

RELATÓRIO PÚBLICO DE AVALIAÇÃO

EVRYSDI (RISDIPLAM)

Tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) 5q, em doentes com idade inferior a 2 meses de idade com o diagnóstico clínico de AME do Tipo 1, Tipo 2 ou Tipo 3 ou com uma a quatro cópias SMN2

Avaliação do financiamento ao abrigo do Decreto-Lei n.º 97/2015, de 1 de junho, na sua redação atual.

19/12/2024

Evrysdi (risdiplam)

DATA DA DECISÃO DE DEFERIMENTO: 12/12/2024

CARACTERÍSTICAS DO MEDICAMENTO:

DCI (denominação comum internacional): Risdiplam

Nome do medicamento: Evrysdi

Apresentação(ões): 1 Unidade, Pó para solução oral, 60 mg, nº registo 5813514

Titular da AIM: Roche Registration GmbH

SUMÁRIO DA AVALIAÇÃO

INDICAÇÃO TERAPÊUTICA FINANCIADA: Tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) 5q, em doentes com idade inferior a 2 meses de idade com o diagnóstico clínico de AME do Tipo 1, Tipo 2 ou Tipo 3 ou com uma a quatro cópias SMN2.

RESUMO DA AVALIAÇÃO FARMACOTERAPÊUTICA:

O medicamento Evrysdi (risdiplam) foi sujeito a avaliação para efeitos de financiamento público para tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) 5q, em doentes com idade inferior a 2 meses de idade com o diagnóstico clínico de AME do Tipo 1, Tipo 2 ou Tipo 3 ou com uma a quatro cópias SMN2.

Face às alternativas disponíveis, nusinersen e onasemnogene abeparvovec, risdiplam não demonstrou benefício adicional. Contudo, recomenda-se o seu financiamento, pela utilidade do fármaco.

RESUMO DA AVALIAÇÃO ECONÓMICA:

De acordo com as conclusões farmacoterapêutica e farmacoeconómica, e do impacto orçamental, 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, admite-se a utilização do medicamento em meio hospitalar.

1. Valor terapêutico acrescentado

Foi avaliado o benefício adicional de risdiplam no *tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) 5q, em doentes com idade inferior a 2 meses, com o diagnóstico clínico de AME do Tipo 1, Tipo 2 ou Tipo 3 ou com uma a quatro cópias SMN2.*

Concluiu-se que não foi demonstrado benefício adicional de risdiplam em relação a nusinersen ou onasemnogene abeparvovec, as alternativas atualmente disponíveis. Contudo, considerando a utilidade do fármaco, recomenda-se o seu financiamento, ao abrigo do art. 25.º, n.º 9, alínea a) do Decreto-Lei n.º 97/2015, de 1 de junho, na sua redação atual.

Esta conclusão baseou-se nos seguintes factos:

Na população com atrofia muscular espinhal (AME) 5q, em doentes com idade igual ou superior a 2 meses, com o diagnóstico clínico de AME do Tipo 1, Tipo 2 ou Tipo 3 ou com uma a quatro cópias SMN2 foi considerado que o conjunto da evidência era insuficiente para demonstrar valor terapêutico acrescentado de risdiplam, em comparação com onasemnogene abeparvovec ou nusinersen, mas que era suficiente para mostrar a utilidade do fármaco, pelo que se recomendava o seu financiamento, ao abrigo do art. 25.º, n.º 9, alínea a) do Decreto-Lei n.º 97/2015, de 1 de junho, na sua redação atual.

Em termos gerais, não existe nenhum motivo para se concluir de forma diferente em relação à população com menos de 2 meses de idade.

Embora o estudo RAINBOWFISH (BN40703) tenha incluído apenas doentes assintomáticos, considera-se que não existem motivos para pensar que o benefício do tratamento com risdiplam na subpopulação de doentes com menos de 2 anos sintomáticos, possa ser diferente do observado na subpopulação de doentes com menos de 2 anos assintomáticos.

2. Avaliação económica

Trata-se de uma extensão de indicação terapêutica para o tratamento da atrofia muscular espinhal que abrange os doentes com idades inferiores a 2 meses.

A avaliação económica considerou uma avaliação do impacto orçamental para o SNS.

3. Conclusões

Foi avaliado o benefício adicional de risdiplam no *tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) 5q, em doentes com idade inferior a 2 meses, com o diagnóstico clínico de AME do Tipo 1, Tipo 2 ou Tipo 3 ou com uma a quatro cópias SMN2.*

De acordo com os resultados da avaliação farmacoterapêutica e da avaliação económica, e após análise do impacto orçamental para o SNS, tendo em atenção as características específicas do medicamento e da doença em causa, admite-se a utilização do medicamento em meio hospitalar.

A utilização do medicamento pelos hospitais do SNS 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.