

RELATÓRIO PÚBLICO DE AVALIAÇÃO PRÉVIA DO MEDICAMENTO EM MEIO HOSPITALAR

DCI – Nusinersen

N.º Registo	Nome Comercial	Apresentação/Forma Farmacêutica/Dosagem	Titular de AIM
5719661	Spinraza	Frasco para injetáveis com solução injetável a 12 mg/5 ml	Biogen Idec, Ltd.

Data de autorização: 20/12/2018

Estatuto quanto à dispensa: Medicamento Sujeito a Receita Médica Restrita alínea a) do Artigo 118º do Decreto-Lei n.º 176/2006, de 30 de agosto

Medicamento órfão: Sim Não

Classificação Farmacoterapêutica: 2.13.2 - Medicamentos utilizados no tratamento sintomático da doença do neurónio motor

Indicações terapêuticas constantes do RCM: Spinraza é indicado para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5q

Indicações terapêuticas para as quais foi solicitada avaliação: todas as indicações aprovadas (vide secção anterior).

Indicações terapêuticas para as quais esta avaliação é válida: Spinraza é indicado para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (SMA) 5q, nos doentes com SMA tipo I, II e III.

Nota 1: algumas informações respeitantes ao medicamento podem ser revistas periodicamente. Para informação atualizada, consultar [Infomed](#).

Nota 2: os preços foram comunicados aos Hospitais do Serviço Nacional de Saúde.

1. CONCLUSÕES DA AVALIAÇÃO

O Spinraza (nusinersen) deu prova de benefício adicional para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5q. Na avaliação económica, os valores custo-efetividade incrementais associados à introdução do medicamento Spinraza no arsenal terapêutico, assim como os resultados do impacto orçamental, foram considerados aceitáveis, depois de negociadas condições para utilização pelos hospitais e entidades do SNS, tendo em atenção as características específicas do medicamento e da doença em causa.

2. AVALIAÇÃO FARMACOTERAPÊUTICA

Propriedades farmacológicas	O nusinersen é um 2'-O-metoxietil oligonucleotido antisense que estimula o gene de sobrevivência do neurónio motor 2 (SMN2), aumentando os níveis da proteína SMN. O gene SMN2 também codifica a proteína SMN, mas cuja produção de proteína SMN funcional é apenas 5 a 10% da produção do gene SMN1. Os resultados obtidos nos ensaios clínicos efetuados no contexto do pedido de AIM demonstram a existência de benefícios relacionados com o tratamento com nusinersen, e atendendo à inexistência de alternativas específicas para Atrofia Muscular Espinhal (SMA) aprovadas, pode-se considerar que o nusinersen vem preencher uma lacuna terapêutica no tratamento da SMA.
------------------------------------	---

	Para informação adicional sobre o perfil farmacológico e farmacocinético, consultar o RCM disponível no Infomed .
Comparador selecionado	Melhores cuidados de suporte
Valor terapêutico acrescentado	<p>Existe demonstração de que o nusinersen apresenta benefício adicional major na população com SMA tipo I, e benefício adicional não quantificável nas populações com SMA tipo II e III.</p> <p>Esta conclusão baseia-se nos seguintes factos:</p> <ul style="list-style-type: none"> Um estudo de fase 3, randomizado, em dupla ocultação, <i>sham-controlled</i>, que incluiu 122 crianças com idade igual ou inferior a 7 meses, com atrofia muscular espinhal, que foram aleatorizados, numa relação de 2:1, para receberem nusinersen intratecal ou terapêutica <i>sham</i> (n=41), mostrou que o nusinersen aumentou a sobrevivência, reduziu a necessidade de ventilação mecânica, e melhorou a função motora. Um estudo de fase 3, randomizado, em dupla ocultação, <i>sham-controlled</i>, que incluiu 126 crianças com idades entre os 2 e os 12 anos, com atrofia muscular espinhal, com início dos sintomas após os 6 meses de idade, que foram aleatorizados, numa relação de 2:1, para receberem nusinersen intratecal ou terapêutica <i>sham</i> (n=42), mostrou que o nusinersen melhorou a função motora.

3. AVALIAÇÃO ECONÓMICA:

Termos de comparação	<p>Nusinersen vs. Melhores cuidados de suporte.</p> <p>As medidas de consequências principais foram os anos de vida ganhos e anos de vida ajustados pela qualidade.</p>
Tipo de análise	Análise de custo-efetividade e custo-utilidade
Vantagem económica	De acordo com as conclusões farmacoterapêutica e farmacoeconómica, e atendendo aos resultados de custo efetividade incremental e do impacto orçamental, que foram considerados aceitáveis, depois de negociadas condições para utilização pelos hospitais e entidades do SNS, tendo em atenção as características específicas dos medicamentos e da doença em causa, admite-se a utilização do medicamento em meio hospitalar.

4. CONDIÇÕES CONTRATUAIS

O acesso do medicamento ao mercado hospitalar foi objeto de um contrato entre o INFARMED, I.P. e o representante do titular de AIM, ao abrigo do disposto no artigo 6.º do Decreto-Lei n.º 97/2015, de 1 de

junho, na sua redação atual.

5. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

1. Resumo das características do medicamento e seus comparadores