



## CÂMARA DOS DEPUTADOS

### REQUERIMENTO DE INFORMAÇÃO Nº DE 2020 (Do Sr. Eli Borges)

Requer informações ao Ministro da Saúde, Sr. Eduardo Pazuello, sobre o andamento do processo de liberação do medicamento Zolgensma (terapia genética para tratamento da Atrofia Muscular Espinal - AME) no Brasil, juntamente com um cronograma para a realização das etapas ainda não concluídas. Bem como, solicitamos informação a respeito da existência de estudos em andamento que avaliem a possibilidade de incorporação do medicamento ao Sistema Único de Saúde (SUS).

Senhor Presidente,

Nos termos do art. 50, § 2º, da Carta Magna e do art. 226, II, cumulado com o art. 116 e 115, I, do Regimento Interno da Câmara dos Deputados (RICD), proponho requerimento de informação ao **Ministro da Saúde, Sr. Eduardo Pazuello**, para que o Ministro disponibilize à esta casa legislativa informações sobre o andamento do processo de liberação do medicamento Zolgensma (terapia genética para tratamento da Atrofia Muscular Espinal - AME) no Brasil, juntamente com um cronograma para a realização das etapas ainda não concluídas. Bem como, solicitamos informação a respeito da existência de estudos em andamento que avaliem a possibilidade de incorporação do medicamento ao Sistema Único de Saúde (SUS).



\* C D 2 0 0 1 8 3 1 3 4 0 0 \*



## CÂMARA DOS DEPUTADOS

### JUSTIFICATIVA

Tem se multiplicado no país os casos de famílias desesperadas e comunidades inteiras mobilizando-se para tentar salvar a vida de crianças portadores de Atrofia Muscular Espinal (AME), uma doença neurodegenerativa rara que, em casos graves, pode provocar a morte dos portadores em poucos meses após o diagnóstico, se não lhe for concedido tratamento adequado e imediato.

A AME é uma doença neurodegenerativa com herança genética autossômica recessiva, que interfere na capacidade do corpo de produzir uma proteína essencial para a sobrevivência dos neurônios motores (maioria dos casos por mutação no gene SMN1)<sup>1</sup>. Assim, à medida que os neurônios motores morrem, devido à falta da proteína, os sinais e sintomas da doença se agravam e podem levar os pacientes à morte, pois esses neurônios são responsáveis por funções vitais simples do corpo, como respirar, engolir e se mover<sup>2</sup>.

Estudos estimam que no Brasil, em média, uma em cada 37 pessoas seja portadora do alelo SMN1 alterado, o que é uma frequência relativamente alta. Contudo, para apresentar os sintomas da doença, os indivíduos devem possuir dois alelos SMN1 com alteração, um proveniente do pai e outro da mãe, o que faz com que a doença tenha incidência aproximada de um para cada 10 mil nascidos vivos e prevalência de 1 para cada 100 mil habitantes<sup>3</sup>.

As principais consequências da doença são a perda do controle e da força muscular; a incapacidade/dificuldade de movimentos e de locomoção; a incapacidade/dificuldade de engolir; a incapacidade/dificuldade de segurar a cabeça e a incapacidade/dificuldade de respirar<sup>4</sup>.

---

1 BAIONI, M. T. C.; AMBIEL, C. R. *Jornal de Pediatria*, 2010, v. 86, n.4, p. 261-270. Disponível em: <<http://www.jped.com.br/conteudo/10-86-04-261/port.asp>> Acesso em: 30/06/2020.

2 MINISTÉRIO DA SAÚDE. Atrofia Muscular Espinal (AME): o que é, causas, sintomas, tratamento e diagnóstico. Disponível em: <<https://saude.gov.br/saude-de-a-z/atrofia-muscular-espinhal-ame>> Acesso em: 30/06/2020.

3 ARAUJO, A. P. Q. C *et al.* Guia de discussão sobre Atrofia Muscular Espinal (AMW) no Brasil: trabalhando hoje para mudar o amanhã. Disponível em: <[https://br.biogen.com/content/dam/corporate/pt\\_BR/refresh\\_images/Livro\\_Brasil\\_novembro2019.pdf](https://br.biogen.com/content/dam/corporate/pt_BR/refresh_images/Livro_Brasil_novembro2019.pdf)>

4 MINISTÉRIO DA SAÚDE. Atrofia Muscular Espinal (AME): o que é, causas, sintomas, tratamento e diagnóstico. Disponível em: <<https://saude.gov.br/saude-de-a-z/atrofia-muscular-espinhal-ame>> Acesso em: 30/06/2020.





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

A AME pode ser classificada em quatro tipos, de acordo com a idade de início da doença e a máxima função motora adquirida<sup>5</sup>:

**A AME tipo I** é a mais severa, tem início precoce (de 0 a 6 meses de idade), por volta de 1 ano de idade as crianças não são mais capazes de engolir e se alimentar. A média de sobrevida é de 7 meses, com mortalidade de 95% até os 18 meses de vida

**A AME tipo II** tem início dos sintomas entre 6 e 18 meses de vida e a evolução dos sintomas é um pouco mais lenta. O atraso motor o sinal mais evidente que levam o pais a procurarem ajuda médica, os pacientes não adquirem a habilidade de andar. A sobrevida varia de dois anos à terceira década de vida, e o óbito ocorre devido a complicações respiratórias.<sup>6</sup>

**A AME tipo III (AME juvenil)** aparece após os 18 meses, em geral, após a primeira década de vida ocorre a perda da capacidade de andar. Apesar de evoluir com menor intensidade, observa-se progressiva piora no quadro motor, com sobrevida normal.

**AME tipo IV**, os sintomas têm início a partir dos 30 anos, os pacientes possuem uma expectativa de vida normal, com quadro clínico semelhante ao tipo 3.

O único medicamento registrado no Brasil para o tratamento da AME é o Nusinersena (Spinraza) e as pesquisas têm demonstrado a eficácia do medicamento na interrupção da evolução da AME. O Spinraza foi incorporado ao Sistema Único de Saúde (SUS) em abril de 2019, para tratamento do Tipo 1 da AME. Para os tipos 2 e 3 da doença, a medicação é disponibilizada apenas na modalidade compartilhamento de risco, em que o governo fornece a medicação apenas se houver comprovação da melhora no quadro de saúde do paciente<sup>7</sup>.

---

<sup>5</sup> Sociedade Brasileira de Genética Médica e Academia Brasileira de Neurologia. *Amiotrofia Espinhal: Diagnóstico e Aconselhamento Genético*. Disponível em: <[https://diretrizes.amb.org.br/\\_BibliotecaAntiga/amiotrofia\\_espinhal\\_diagnostico\\_e\\_aconselhamento\\_genetico.pdf](https://diretrizes.amb.org.br/_BibliotecaAntiga/amiotrofia_espinhal_diagnostico_e_aconselhamento_genetico.pdf)>

<sup>6</sup> Sociedade Brasileira de Genética Médica e Academia Brasileira de Neurologia. *Amiotrofia Espinhal: Diagnóstico e Aconselhamento Genético*. Disponível em: <[https://diretrizes.amb.org.br/\\_BibliotecaAntiga/amiotrofia\\_espinhal\\_diagnostico\\_e\\_aconselhamento\\_genetico.pdf](https://diretrizes.amb.org.br/_BibliotecaAntiga/amiotrofia_espinhal_diagnostico_e_aconselhamento_genetico.pdf)>

<sup>7</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Atrofia Muscular Espinhal (AME): o que é, causas, sintomas, tratamento e diagnóstico. Disponível em: <<https://saude.gov.br/saude-de-a-z/atrofia-muscular-espinhal-ame>> Acesso em: 30/06/2020.





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

Por outro lado, no início de 2019, o *Food and Drug Administration* (FDA), agência federal responsável pela aprovação de medicamentos nos Estados Unidos, aprovou uma nova medicação, chamada Zolgensma, para tratamento de crianças portadoras de Atrofia Muscular Espinal que tenham menos de dois anos de idade<sup>8</sup>. No primeiro semestre de 2020 a medicação foi aprovada no Japão, nos 27 estados membros da União Europeia, bem como na Islândia, Noruega, Liechtenstein e Reino Unido<sup>9</sup>.

O Zolgensma<sup>10</sup> é um tratamento revolucionário sem precedentes para tratamento da AME, por tratar-se de uma terapia genética projetada para atingir a raiz da doença, substituindo o gene ausente ou não útil (SMN1) por uma nova cópia de um gene SMN que funciona. A medicação consiste em uma suspensão para infusão intravenosa em uma única dose, criada para manter os efeitos a longo prazo<sup>11</sup>, o que a faz diferir da Spinraza, que precisa de constantes aplicações ao longo dos anos.

Nesse sentido, nota-se que, apesar de a ANVISA ter estabelecido, por meio da Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) 205/2017<sup>12</sup>, procedimento especial para a aprovação de medicamentos para doenças raras, e do medicamento ter sido aprovado em diversos países do mundo, o medicamento ainda não foi aprovado no Brasil, o que faz toda a diferença para crianças cuja vida depende de uma verdadeira corrida contra o tempo. Ressalta-se que a aprovação do Zolgensma é um marco significativo para a comunidade que sofre de AME, trazendo uma nova esperança para os afetados por essa doença rara, mas devastadora.

De acordo com os resultados dos testes realizados, 24 meses após o tratamento, 100% dos pacientes que receberam a dose adequada do medicamento Zolgensma estavam vivos e não precisaram de suporte respiratório permanente,

8 Food and Drug Administration (FDA). Zolgensma. Disponível em: <<https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/zolgensma>>

9 NOVARTIS. AveXis receives EC approval and activates “day one” access program for Zolgensma®, the only gene therapy for spinal muscular atrophy (SMA). Disponível em: <<https://www.avexis.com/Content/pdf/avexis-receives-ec-approval-for-zolgensma.pdf>> Acesso em: 02/07/20

10 O Zolgensma baseia-se em vetores virais adeno-associados. O ingrediente ativo é um vetor auto-complementar recombinante, cujo DNA contém um transgene que codifica a proteína do neurônio motor de sobrevivência humana (SMN).

11 ZOLGENSMA targets the genetic root cause of SMA. Disponível em: <<https://www.zolgensma.com/how-zolgensma-works#video>> Acesso em: 01/07/20.

12 Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) 205/2017. Disponível em: <[http://portal.anvisa.gov.br/documents/10181/2718376/RDC\\_205\\_2017\\_COMP.pdf/438fc44c-09b6-4683-80f5-fcccb64ffe1](http://portal.anvisa.gov.br/documents/10181/2718376/RDC_205_2017_COMP.pdf/438fc44c-09b6-4683-80f5-fcccb64ffe1)>. Acesso em: 01/07/20





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

75% eram capazes de se sentar sem ajuda e 17% podiam até mesmo ficar de pé e andar sem ajuda. Enquanto isso, pacientes que não recebem a intervenção não adquirem a capacidade de se sentar ou andar e apenas 25% deles permanecem vivos aos 14 meses de idade sem suporte respiratório permanente<sup>13</sup>. Desta maneira, percebe-se que a medicação tem valor clínico substancial como a única terapia genética para o tratamento da AME.

Todavia, como a utilização do medicamento tem um prazo de validade, podendo ser aplicado apenas em crianças menores de 2 anos de idade, tem sido grande a agonia de inúmeras famílias que lutam pela sobrevivência de suas crianças e, devido aos excelentes resultados da medicação em pacientes graves, sonham que seus filhos possam levar uma vida o mais “normal possível”.

Por outro lado, o custo do Zolgensma, estimado em 2 milhões de dólares, tem se levantado como um grande impeditivo que dificulta o acesso das crianças com AME ao tratamento. Desta forma, as vaquinhas online que buscam levantar cifras milionárias para custear o medicamento têm se multiplicado no país. Todavia, não estamos falando em milhares, mas em milhões de reais, o que torna muito difícil o alcance das metas, mesmo com a adesão de famosos e *influencers* às campanhas.

O laboratório Novartis, detentor da patente do Zolgensma, defende que o custo do tratamento com dose única do Zolgensma é 50% mais barato do que o custo da terapia com o Spinraza ao longo de dez anos, que teria um valor aproximado de 4,2 milhões de dólares. A empresa também alega que está trabalhando com as seguradoras para definir formas de pagamento “inovadoras” para o tratamento<sup>14</sup>.

Nesse sentido, solicitamos que o Poder Executivo, por meio do Ministério da Saúde e da ANVISA, encaminhe à Câmara dos Deputados informações sobre o andamento do processo de liberação para a liberação do medicamento Zolgensma no Brasil, juntamente com um cronograma para a realização das etapas ainda não concluídas e as notas técnicas, pareceres e demais

<sup>13</sup>OVERVIEW of the ZOLGENSMA clinical studies. Disponível em: <<https://www.zolgensma.com/clinical-studies>>

<sup>14</sup>CECCON, M. Saiba qual é o remédio mais caro do mundo e o que ele trata. 30/05/2019. Disponível em:

<<https://www.gazetadopovo.com.br/viver-bem/saude-e-bem-estar/saiba-qual-e-o-remedio-mais-caro-do-mundo-e-o-que-ele-trata/>>





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

documentos constantes do processo. Bem como, solicitamos informação a respeito da existência de estudos em andamento que avaliem o custo-benefício da incorporação do medicamento ao Sistema Único de Saúde (SUS).

Por fim, dada a sensibilidade e importância da questão, solicitamos aos pares desta comissão a aprovação do envio do presente requerimento de informações.

Sala das Sessões, de 2020

**Dep. Eli Borges  
Solidariedade/TO**

Documento eletrônico assinado por Eli Borges (SOLIDARIEDADE/TO), através do ponto SDR\_5603, na forma do art. 102, § 1º, do RICD c/c o art. 2º, do Ato da Mesa n. 80 de 2016.



\* C D 2 0 0 1 8 3 1 3 3 4 0 0 \*