



Ata da 76ª Reunião da CONITEC

Membros do Plenário

Presentes: ANS, SE, CONASEMS, SCTIE, CNS, CFM, SGEP, SGETS, SESAI, CONASS, SAS e ANVISA.

Ausentes: SVS

Assinatura da ata da 75ª Reunião da CONITEC

Os membros presentes aprovaram a ata da 75ª reunião e procederam à sua assinatura.

Acetato de abiraterona para o câncer de próstata metastático resistente à castração de pacientes com uso prévio de quimioterapia

O tema foi apresentado por colaboradora de grupo parceiro do Ministério da Saúde, que fez breve contextualização sobre o câncer de próstata no Brasil e o tratamento disponibilizado no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS). Posteriormente, foi indicado como grupo alvo para o tratamento com o acetato de abiraterona os pacientes com doença metastática e resistente ao tratamento anterior, isto é, cuja doença continua evoluindo apesar da hormonioterapia (bloqueio hormonal) e da quimioterapia. Informou que o anti-hormônio foi avaliado por meio de uma revisão sistemática conduzida pelo grupo colaborador, na qual a população-alvo eram pacientes com câncer metastático de próstata que receberam a terapia hormonal (bloqueio) e quimioterapia prévia com docetaxel. Após análise e seleção dos artigos, foram incluídos 02 (dois) ensaios clínicos, tendo como principais desfechos a sobrevida e o tempo livre de progressão da doença. Como resultado desses estudos, observou-se uma redução de 35% no risco de morte no grupo com uso do acetato de abiraterona, apresentando um aumento de quatro meses de sobrevida, isso, quando comparado ao grupo placebo. Em relação ao risco de progressão da doença, foi demonstrada uma redução de 40% no grupo do acetato de abiraterona, levando a um aumento de 04 (quatro) meses de sobrevida livre de progressão. Apesar dos resultados não apresentarem significância estatística, observou-se que há uma tendência que favorece o acetato de abiraterona, ou seja, as evidências mostram relevância clínica da tecnologia. Por fim, a avaliação econômica e impacto orçamentário demonstraram que o custo da tecnologia realmente seria muito elevado sem uma redução significativa do valor atualmente levantado. Após apresentação, o Plenário questionou sobre a possível redução de preço do medicamento, motivada pela concorrência, já que alguns medicamentos genéricos do acetato de abiraterona estão entrando no mercado brasileiro. Nesse sentido, seria possível uma redução bem expressiva em relação ao valor do medicamento. **Recomendação:** Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade, encaminhar o

tema para consulta pública com recomendação preliminar favorável à incorporação do acetato de abiraterona para o câncer de próstata metastático resistente à castração de pacientes com uso prévio de quimioterapia, conforme a assistência oncológica no SUS.

Alfa-*glucosidase* para doença de Pompe

O tema foi apresentado por colaboradora técnica que inicialmente falou sobre a eficácia e segurança da alfa-*glucosidase* para doença de Pompe, como terapia de reposição enzimática. Após, explanou sobre os aspectos clínicos da doença e as evidências científicas encontradas na literatura. Na análise apresentada foram incluídos os pacientes com doença de Pompe precoce e tardia. Ressaltou que o comparador utilizado foi um placebo. Foram incluídas revisões sistemáticas, meta-análises e ensaios clínicos randomizados, além de estudos observacionais prospectivos. Em seguida, técnico do DGITIS iniciou a apresentação da análise de custo-efetividade e análise de impacto orçamentário. Informou que o modelo de custo-efetividade utilizado foi o de Markov, com estados transicionais da doença, como a posologia do medicamento, 20mg/kg de peso corporal a cada 02 (duas) semanas, sendo cada frasco de 50mg suficiente para apenas 2,5 kg de peso do paciente. Considerou o dado muito importante em todas as avaliações, principalmente nos cálculos utilizados. O horizonte temporal foi a vida toda do paciente, “*lifetime*”, e o desfecho foi “anos de vida ganhos”. Ressaltou que o menor preço encontrado foi o praticado em compras públicas realizada pelo Departamento de Logística em Saúde da Secretaria-Executiva do Ministério da Saúde (DLOG/SE/MS) em novembro de 2018. Ressaltou que para calcular a dosagem foram utilizados dados extraídos do Instituto Brasileiro de Geografia e Estatística (IBGE) sobre o peso médio dos pacientes precoces, menores de 12 (doze) meses com 9,5kg e pacientes tardios de 12 (doze) meses a 18 (dezoito) anos de idade com 65,8kg em média, para ambos os sexos, na mesma proporção. Informou que a quantidade de frascos por paciente varia de acordo com a idade e peso. Em seguida, o técnico do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde (DGITIS) fez a apresentação sobre o impacto orçamentário na perspectiva do SUS, em um horizonte temporal de cinco anos, considerando os anos de 2020 a 2024. Informou que foram realizadas buscas de preços internacionais e que a compra realizada pelo DLOG foi considerada a menos onerosa. **Recomendação:** Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade, encaminhar o tema para consulta pública com recomendação preliminar favorável a incorporação da alfa-*glucosidase* para doença de Pompe no SUS.

Miglustate para manifestações neurológicas da doença de Niemann-Pick tipo C (NPC)

O tema foi apresentado ao Plenário por colaboradora técnica do Hospital Alemão Oswaldo Cruz (HAOC), instituição parceira da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec). Informou-se que a apresentação se tratava da apreciação inicial do medicamento miglustate para manifestações neurológicas da doença de NPC e que foi realizada uma análise das evidências científicas

disponíveis na literatura sobre a eficácia e segurança do miglustate para o tratamento da doença de NPC. A técnica do HAOC, inicialmente, definiu a NPC como uma doença genética rara, de herança autossômica recessiva, com incidência estimada de 1 (um) novo caso a cada 100.000 (cem mil) habitantes. A NPC é decorrente de mutações nos genes NPC-1 (95%), NPC-2 (4%) e outros genes ainda não identificados (cerca de 1%). As principais manifestações clínicas incluem visceromegalia, com potencial acometimento respiratório, e alterações neurológicas e psiquiátricas. Em seguida, foram relatadas as dificuldades com o diagnóstico da doença de NPC, pois existe uma grande heterogeneidade de sintomas. Após firmar o diagnóstico, o tratamento da doença de NPC tem como objetivos: aumento da qualidade de vida e retardo na progressão da doença; cuidados paliativos (uso de anticonvulsivantes, sedativos, terapia ocupacional, fisioterapia e suporte nutricional, entre outros). Para avaliar a eficácia e a segurança desse medicamento para o tratamento da doença de NPC, foi realizada uma revisão da literatura nas bases de dados Pubmed (MEDLINE) e EMBASE. Os critérios de elegibilidade dos estudos foram: estudos do tipo revisões sistemáticas de ensaios clínicos randomizados com meta-análises de comparações diretas ou indiretas, ensaios clínicos randomizados e revisões sistemáticas sem meta-análise. Considerando-se a natureza e a frequência da doença, estudos de coorte e séries de caso com número de participantes superior a 10 (dez) também foram avaliados quanto à sua elegibilidade. Foram considerados critérios de exclusão dos estudos, amostras com outras esfingolipidoses ou condições neurológicas que não fornecessem análises estratificadas pelo tipo de doença e revisões narrativas da literatura. A busca das evidências resultou em 525 (quinhentos e vinte e cinco) estudos (139 (cento e trinta e nove) no MEDLINE e 386 (trezentas e oitenta e seis) no EMBASE), após a aplicação dos critérios de elegibilidade, cerca de 12 (doze) estudos foram considerados, sendo 01 (um) ensaio clínico randomizado (ECR), Patterson et al., 2007, do qual derivaram 03 (três) estudos de extensão (Patterson et al., 2009; Patterson et al., 2010; Wraith et al., 2010) e 01 (uma) análise post-hoc (Wraith et al., 2009); 01 (uma) coorte retrospectiva (Freiher et al., 2017), 04 (quatro) estudos baseados em registros internacionais da doença (Patterson et al., 2018a; Patterson et al., 2018b; Patterson et al., 2015; Fecarotta et al., 2015), e 02 (duas) séries de caso (Ginocchio et al., 2013; Herón et al., 2012). Quanto aos resultados de eficácia, foi relatado que, para os desfechos de incapacidade, deambulação, manipulação, linguagem, deglutição, cognição, crises convulsivas e progressão da doença, não foram observados resultados estatisticamente significantes em nenhum dos estudos incluídos, assim como para o desfecho movimentos oculares. Foram verificados resultados estatisticamente significantes, favoráveis ao miglustate, no ECR, quando os pacientes foram estratificados quanto ao uso de benzodiazepínicos; para os desfechos de sobrevida e mortalidade, apenas 02 (dois) estudos fizeram a análise (Patterson et al., 2018a e Freiher et al., 2017), sendo que no primeiro estudo houve diferença estatisticamente significativa e no segundo não. Os eventos adversos mais comumente relatados foram a diarreia, flatulência, dor abdominal, perda de peso, náusea, tremores, fadiga, cefaleia, crises convulsivas e alterações hematológicas. O ECR incluído foi

considerado de baixo risco de viés e os outros delineamentos epidemiológicos, de alto risco de viés. Em seguida foi apresentada a análise de custo-efetividade baseada em uma árvore de decisão simples e a análise do impacto orçamentário do miglustate via oral para o tratamento da doença de NPC, para um horizonte de 05 (cinco) anos. Após apresentação os membros do Plenário discutiram sobre o tema e fizeram suas recomendações preliminares. **Recomendação:** Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade, encaminhar o tema para consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação do miglustate no tratamento de manifestações neurológicas da doença de Niemann-Pick tipo C no SUS.

Acetato de ciproterona para câncer de próstata resistente à castração química ou cirúrgica

Trata-se da apresentação das contribuições à consulta pública nº 11/2019, acerca da análise de incorporação ao SUS do acetato de ciproterona em pacientes com adenocarcinoma de próstata resistente à castração. A consulta pública (CP) foi disponibilizada no período de 28 de fevereiro a 19 de março de 2019 e foram recebidas 37 (trinta e sete) contribuições, sendo 36 (trinta e seis) advindas pelo formulário de experiência/opinião e 01 (uma) pelo formulário técnico-científico, enviada pela empresa demandante. Observa-se que 03 (três) (8%) concordaram totalmente, 19 (dezenove) (51%) concordaram parcialmente, 02 (duas) (5%) discordaram parcialmente e 13 (treze) (35%) discordaram totalmente com a recomendação preliminar da Conitec. Após apresentação das contribuições recebidas na consulta pública os membros do plenário discutiram sobre o tema. **Recomendação:** Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade, recomendar a não incorporação ao SUS do acetato de ciproterona em pacientes com adenocarcinoma de próstata resistente à castração.

Pamidronato dissódico para doença de Paget

Trata-se da apresentação das contribuições recebidas na consulta pública nº 08/2019 acerca da solicitação de exclusão do pamidronato dissódico do tratamento da doença de Paget óssea, disponibilizada entre o período de 22 de fevereiro a 13 de março de 2019. Foram recebidas 02 (duas) contribuições; dessas, 01 (uma) foi confundida com a CP do orelizumabe, sendo, portanto desconsiderada. A outra contribuição foi desfavorável à desincorporação da tecnologia, porém não apresentou comentários. **Recomendação:** Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade, recomendar a exclusão do pamidronato dissódico do tratamento da doença de Paget óssea no SUS.

Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Síndrome de Ovário Policísticos

Trata-se da apresentação feita por colaborador do Hospital Alemão Oswaldo Cruz, instituição parceira da Conitec, das contribuições recebidas na consulta pública nº 5/2019 sobre PCDT da Síndrome de Ovário

Policísticos disponibilizada no período de 20 de fevereiro a 11 de março de 2019. O colaborador informou que a apresentação inicial do PCDT ocorreu na 74ª reunião da Conitec, realizada nos dias 06 e 07 de fevereiro de 2019, com recomendação preliminar favorável à aprovação do texto, e o tema foi levado para consulta pública. Foram recebidas 03 (três) contribuições, sendo todas de experiência e opinião. Destas, 01 (uma) foi considerada inadequada/equivocada, pois se referia a outro tema. De acordo com o colaborador, no geral, as avaliações foram positivas. **Recomendação:** Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade, recomendar a atualização do PCDT da Síndrome de Ovário Policísticos.

Apreciação inicial de antimuscarínicos para a incontinência urinária de urgência

O tema foi apresentado por colaborador do Hospital Alemão Oswaldo Cruz, instituição parceira da Conitec, que apresentou os aspectos clínicos da IUU, assim como as opções terapêuticas existentes no SUS e as características dos medicamentos. Foi explicado que o SUS oferece opções não farmacológicas, como fisioterapia e cirurgias. Em seguida, foram apresentadas as evidências científicas disponíveis na literatura. Foram selecionados 09 (nove) estudos, sendo 07 (sete) revisões sistemáticas com meta-análises diretas e indiretas e 02 (dois) ensaios clínicos. De acordo com a avaliação de risco de viés, os estudos foram classificados com alto ou incerto risco de viés, apresentando alta heterogeneidade e ausência de comparação direta entre todos os antimuscarínicos. Foram avaliados diversos desfechos relacionados com a IUU, sendo todos desfechos contínuos. A oxibutinina e a solifenacina apresentaram as melhores razões de custo-efetividade incremental, já a solifenacina mostrou uma superioridade nos desfechos quando comparada com os antimuscarínicos, porém, essa comparação não ocorreu para todos os desfechos nem com todos os medicamentos da classe avaliados no Parecer Técnico-Científico (PTC). A oxibutinina apresentou pior perfil de segurança e é contraindicada em populações específicas. Após a apresentação das evidências científicas, o Plenário discutiu sobre as evidências apresentadas, considerando-as muito fracas e de baixa qualidade. Foi considerado também que atualmente existem no SUS opções não farmacológicas, como fisioterapia e cirurgias, além das fraldas no Programa Farmácia Popular. **Recomendação:** Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade, encaminhar o tema para consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação dos antimuscarínicos para incontinência urinária de urgência no SUS.

Mirabegrona para incontinência urinária de urgência

Inicialmente, o colaborador do Hospital Alemão Oswaldo Cruz, instituição parceira da Conitec, apresentou os aspectos clínicos da IUU, assim como as opções terapêuticas existentes no SUS e as características da mirabegrona. Foi explicado que o SUS oferece opções não farmacológicas, como fisioterapia e cirurgias. Em seguida, foram apresentadas as evidências científicas disponíveis na literatura. Foram selecionados 22

(vinte e dois) estudos, sendo 14 (catorze) ensaios clínicos. De acordo com a avaliação de risco de viés, os estudos foram classificados com alto ou incerto risco de viés, apresentando alta heterogeneidade e ausência de comparação direta entre todos os antimuscarínicos. Foram avaliados diversos desfechos relacionados com a IUU, assim como para os antimuscarínicos, sendo todos desfechos contínuos. A mirabegrona, de maneira geral, não se mostrou superior aos antimuscarínicos, e a solifenacina. Já em relação aos eventos adversos, a mirabegrona teve menos ocorrência de constipação, visão turva e boca seca. Após a apresentação das evidências científicas, o Plenário considerou as evidências existentes muito fracas e de baixa qualidade metodológica. O resultado dos estudos apresenta pouca relevância clínica, com a redução de um episódio de IUU ou menos. É uma condição que ocorre em qualquer idade, acometendo principalmente pessoas idosas. Em um cenário em que a população brasileira envelhece cada vez mais, isso tem um impacto prospectivo muito grande. Além disso, pode ocasionar uma frustração ao paciente, que receberá um tratamento, mas não terá resolução da sua condição, além de ter eventos adversos significativos e difíceis de serem controlados, especialmente na população idosa. O custo foi alto para o baixo benefício apresentado. Foi considerado também que atualmente existem no SUS opções não farmacológicas, como fisioterapia e cirurgias, além das fraldas no Programa Farmácia Popular.

Recomendação: Os membros do plenário deliberaram, por unanimidade, encaminhar o tema para consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação da mirabegrona para incontinência urinária de urgência no SUS.

Informe: Fórmula isenta de metionina e rica em cisteína para homocistinúria clássica e ampliação do teste do pezinho

Inicialmente foi contextualizado o andamento da demanda pela incorporação da fórmula metabólica isenta em metionina (FMIM). Trata-se de demanda interna da área técnica do Ministério da Saúde, que considerou a homocistinúria como doença prioritária para a elaboração de um PCDT. O Relatório técnico foi apreciado inicialmente pela Conitec, na 67ª Reunião, realizada nos dias 13 e 14 de junho de 2018, tendo sido encaminhado para CP com recomendação preliminar desfavorável à incorporação ao SUS. Após retorno da CP, na 70ª Reunião, ocorrida nos dias em 29 e 30 de agosto de 2018, o Plenário deliberou por sobrestar a análise do tema e solicitou ao grupo elaborador a avaliação da possibilidade de ampliação da triagem neonatal no SUS, de forma a contemplar o teste para homocistinúria. Essa abordagem se deu devido às evidências científicas disponíveis na literatura indicarem que a fórmula isenta de metionina e rica em cisteína para homocistinúria clássica e ampliação do teste do pezinho apresenta maiores benefícios em pacientes diagnosticados precocemente. Em seguida o grupo elaborador do PCDT do HAOC, instituição parceira da Conitec, apresentou uma Nota Técnica sobre a avaliação dessa ampliação do teste do pezinho. Foram apresentados os principais aspectos do diagnóstico precoce, cujo objetivo é modificar a história natural das doenças que são graves, mas potencialmente tratáveis e cujo sucesso do tratamento depende

da realização do mesmo em uma fase pré-clínica, e que a introdução de um novo teste na triagem neonatal deve estar condicionado à disponibilização imediata do tratamento. Atualmente os estados realizam na triagem neonatal os testes para fenilcetonúria, hipotireoidismo, doença falciforme, fibrose cística, hiperplasia adrenal congênita e deficiência de biotinidase. Após discussão, o Plenário considerou que a avaliação sobre a inclusão de novos testes na triagem neonatal necessita de uma abordagem mais ampla, no âmbito do Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN). **Recomendação:** Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade, recomendar a incorporação ao SUS da fórmula metabólica isenta de metionina para homocistinúria clássica, conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde.

Informações adicionais: Meias elásticas compressivas para pacientes com insuficiência venosa crônica classificação CEAP 5.

Foram apresentadas informações adicionais sobre o tema “meias elásticas compressivas para pacientes com insuficiência venosa crônica classificação CEAP 5”, solicitadas durante a 74ª reunião da Conitec, realizada nos dias 06 e 07 de fevereiro de 2019. Colaborador do Centro Colaborador do SUS para Avaliação de Tecnologias e Excelência em Saúde (CCATES), da Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), instituição parceira da Conitec, iniciou a apresentação informando que as principais modificações foram relacionadas à análise de impacto orçamentário. Na contextualização do tema, foi destacado que as úlceras venosas atingem cerca de 1% da população, podendo afetar até 2% das pessoas com mais de 80 anos e que as evidências indicaram que o uso de meias compressivas reduzem a recorrência da úlcera venosa em 25% a 77%, a depender do grau de compressão e da adesão do uso das meias. Os pacientes que já tiveram úlcera venosa e que têm um grau CEAP C5 têm a opção de usar as meias e ter uma menor probabilidade de recorrência. No caso de não utilização das meias, ocorre um aumento da probabilidade de recorrência e, conseqüentemente, dos custos relacionados ao tratamento. O cálculo do impacto orçamentário foi elaborado na perspectiva do SUS, com o horizonte temporal de 05 (cinco) anos avaliando dois cenários. Foram destacadas entre as limitações da análise de impacto orçamentário a utilização de estimativas epidemiológicas baseadas em um pequeno número de estudos internacionais e de não contemplar a possibilidade de haver baixa adesão, mal-uso ou sub-utilização da tecnologia pela população-alvo, devido ao perfil sociodemográfico da população brasileira no contexto da úlcera venosa (UV). O colaborador do CCATES reforçou que os estudos mostraram que a alta compressão possui realmente maior eficácia, mas que, por outro lado, conta com menor adesão. **Recomendação:** Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade, encaminhar o tema para consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação das meias elásticas compressivas para pacientes com insuficiência venosa crônica

classificação CEAP 5 no SUS, considerando as questões apresentadas sobre o impacto orçamentário e a forma de adesão ao produto.

Ocrelizumabe no tratamento da esclerose múltipla primária progressiva (EMPP)

Trata-se da apresentação das contribuições à consulta pública nº 09/2019, acerca da análise de incorporação ao SUS do ocrelizumabe no tratamento da esclerose múltipla primária progressiva. A consulta pública foi disponibilizada no período de 22 de fevereiro a 13 de março de 2019, tendo sido recebidas 505 (quinhentas e cinco) contribuições, sendo 358 (trezentas e cinquenta e oito) de experiência ou opinião e 147 (cento e quarenta e sete) contribuições técnico-científicas. Com relação às contribuições do formulário de experiência ou opinião, a grande maioria (92%) discordou totalmente da recomendação preliminar da Conitec. Quanto às contribuições técnico-científicas, observou-se que a maioria (95%) discordou totalmente da recomendação da Conitec. O demandante apresentou durante a consulta pública uma análise entre a população geral e a população tratada com ocrelizumabe, mas as características da população com a EMPP apresentada na análise era muito diferente das características da população geral com a EMPP. Após explicações técnicas, o Plenário discutiu sobre a submissão da tecnologia, evidências de subgrupo e protocolo vigente, que tem como critérios a exclusão de pacientes com EMPP. O Plenário então ressaltou a necessidade de incluir na conclusão do relatório a apresentação de novas evidências sobre a tecnologia apreciada. **Recomendação:** Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade, recomendar a não incorporação ao SUS do ocrelizumabe no tratamento da esclerose múltipla primária progressiva.

Ocrelizumabe no tratamento das formas recorrentes de esclerose múltipla (EMR)

Trata-se da apresentação das contribuições à consulta pública nº 10/2019, acerca da solicitação de incorporação ao SUS do ocrelizumabe no tratamento das formas recorrentes de esclerose múltipla. Colaborador do CCATES, da UFMG, instituição parceira da Conitec, iniciou a apresentação lembrando os aspectos clínicos da doença e fez uma breve contextualização das informações contidas no Relatório Técnico. A consulta pública foi disponibilizada no período de 22 de fevereiro a 13 de março de 2019 e foram recebidas 797 (setecentas e noventa e sete) contribuições, sendo 499 (quatrocentas e noventa e nove) de experiência ou opinião e 298 (duzentas e noventa e oito) técnico-científicos. Das contribuições de experiência ou opinião, 17 (dezessete) concordaram totalmente com a recomendação preliminar da Conitec, 2 (duas) concordaram parcialmente, 14 (catorze) discordaram parcialmente e a maioria, 467 (quatrocentas e sessenta e sete), discordaram totalmente da recomendação preliminar da Comissão. Em seguida foram apresentados comentários sobre a avaliação econômica e o impacto orçamentário que mostrou uma economia com uma possível incorporação do ocrelizumabe. Foi apresentada a contribuição

da empresa demandante, mencionando a necessidade de implantação de novas terapias de alta eficácia e com melhor perfil de segurança para a quarta linha de tratamento com nova proposta de preço para a incorporação do medicamento. Após apresentação das contribuições recebidas durante a consulta pública, o Plenário discutiu sobre o tema e houve questionamentos quanto aos impostos embutidos no custo do medicamento. Desta forma, percebeu-se que o preço proposto pelo demandante para a incorporação da tecnologia ao SUS não se justifica diante dos possíveis benefícios, pois os resultados dos estudos que avaliaram o ocrelizumabe não demonstraram superioridade quando comparado ao natalizumabe.

Recomendação: Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade, recomendar a não incorporação do ocrelizumabe no tratamento das formas recorrentes de esclerose múltipla no SUS.

Nusinersena para atrofia muscular espinhal 5q

Trata-se da apresentação das contribuições à consulta pública nº 12/2019, acerca da solicitação de incorporação do nusinersena para atrofia muscular espinhal 5q no SUS. A CP foi disponibilizada no período de 19 a 28 de março de 2019 e foram recebidas, no geral, 41.787 (quarenta e uma mil setecentos e oitenta e sete) contribuições, sendo 494 (quatrocentas e noventa e quatro) pelo formulário para contribuições técnico-científicas e 41.293 (quarenta e uma mil e duzentos e noventa e três) pelo formulário de experiência ou opinião. Das contribuições sobre experiência ou opinião, observou-se que 1.621 (mil seiscentas e vinte e uma) se manifestaram contrárias à recomendação preliminar da Conitec. Destas, 800 discordaram parcialmente e 821 discordaram totalmente. Ressalta-se que 39.627 das contribuições concordaram com a recomendação preliminar, sendo que 26.767 concordaram parcialmente e 12.905 concordaram totalmente com a recomendação preliminar da Conitec. Quanto às contribuições técnico-científicas, 28 (vinte e oito) discordaram totalmente, 12 (doze) discordaram parcialmente, 110 (cento e dez) concordaram totalmente e 344 (trezentas e quarenta e quatro) concordaram parcialmente com a recomendação preliminar da Conitec. Ressalta-se que, apesar do grande número de contribuições, não foram identificadas novas evidências científicas pela equipe técnica que fez a análise das contribuições, não alterando, assim, a recomendação inicial da Comissão. Como a demanda foi para incorporação do nusinersena para atrofia muscular espinhal 5q, sem tipificação, o Plenário considerou que, caso sejam apresentadas evidências adicionais sobre eficácia, efetividade e segurança do nusinersena para tratamento dos tipos II e III de AME 5q, o tema poderá ser reavaliado. Desta forma, o Plenário recomendou a incorporação do nusinersena somente para AME 5q tipo I conforme condicionantes descritas na recomendação a seguir. **Recomendação:** Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade, recomendar a incorporação ao SUS do nusinersena para AME 5q tipo I, para pacientes com diagnóstico genético confirmatório que não estejam em ventilação mecânica invasiva permanente contínua (24 horas por dia). O atendimento dos pacientes deverá ser realizado em centros de referência, com a



disponibilização de cuidados multidisciplinares, mediante Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (com estabelecimento de critérios de inclusão, exclusão e interrupção) do Ministério da Saúde; avaliação da efetividade clínica; reavaliação pela Conitec em 03 (três) anos; e negociação de preço com a empresa fabricante do medicamento.