efeitos seriam;
- > Indiscutível que o tratamento é eficaz, após mais de três anos da aprovação do medicamento pela FDA e mais de 2200 pacientes que receberam esta terapia gênica no mundo;
- > Questão posológica: **terapia de dose única** → grande vantagem → facilidade e comodidade da dose única precisam ter maior peso nas considerações para a incorporação deste tratamento.
- > “A conveniência é uma coisa que não precisa nem ser comprovada – talvez esteja aí um ponto de baixa incerteza.” – Luiz Correia, durante a reunião plenária do dia 17/08/2022.

Efeitos Adversos

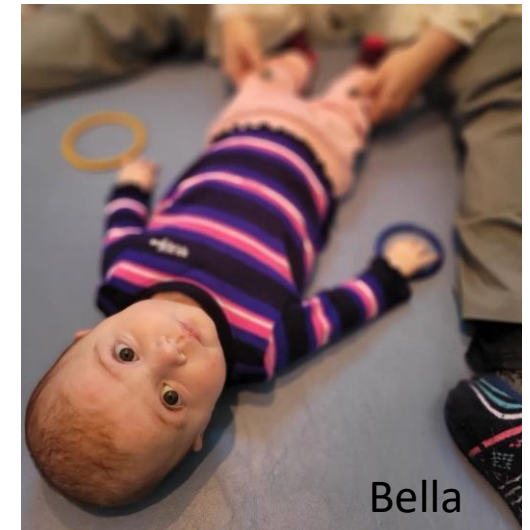


- > Grande preocupação com os potenciais efeitos adversos do tratamento com Zolgensma, principalmente porque podem ser de grande magnitude, inclusive fatais;
- > Eventos adversos parecem ser potencialmente maiores quanto mais velhos e mais pesados os pacientes são ao receberem a terapia;
- > Óbitos reportados pelo fabricante;
- > 3 óbitos no Brasil (2,5% do total de 119 pactes). O Universo Coletivo AME não tem informações completas ou detalhadas sobre a causa destes óbitos.
- > Necessidade de ampliar discussão sobre efeitos adversos e os cuidados para monitoramento pós-aplicação do medicamento em momento oportuno (elaboração do PCDT).

Avaliação Econômica e Impacto Orçamentário



- > Custo de tratamento de um paciente: quanto maior o horizonte de tempo analisado, o cenário torna-se mais favorável a Zolgensma e mais desfavorável aos demais tratamentos disponíveis no SUS (nusinersena e risdiplam).
- > Mais pacientes estão tendo acesso a tratamentos cada vez mais cedo, e por isso estão vivendo mais e melhor.
- > Questões:
 - Preço
 - Condição de pagamento
 - Proposta de compartilhamento de risco





Preço e condição de pagamento

Avaliação econômica e impacto orçamentário

- > **Preço** proposto: R\$ 5.722.712,79 → indústria proprietária da tecnologia deveria empreender esforços para apresentar proposta de preço mais favorável à sustentabilidade do sistema público de Saúde, especialmente considerando a existência de outras terapias eficazes já incorporadas.
- > **Forma de pagamento:**
 - Proposta de parcelamento apresentada pela empresa foi tímida, tanto no prazo de 3 anos quanto no elevado percentual exigido na primeira parcela (50%).
 - Sugestão: horizonte mínimo de 5 anos para o parcelamento – tempo do primeiro seguimento do estudo de acompanhamento LT-001 com resultados já publicados → garantia para ambas as partes de que, neste horizonte de 5 anos, a medicação mantém os seus efeitos e resultados positivos.
 - As outras duas terapias oferecidas pelo SUS são mais vantajosas em termos de fluxo de caixa para o sistema de saúde → proposta de condição de pagamento estendida poderia mitigar essa desvantagem do Zolgensma.



Acordo de Compartilhamento de Risco (ACR)

Avaliação econômica e impacto orçamentário

- > Objetivo de um ACR: fazer a tecnologia chegar mais rápido ao paciente, dividindo-se com a indústria os riscos e incertezas associados a ela (objetivo não deve ser gerar economia para o Sistema)
- > Incertezas: eficácia, segurança, impacto orçamentário
- > Ferramenta pode ser extremamente vantajosa para o SUS e para os pacientes
- > Primeiro acordo não deve ter configuração complexa, especialmente em termos de desfechos e acompanhamento → desafios de um modelo mais complexo poderiam representar prejuízos importantes a todos os envolvidos
- > Incerteza mais difícil de se avaliar: eficácia/efetividade → dificuldades de monitoramento padronizado e das nuances e diferenças de resultados nos pacientes
- > **Eficácia** não é a maior das incertezas que existem em torno do Zolgensma → **segurança** (para os pacientes) e **impacto orçamentário** (para o Sistema de Saúde) seriam, hoje, os riscos de maior interesse para o acordo de acesso gerenciado

Acordo de Compartilhamento de Risco



- > Sugestão: construção de um acordo de acesso gerenciado que possa reduzir os riscos de segurança e impacto orçamentário.
 - Ex.: devolução integral dos recursos investidos em caso de óbito;
 - Ex.: implementação de um teto máximo de quantidade de doses compradas.



Manuela

Avaliação por Outras Agências de ATS



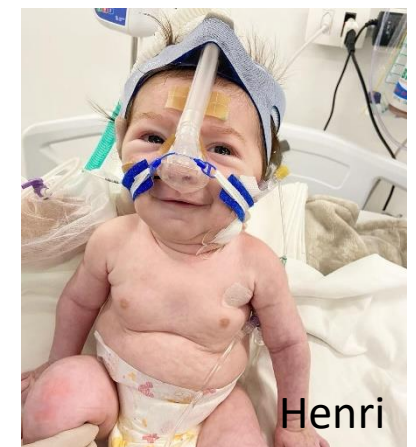
- > TODAS as agências de ATS citadas pela Conitec emitiram parecer recomendando a incorporação de Zolgensma
- > Espera-se que a Conitec não seja a primeira agência de ATS a ir na contramão do que está acontecendo no mundo, ou seja, não recomendar a incorporação ao SUS para nenhum grupo de pacientes.



Considerações Finais



- > Hoje os pacientes estão tendo acesso a Zolgensma, principalmente pela via judicial, sem equidade e eficiência;
- > Sem equidade: somente famílias com condições de contratar bons advogados, recorrerem ao Sistema judicial e darem “sorte” de caírem em um juiz/TJ favorável → angústia indescritível;
- > Sem eficiência: acesso pela via judicial demora em torno de 1 ano ou mais para chegar:
 - Ponto de vista médico: acesso tardio implica em resultados piores;
 - Ponto de vista econômico: MS paga primeiro ano de tratamento com nusinersena e compra Zolgensma sem desconto. Paga duas vezes!
- > Única solução para reverter este cenário: incorporação ao SUS



Conclusão



- > Melhor cenário para todos (pacientes, famílias, médicos e sistema de saúde): todos os três tratamentos para AME disponíveis no SUS, no momento do diagnóstico;
- > **Recomendação preferencial: incorporação de Zolgensma ao SUS, dentro dos critérios de bula aprovados pela ANVISA → pacientes pediátricos abaixo de 2 anos de idade com AME Tipo I ou com até 3 cópias do gene SMN2**
- > **Recomendação alternativa: incorporação com algum critério de limitação de público-alvo, mais reduzido do que o critério de bula, desde que não inferior a 12 meses de idade** (mediana de idade no diagnóstico genético da população do estudo epidemiológico em curso, que poderia ser extrapolada para estimar a idade no diagnóstico da população de AME Tipo 1 no Brasil)
- > Incorporação com critério de inclusão de idade inferior a 12 meses continuaria deixando de fora a maioria dos pacientes, e este não deve ser o objetivo de uma política pública;
- > Não incorporação vai na contramão do avanço tecnológico e prejudica a todos.



Leo

Incorporação do Zolgensma no SUS



MUITO OBRIGADA!

dloriato@iname.org.br