



Ministério da Saúde
Gabinete do Ministro
Assessoria Parlamentar

OFÍCIO Nº 3308/2020/ASPAR/GM/MS

Brasília, 29 de junho de 2020.

A Sua Excelência a Senhora
SORAYA SANTOS
Deputada
Primeira-Secretária
Edifício Principal, sala 27
Câmara dos Deputados
70160-900 Brasília - DF

Assunto: **Projeto piloto de acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde para oferecer acesso ao medicamento Spinraza (Nusinersena) para o tratamento de Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III.**

Senhora Primeira-Secretária,

Em resposta ao **Ofício 1ª Sec/RI/E/nº 1277/2020**, referente ao **Requerimento de Informação nº 554, de 24 de junho de 2020**, encaminho as informações prestadas pelo órgão técnico deste Ministério.

Atenciosamente,

EDUARDO PAZUELLO
Ministro de Estado da Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Eduardo Pazuello, Ministro de Estado da Saúde, Interino**, em 17/07/2020, às 14:37, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. 6º, § 1º, do Decreto nº 8.539, de 8 de outubro de 2015; e art. 8º, da Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0015500915** e o código CRC **366635ED**.



Ministério da Saúde
Gabinete do Ministro
Assessoria Parlamentar

DESPACHO

ASPAR/GM/MS

Brasília, 29 de junho de 2020.

Ao Gabinete do Ministro

Assunto: RIC nº 554/2020 - Informações a respeito do projeto piloto de acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde para oferecer acesso ao medicamento Spinraza (Nusinersena) para o tratamento de Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III.

1. Trata-se de **Requerimento de Informação nº 544/2020** (0015107629), de autoria do Deputado Federal Felipe Rigoni, por meio do qual solicita informações, ao Ministro de Estado da Saúde, a respeito do projeto piloto de acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde para oferecer acesso ao medicamento Spinraza (Nusinersena) para o tratamento de Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III.
2. Em resposta, encaminhem-se, para ciência e atendimento à solicitação da Primeira Secretaria da Câmara dos Deputados (0015497788), o **Despacho SCTIE/GAB/SCTIE/MS** (0015300369), acompanhado das **Notas Técnicas nº(s) 104/2020-CITEC/CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS** (0015257756), **16/2020-CGPCLIN/DECIT/SCTIE/MS** (0015275060) e o **Ofício-Circular nº 01/2020 SCTIE/MS - ACR** (0015257987), elaborados pela Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde - SCTIE/MS.

LEONARDO BATISTA SILVA
Chefe da Assessoria Parlamentar



Documento assinado eletronicamente por **Leonardo Batista Silva, Chefe da Assessoria Parlamentar**, em 15/07/2020, às 03:06, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. 6º, § 1º, do Decreto nº 8.539, de 8 de outubro de 2015; e art. 8º, da Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0015497763** e o código CRC **C1D0F6E8**.

Referência: Processo nº 25000.078207/2020-72

SEI nº 0015497763



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde
Gabinete

DESPACHO

SCTIE/GAB/SCTIE/MS

Brasília, 15 de junho de 2020.

URGENTE

Referência Sei: 0015107629 0015257756 0015275060.

Assunto: Análise do Requerimento nº 554/2020, de autoria do Deputado Felipe Rogoni.

Ciente do teor das Notas Técnicas nº(s) 104/2020-CITEC/CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS (0015257756) e 16/2020-CGPCLIN/DECIT/SCTIE/MS (0015275060) elaboradas no âmbito das áreas técnicas desta Secretaria, que tratam da análise do Requerimento de Informação nº 554/2020 (0015107629), de autoria do Deputado Felipe Rogoni, o qual solicita informações sobre o projeto piloto de acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde para oferecer acesso ao medicamento Spinraza (Nusinersena) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III.

Restitua-se à Assessoria Parlamentar (ASPAR/GM) para análise e providências pertinentes.

SANDRA DE CASTRO BARROS

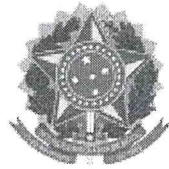
Secretária de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde - Substituta



Documento assinado eletronicamente por **Sandra de Castro Barros, Secretário(a) de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde, Substituto(a)**, em 16/06/2020, às 00:17, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. 6º, § 1º, do Decreto nº 8.539, de 8 de outubro de 2015; e art. 8º, da Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0015300369** e o código CRC **D57C78AF**.



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde
Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde
Coordenação-Geral de Gestão de Tecnologias em Saúde
Coordenação de Incorporação de Tecnologias

NOTA TÉCNICA Nº 104/2020-CITEC/CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS

ASSUNTO: Requerimento de Informação nº 554/2020 – Solicita informações sobre o projeto piloto do Acordo de Compartilhamento de Risco para incorporação de tecnologias em saúde para oferecer acesso ao medicamento nusinersena (Spinraza®) para o tratamento da atrofia muscular espinhal tipos II e III.

INTERESSADO: Câmara dos Deputados - Gabinete do Deputado Felipe Rogoni.

NUP: 25000.078207/2020-72.

I. OBJETIVO

Esta Nota Técnica tem por objetivo apresentar informações acerca do processo de incorporação do medicamento nusinersena no âmbito do Sistema Único de Saúde –SUS.

II. DOS FATOS

Trata-se do Requerimento de Informação nº 554/2020 (0015107629), registrado no Ministério da Saúde em 01/06/2019, no qual foram solicitadas informações quanto ao acordo de compartilhamento de risco para acesso ao medicamento nusinersena para tratamento da AME tipos II e III, *in verbis*:

“1) Qual o órgão que atualmente está analisando a proposta apresentada pela empresa farmacêutica Biogen Brasil para a efetivação do acordo de compartilhamento de risco cujo projeto piloto foi instituído pela Portaria GM/MS 1.297/2019;

2) Há quanto tempo o atual órgão está analisando o documento;

3) Quais outros órgãos que ainda precisam analisar o referido acordo;

4) O prazo previsto para a finalização da avaliação por este Ministério e a celebração do referido acordo;

5) O prazo para o início da distribuição do medicamento;

6) Quantos pacientes com AME tipos II e III já entraram em contato com o ministério para receber o medicamento.”

O assunto foi encaminhado ao Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde – DGITIS/SCTIE/MS, tendo em vista sua competência de atuar como Secretaria-Executiva da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde - Conitec^[1].

III. DA ANÁLISE

A Conitec analisou o fármaco nusinersena na 76ª reunião^[2], realizada nos dias 03 e 04/04/2019, tendo recomendado “[...] a incorporação no SUS do nusinersena para AME 5q tipo I, para pacientes com diagnóstico genético confirmatório que não estejam em ventilação mecânica invasiva permanente de modo ininterrupto. 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); avaliação da efetividade clínica; reavaliação pela CONITEC em 3 anos e negociação de preço com a empresa fabricante do medicamento. A CONITEC informa 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”. O Relatório de Recomendação nº 449^[3], contendo a deliberação final da Conitec, foi enviado ao Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde - SCTIE/MS, que a ratificou e publicou a Portaria SCTIE/MS nº 24^[4], de 24/04/2019, no Diário Oficial da União (DOU) nº 79, de 25/04/2019, Seção 1, pág. 52.

A referida portaria determinou que o atendimento aos pacientes deverá ser realizado em centros de referência, com a disponibilização de cuidados multidisciplinares, avaliação da efetividade clínica, conforme disciplinado no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - PCDT. Por oportuno, esclarece-se que o PCDT de AME tipo I^[5] foi publicado através da Portaria Conjunta nº 15^[6], de 22/10/2019, no DOU nº 206, de 23/10/2019, seção 1, pág. 47.

A Portaria GM nº 1.297, de 11/06/2019, instituiu o projeto piloto do Acordo de Compartilhamento de Risco – ACR, que permite a celebração de uma convenção entre o Estado e o laboratório em razão da incerteza quanto ao custo/efetividade do medicamento nusinersena para o tratamento da AME tipo II e III, em condições reais e à estimativa de consumo, considerando a quantidade de comprimidos/doses e o impacto orçamentário.

Conforme o Ofício Circular nº 1/2020/SCTIE/MS (0015257987), de 17/03/2020, a SCTIE/MS, com assessoramento da Consultoria Jurídica junto ao Ministério da Saúde – Conjur/MS, está atualmente concentrada na criação do ACR com a empresa Biogen, detentora do registro do medicamento nusinersena junto à Agência Nacional de Vigilância Sanitária – Anvisa, para a construção de uma diretriz que determine o objeto do ACR, vigência, preço, etapas de execução, critérios de elegibilidade e demais marcos.

Para garantir a transparência, confiabilidade e fornecer segurança jurídica para ambas as partes, o Acordo será operacionalizado por meio de contrato específico a ser celebrado entre o Ministério da Saúde e a Biogen, no âmbito do Departamento de Logística em Saúde – DLOG/SE/MS, contendo as principais cláusulas para servir como diretriz aos gestores para sua adoção.

Ainda nos termos do Ofício acima mencionado, informa-se que “[...] somente após assinatura dos instrumentos (ACR e Contrato), será iniciado o fornecimento do medicamento nusinersena aos portadores

de AME tipos II e III que preencherem os critérios de elegibilidade.”

Diante do exposto, verifica-se que a incorporação do fármaco nusinersena para o tratamento da AME tipo I foi recomendada pela Conitec e publicada por meio da Portaria nº 24, de 24/04/2019. No que se refere ao acesso para o tratamento da AME tipo II e III, a criação do ACR encontra-se em tramitação no âmbito da SCTIE, nos termos da Portaria GM nº 1.297/2019.

IV. DA DISPONIBILIZAÇÃO DE INFORMAÇÕES NA INTERNET

Importa ressaltar que as demandas, as consultas públicas e deliberações de matérias submetidas à apreciação da Conitec, bem como os relatórios técnicos e as decisões sobre incorporação de tecnologias no SUS, podem ser acompanhados por meio de acesso ao endereço eletrônico: <http://conitec.gov.br/>

V. CONCLUSÕES

Com base no apresentado nos itens anteriores, conclui-se:

1. a Conitec analisou o fármaco nusinersena na 76ª reunião, tendo recomendado a incorporação ao SUS do medicamento ao para AME 5q tipo I, para pacientes com diagnóstico genético confirmatório que não estejam em ventilação mecânica invasiva permanente de modo ininterrupto;
2. o relatório técnico foi enviado ao Secretário da SCTIE/MS, que ratificou a recomendação e publicou a Portaria SCTIE/MS nº 24, de 24/04/2019, no DOU nº 79, de 25/04/2019, Seção 1, pág. 52;
3. o PCDT de AME tipo I foi publicado através da Portaria Conjunta nº 15, de 22/10/2019, no DOU nº 206, de 23/10/2019, seção 1, pág. 47;
4. o Ministério da Saúde publicou a Portaria GM/MS nº 1.297, de 11/06/2019, que institui projeto piloto de Acordo de Compartilhamento de Risco para o acesso ao tratamento da AME tipo II e III;
5. a SCTIE/MS, com assessoramento da Conjur/MS, está atualmente concentrada na criação do ACR com a empresa Biogen, para a construção de uma diretriz que determine o objeto do acordo, vigência, preço, etapas de execução, critérios de elegibilidade e demais marcos;
6. o Acordo será operacionalizado por meio de contrato específico a ser celebrado entre o Ministério da Saúde e a Biogen, no âmbito do DLOG/SE/MS; e
7. após assinatura dos instrumentos (ACR e Contrato), será iniciado o fornecimento do medicamento nusinersena aos portadores de AME tipos II e III que preencherem os critérios de elegibilidade.

FABIANA RAYNAL FLORIANO
Coordenadora
CITEC/CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS

VANIA CRISTINA CANUTO SANTOS
Diretora

[1] Conforme estabelecem o parágrafo único, do art. 11, da Portaria GM/MS nº 2.009, de 13/09/2012, e os incisos IV e VII do art. 33, do Capítulo III, Seção I, Anexo I, do Decreto nº 9.795/2019 a Secretaria-Executiva da Conitec é exercida pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde – DGITIS/SCTIE/MS.

[2] http://conitec.gov.br/images/Reuniao_Conitec/2019/Ata_76Reuniao.pdf

[3] http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2019/Relelatorio_Nusinersena_AME5q_2019.pdf

[4] <http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2019/PortariaSCTIE-24.pdf>

[5] http://conitec.gov.br/images/Protocolos/Portaria_Conjunta_PCDT_Atrofia_Muscular_Espinhal_5q_Tipo-I.pdf

[6] http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2019/PortariaConjunta_SCTIE_SAS_15_2019.pdf



Documento assinado eletronicamente por **Vania Cristina Canuto Santos, Diretor(a) do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde**, em 12/06/2020, às 09:49, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. 6º, § 1º, do Decreto nº 8.539, de 8 de outubro de 2015; e art. 8º, da Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017.



Documento assinado eletronicamente por **Fabiana Raynal Floriano, Coordenador(a) de Incorporação de Tecnologias**, em 12/06/2020, às 10:18, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. 6º, § 1º, do Decreto nº 8.539, de 8 de outubro de 2015; e art. 8º, da Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0015257756** e o código CRC **F79A3774**.



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde
Departamento de Ciência e Tecnologia
Coordenação-Geral de Ações Estratégicas em Pesquisa Clínica

NOTA TÉCNICA Nº 16/2020-CGPCLIN/DECIT/SCTIE/MS

1. **ASSUNTO**

1.1. **Requerimento de Informação nº 554/2020 (0015107629)** – Solicita informações sobre o projeto piloto do Acordo de Compartilhamento de Risco para incorporação de tecnologias em saúde para oferecer acesso ao medicamento nusinersena (Spinraza®) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal tipos II e III.

2. **ANÁLISE**

2.1. Trata-se do Requerimento n. 554/2020 (0015107629), formalizado pelo Deputado Felipe Rigoni, no qual solicita a este Ministério informações sobre o projeto piloto de acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde para oferecer acesso ao medicamento Spinraza (Nusinersena) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III, e que especificamente informe:

“1) Qual o órgão que atualmente está analisando a proposta apresentada pela empresa farmacêutica Biogen Brasil para a efetivação do acordo de compartilhamento de risco cujo projeto piloto foi instituído pela Portaria GM/MS 1.297/2019;

2) Há quanto tempo o atual órgão está analisando o documento;

3) Quais outros órgãos que ainda precisam analisar o referido acordo;

4) O prazo previsto para a finalização da avaliação por este Ministério e a celebração do referido acordo;

5) O prazo para o início da distribuição do medicamento;

6) Quantos pacientes com AME tipos II e III já entraram em contato com o ministério para receber o medicamento.”

2.2. Em resposta ao referido pleito, o Departamento de Ciência e Tecnologia da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde (Decit/SCTIE/MS), presta os seguintes esclarecimentos:

2.3. A Portaria GM/MS nº 1.297/2019 institui projeto piloto de acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde e para oferecer acesso ao medicamento SPINRAZA (Nusinersena) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS.

2.4. No âmbito das competências da SCTIE, cabe ao Departamento de Ciência e Tecnologia (Decit) “coordenar e executar as ações do Ministério da Saúde no campo de pesquisa e desenvolvimento em saúde e articular-se intersetorialmente no âmbito do Sistema Nacional de Ciência e Tecnologia”, e em especial para os estudos necessários ao acordo de compartilhamento de risco, “coordenar a elaboração de pesquisas de efetividade comparativa”, conforme os incisos II e X, respectivamente, do Art. 32 do Decreto nº 9.795, de 17 de maio de 2019, que aprovou a estrutura regimental e o quadro demonstrativo dos cargos em comissões e das funções de confiança do MS.

2.5. A atuação do Decit/SCTIE/MS está restrita ao apoio à pesquisa que objetiva realizar o monitoramento dos pacientes e a avaliação dos desfechos clínicos, conforme indicado no art. 5º da Portaria nº 1.297, de 11 de junho de 2019. O projeto de pesquisa para pacientes em tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) Tipos II e III, está em fase de elaboração pela instituição responsável. Outras informações poderão ser encontradas no Ofício-Circular nº 01/2020 SCTIE/MS - ACR (0015257987).

2.6. Ademais, compete a este Departamento acompanhar e monitorar o desenvolvimento da pesquisa junto à instituição coordenadora. As evidências produzidas serão encaminhadas à Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) para reavaliação da incorporação do medicamento Spinraza (Nursinersena) para o tratamento da AME 5q, no âmbito de sua competência de assessorar o MS na incorporação de tecnologias no SUS, conforme disposto na Portaria GM/MS nº 1.297, de 11 de junho de 2019.

VANESSA THERUMI ASSAO
Consultora Técnica

PRISCILLA AZEVEDO SOUZA
Coordenadora-Geral de Ações Estratégicas em Pesquisa Clínica - Substituta

De acordo.

MAX NÓBREGA DE MENEZES COSTA
Diretor do Departamento de Ciência e Tecnologia - Substituto



Documento assinado eletronicamente por **Max Nóbrega de Menezes Costa, Diretor(a) do Departamento de Ciência e Tecnologia, Substituto(a)**, em 12/06/2020, às 16:19, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. 6º, § 1º, do Decreto nº 8.539, de 8 de outubro de 2015; e art. 8º, da Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017.



Documento assinado eletronicamente por **Priscilla Azevedo Souza, Coordenador(a)-Geral de Ações Estratégicas em Pesquisa Clínica, Substituto(a)**, em 12/06/2020, às 16:21, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. 6º, § 1º, do Decreto nº 8.539, de 8 de outubro de 2015; e art. 8º, da Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017.



Documento assinado eletronicamente por **Vanessa Therumi Assao, Consultor Técnico**, em 12/06/2020, às 16:23, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. 6º, § 1º, do Decreto nº 8.539, de 8 de outubro de 2015; e art. 8º, da Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017.

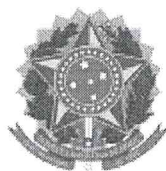


A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0015275060** e o código CRC **3D9ADF85**.

Referência: Processo nº 25000.078207/2020-72

SEI nº 0015275060

Coordenação-Geral de Ações Estratégicas em Pesquisa Clínica - CGPCLIN
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde

OFÍCIO CIRCULAR Nº 1/2020/SCTIE/MS

Brasília, 17 de março de 2020.

**À(o) Consultoria Jurídica do Ministério da Saúde – CONJUR/MS;
Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos – DAF/SCTIE;
Departamento de Ciência e Tecnologia – DECIT; e
Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde – DGITIS**

Assunto: Apresentação de informações atualizadas acerca do Acordo de Compartilhamento de Riscos para o fornecimento do medicamento Spinraza (Nusinersena) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) Tipos II e III.

Face o crescimento exponencial de demandas judiciais e administrativas no intuito de obter subsídios acerca da situação atual do Acordo de Compartilhamento de Riscos, instituído pela Portaria GM/MS nº. 1.297/2019, identificou-se a necessidade de apresentar informações atualizadas acerca do projeto piloto, para que o Poder judiciário, os Órgãos de Controle e a população, em geral, compreendam melhor a situação do fornecimento do medicamento Spinraza (Nusinersena) no âmbito do SUS.

Compulsando informações obtidas junto ao Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos – DAF/SCTIE, Departamento de Ciência e Tecnologia – DECIT e Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde – DGITIS, a Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde – SCTIE/MS vem por meio deste prestar os seguintes esclarecimentos:

1. FORNECIMENTO DO SPINRAZA (NUSINERSENA) PARA TRATAMENTO DE ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME 5Q) TIPO I

O medicamento nusinersena foi avaliado pelo Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec), que recomendou a incorporação do medicamento para tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) 5q **tipo I**, para pacientes com diagnóstico genético confirmatório que não estejam em ventilação mecânica invasiva permanente (24 horas por dia).

Esse medicamento foi incorporado no SUS por meio da Portaria MS/SCTIE nº 24, de 24 de abril de 2019, que estabeleceu ainda que o atendimento dos pacientes deverá ser realizado em centros de referência, com a disponibilização de cuidados multidisciplinares, avaliação da efetividade clínica, com reavaliação pela Conitec em 3 anos. Relatório de Recomendação da Conitec nº 449 de abril/2019, disponível no link http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2019/Relelatorio_Nusinersena_AME5q_2019.pdf.

Isto posto, informa-se que, em virtude das características do medicamento, sua alocação será junto ao elenco do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - CEAF, o qual é regulamentado pela Portaria de Consolidação GM/MS nº 2 de 28 de setembro de 2017 – Anexo XXVIII – Título IV – Das regras de financiamento e execução do Componente Especializado da Assistência

Farmacêutica no âmbito do SUS e pela Portaria de Consolidação GM/MS nº 6 de 28 de setembro de 2017 – Título V – Do custeio da Assistência Farmacêutica, Capítulo II – Do financiamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica.

No que tange à disponibilização de medicamentos por este Componente, a Portaria de Consolidação GM/MS nº 2 determina alguns critérios que devem ser atendidos quando ocorre a incorporação de novas tecnologias, sendo:

1. Decisão de incorporação

“Art. 61. A incorporação, exclusão, ampliação ou redução de cobertura de medicamentos no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica ocorrerá mediante decisão do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)”;

2. Pactuação de financiamento no âmbito da CIT

“Art 61 (...)

§ 2º A responsabilidade pelo financiamento das incorporações de medicamentos, de ampliação de cobertura para medicamentos já incorporados e incorporações de novas concentrações e/ou apresentações farmacêuticas será pactuada no âmbito da Comissão Intergestores Tripartite (CIT), respeitando-se a manutenção do equilíbrio financeiro entre as esferas de gestão do SUS e a garantia da linha de cuidado da doença”;

3. Publicação do PCDT em sua versão final

“Art. 62. A inclusão efetiva de um medicamento nos Grupos 1, 2 e 3 deste Componente ocorrerá somente após a publicação da versão final do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas específico pelo Ministério da Saúde, observadas as pactuações no âmbito da CIT”.

Faz-se necessário o cumprimento de todas as etapas descritas acima para a oferta de qualquer medicamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica.

No que se refere ao cumprimento dessas etapas para a oferta do medicamento em referência, este foi alocado no grupo 1A do CEAF na reunião da Comissão Intergestores Tripartite - (CIT) realizada em 27/06/2019 e o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal tipo I foi publicado em 22 de outubro de 2019, por meio da Portaria Conjunta SAES/SCTIE/MS nº 15, de 22/10/2019.

Destaca-se que este Ministério da Saúde finalizou o processo aquisitivo do medicamento em referência, por meio da modalidade inexigibilidade de licitação, com fulcro no art. 25, inciso I, da Lei 8.666/93, que culminou na assinatura do contrato em 10/10/2019. Assim, após o recebimento da primeira parcela contratual no almoxarifado central do Ministério da Saúde, Divisão de Controle e Acompanhamento Logístico de Insumos Estratégicos para Saúde - DICAL, iniciou-se a distribuição por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica às Secretarias de Saúde, conforme necessidade previamente informada pelos estados e Distrito Federal.

1.1. **Requisitos para acesso ao medicamento spinraza para tratamento de AME Tipo I**

Para ter acesso ao medicamento, os pais ou responsáveis pelo paciente com diagnóstico de AME tipo I, conforme condutas preconizadas no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas dessa condição clínica (publicado por meio da Portaria Conjunta SAS/SCTIE/MS nº 15/2019, disponível em: http://conitec.gov.br/images/Protocolos/Portaria_Conjunta_PCDT_Atrofia_Muscular_Espinhal_5q_Tipo-I.pdf) devem comparecer às farmácias que dispõem medicamentos do Componente Especializado (também conhecidas como farmácias de “alto custo”).

A fim de melhor compreender os casos abrangidos no PCDT de AME 5q Tipo I, seguem abaixo os critérios de inclusão no PCDT de AME 5q Tipo I:

Critérios de inclusão

Serão incluídos neste Protocolo pacientes de ambos os sexos, com diagnóstico genético confirmado de AME 5q tipo I. O paciente elegível para uso de Nusinersena deverá ter diagnóstico confirmado de AME 5q tipo 1B/C, além de cumprir os critérios abaixo, de acordo com sua situação:

- Pré-sintomáticos: crianças com histórico familiar de AME, diagnóstico genético confirmado de AME 5q e presença de até três cópias de SMN2.
- Sintomáticos: crianças com diagnóstico genético confirmado de AME 5q, presença de até três cópias de SMN2 e início dos sintomas até o sexto mês de vida.
- Adicionalmente, independente da manifestação de sintomas, o paciente deverá apresentar condições de nutrição e hidratação adequadas, com ou sem gastrostomia, pesando, pelo menos, o terceiro percentil de peso corporal para a idade e estando com o calendário de vacinação em dia.

Elementos que possibilitam requerimento em Juízo

1 - Diagnóstico confirmado de AME tipo 1B/C por meio de exames, conforme item 3 do PCDT: “O padrão ouro do teste genético para AME é uma análise quantitativa de SMN1 e SMN2, usando MLPA (do inglês, multiplex ligation- dependent probe amplification) ou qPCR (do inglês, quantitative polymerase chain reaction). A ausência das duas cópias completas de SMN1 (homozigose), comprovada por qPCR ou MLPA, confirmará o diagnóstico da AME 5q. Os pacientes com heterozigose composta (deleção em um alelo e mutação de ponto no outro alelo) ou mutação de ponto em homozigose (em casos de consanguinidade) deverão ser submetidos ao procedimento de identificação de mutação por sequenciamento por amplicon para confirmar o diagnóstico da AME 5q tipo I”.

2 - Avaliação de peso corporal - Avaliar se o peso do paciente atinge, pelo menos, o terceiro percentil de peso corporal para a idade. O percentil de peso segue as recomendações já padronizadas pela OMS e utilizadas pelas instituições de saúde como referência (<http://www.saude.gov.br/saude-de-az/microcefalia/tabelas-da-oms-e-intergrowth>) e deve ser relatado em um relatório médico.

3 - Avaliação do Cartão de vacina – Cartão de acordo com o Calendário Nacional de Vacinação vigente por meio da conferência da caderneta de vacinação (<http://www.saude.gov.br/saude-de-az/vacinacao/orientacao-sobre-vacinacao>)

Já os critérios de exclusão do PCDT de AME 5q Tipo I foram assim dispostos:

Critérios de exclusão

Serão excluídos deste Protocolo pacientes que apresentem:

- Necessidade de ventilação mecânica invasiva permanente, entendida como 24 horas de ventilação/dia, continuamente, por ≥ 21 dias 10;
- sinais ou sintomas de AME 5q compatíveis com o subtipo 1A ou 0; ou seja, manifestações clínicas presentes ao nascimento ou na primeira semana após o nascimento; OU
- sinais ou sintomas de AME 5q compatíveis com os subtipos II, III ou IV; ou seja, surgimento de manifestações clínicas após os seis meses de idade e controle cefálico presente; E

- para o uso de nusinersena, história de doença cerebral ou da medula espinhal que impeça a administração intratecal de medicamento ou a circulação do líquido cefalorraquidiano, presença de derivação implantada para drenagem do líquido cefalorraquidiano ou de cateter de sistema nervoso central implantado **OU** Hipersensibilidade à substância ativa ou a qualquer um dos excipientes.

Elementos que possibilitam requerimento em Juízo

- 1- Relatório/Avaliação médica** atentando a necessidade ventilação mecânica invasiva permanente (entendida como 24 horas de ventilação/dia, continuamente, por ≥ 21 dias 10). Incluir no relatório dos pacientes em uso de ventilação mecânica os parâmetros respiratórios e tempo de uso do ventilador por dia.
- 2 - Relatório/Avaliação médica** identificando manifestações clínicas da doença e respectivo período que foi diagnosticada. Sintomas presentes ao nascimento ou na primeira semana após o nascimento (Subtipos I^a ou 0) ou após os seis meses de idade e controle cefálico presente (subtipos II, III ou IV).
- 3 - Relatório/Avaliação médica** atestando história de doença cerebral ou da medula espinhal que impeça a administração intratecal de medicamento ou a circulação do líquido cefalorraquidiano, presença de derivação implantada para drenagem do líquido cefalorraquidiano ou de cateter de sistema nervoso central implantado.
- 4 - Relatório/Avaliação médica** sobre histórico de hipersensibilidade à alguns dos componentes da fórmula do medicamento.

É preciso ter em mãos o laudo e a prescrição médica para o tratamento (Avaliação e Autorização de Medicamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - LME). Além disso, é indispensável levar cópia do documento de identificação do paciente, do comprovante de residência, do Cartão Nacional de Saúde e do Cartão de Vacinação. Cópia do exame genético confirmatório (qPCR ou MLPA) e também devem ser apresentados, o termo de ciência do paciente ou de seu responsável legal de que o medicamento será fornecido diretamente ao Centro de Referência definido.

O medicamento será encaminhado pela farmácia para o Centro de Referência onde o paciente está sendo ou será assistido, tendo em vista que deve ser injetado na medula espinhal e necessita de um ambiente específico para a aplicação, acompanhado de cuidados multidisciplinares. Os profissionais do Centro de Referência irão orientar sobre o agendamento das aplicações.

2. FORNECIMENTO DO SPINRAZA (NUSINERSENA) PARA TRATAMENTO DE ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME 5Q) TIPOS II E III, POR MEIO DO ACORDO DE COMPARTILHAMENTO DE RISCO

Considerando a gravidade da AME 5q, e por consequência, a relevância clínica e social de se garantir acesso à única medicação aprovada no Brasil, que altera o curso natural da doença, o Ministério da Saúde entendeu como positivo e enriquecedor fazer uma discussão mais aprofundada sobre o uso de modelo de compartilhamento de risco.

O uso de acordos de compartilhamento de risco (ACR) na incorporação de novas tecnologias nos sistemas de saúde tem se tornado mais usual, na medida em que os governos buscam alternativas às formas tradicionais de incorporação, em casos excepcionais. Esse movimento visa garantir o acesso dos pacientes ao tratamento, enquanto reduz os riscos para os governos na oferta de tecnologias de alto custo.

O Ministério da Saúde publicou a Portaria GM/MS nº 1.297, de 11 de junho de 2019, que

institui projeto piloto de acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde e para oferecer acesso ao medicamento SPINRAZA (Nusinersena) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS.

Trata-se de um projeto piloto que permite a celebração de um acordo entre o Estado e o laboratório em razão da incerteza quanto ao custo/efetividade do medicamento incorporado ao SUS em condições reais; e à estimativa de consumo, considerando a quantidade de comprimidos/doses e o impacto orçamentário.

O projeto piloto possui os seguintes objetivos:

- I – possibilitar, mediante acordo de compartilhamento de risco, a incorporação do medicamento Spinraza (Nusinersena) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) Tipos II e III no âmbito do SUS;*
- II – promover o equilíbrio do custo do medicamento para o SUS;*
- III – coletar evidências adicionais sobre o uso do medicamento em condições reais;*
- IV – possibilitar a reavaliação da incorporação da tecnologia diante das evidências adicionais;*
- V – subsidiar a edição de futura norma geral acerca do acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde no âmbito do SUS; e*
- VI – fomentar pesquisa da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) Tipos II e III para orientar políticas públicas de saúde no âmbito do SUS.*

A Portaria também assentou os temas que devem ser tratados no acordo de compartilhamento de risco (cláusulas obrigatórias):

- I – a redução de preço do medicamento;*
- II – a descrição da doença e critérios de elegibilidade dos subgrupos de pacientes beneficiados no acordo de compartilhamento de risco;*
- III – a definição dos critérios de desfechos de saúde esperados e dos parâmetros de efetividade clínica;*
- IV – o número máximo de pacientes por ano que receberão a tecnologia com custeio do Ministério da Saúde, fundamentado por critérios epidemiológicos e/ou estimativa de demanda, com a previsão de que, excedido esse número, a empresa farmacêutica arcará com o custo do medicamento para os demais pacientes;*
- V – a definição dos critérios de interrupção do fornecimento do medicamento para os pacientes que não apresentarem os desfechos de saúde esperados, no horizonte de tempo definido a priori, de acordo com as melhores evidências científicas disponíveis; e*
- VI – a definição da periodicidade da avaliação dos parâmetros de efetividade clínica, de acordo com as melhores evidências científicas disponíveis.*

O projeto piloto vai permitir a criação de uma regulamentação específica sobre o tema, a fim de aumentar as possibilidades de incorporação no SUS de novas tecnologias, facilitando o acesso da população a tais tratamentos e permitindo maior concretização do Direito à Saúde.

2.1. Requisitos para acesso ao medicamento spinraza para tratamento de AME Tipos II e III;

Os critérios a serem adotados no primeiro ano do estudo consistem nos itens dispostos a seguir, sem prejuízo a demais itens a serem acrescidos futuramente, face a eventuais evidências adicionais e mediante avaliação por parte do Ministério da Saúde, por meio de adendo ao Acordo:

a) critérios de elegibilidade dos subgrupos de pacientes para inclusão no projeto piloto no âmbito do presente Acordo:

- confirmação de mutação em homo ou heterozigose;
- início de sintomas anterior aos 19 anos de idade;

- injeção intratecal viável, de acordo com avaliação do médico assistente ou responsável pela administração;
- ausência de suporte ventilatório permanente (definido como necessidade de suporte ventilatório invasivo por tempo igual ou superior a 16 horas por dia por mais de 21 dias consecutivos –European Neuromuscular Centre).

b) desfechos clínicos a serem avaliados:

- Pacientes não deambulantes: sobrevida livre de suporte ventilatório invasivo permanente definido como necessidade de suporte ventilatório invasivo por tempo igual ou superior a 16 horas por dia por mais de 21 dias consecutivos.
- Pacientes deambulantes: sobrevida livre de perda de capacidade de deambulação sem suporte. Capacidade de deambulação será definida como capacidade de caminhar por 10 (dez) metros sem necessidade de suporte, a ser avaliada pelo médico assistente.

c) critérios de interrupção do fornecimento do medicamento: ausência de percepção de benefício clínico por parte do médico assistente atestada por meio de laudo; eventos adversos que tornem a relação de risco-benefício desfavorável, conforme avaliação do médico assistente e inviabilidade de aplicação intratecal de acordo com avaliação do médico assistente ou responsável pela administração.

Os pacientes serão avaliados antes do início do tratamento com nusinersena nos períodos correspondentes aos seguintes dias: zero (linha de base), 14, 28, após 30 dias e, posteriormente, a cada quatro meses. A avaliação dos dados coletados será feita a cada 12 meses, seguindo acompanhamento semestral nos períodos de 24, 30 e 36 meses após o início do tratamento.

O medicamento será encaminhado pelo Ministério da Saúde para o Centro de Referência onde o paciente está sendo ou será assistido, tendo em vista que deve ser injetado na medula espinhal e necessita de um ambiente específico para a aplicação, acompanhado de cuidados multidisciplinares. Os profissionais do Centro de Referência irão orientar sobre o agendamento das aplicações.

2.2. Situação atual do acordo de compartilhamento de risco, instituído pela Portaria GM/MS nº 1.297/2019;

O grande desafio enfrentado pelo Ministério da Saúde se deve à ausência de previsão normativa que antecipe e prepare o sistema para o acordo. Como forma de enfrentar o obstáculo, a SCTIE/MS, com o assessoramento da CONJUR/MS, está atualmente concentrada na criação do Acordo de Compartilhamento de Risco – ACR com a empresa Biogen, para a construção de uma diretriz que determine o objeto do ACR, vigência, preço, etapas de execução, critérios de elegibilidade e demais marcos.

Para garantir a transparência, confiabilidade e fornecer segurança jurídica para ambas as partes, o Acordo será operacionalizado por meio de contrato específico a ser celebrado entre o Ministério da Saúde e a Biogen, no âmbito do Departamento de Logística em Saúde – DLOG/SE/MS, contendo as principais cláusulas para servir como diretriz aos gestores para sua adoção.

2.3. Como está (e se está) sendo fornecido o medicamento Spinraza aos portadores de AME Tipos 2 e 3 pelo Ministério da Saúde;

O fornecimento do medicamento Spinraza (Nusinersena) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) Tipos II e III se dará no âmbito do projeto piloto de acordo de

compartilhamento de risco instituído pela Portaria nº 1.297, de 11 de junho de 2019.

Conforme exposto no item anterior, o Acordo de Compartilhamento de Risco – ACR a ser pactuado com a empresa farmacêutica e o instrumento de contrato estão em construção pelo Ministério da Saúde.

Após assinatura dos instrumentos (ACR e Contrato), será iniciado o oferecimento do medicamento Spinraza (Nusinersena) aos portadores de AME Tipos 2 e 3 que preencherem os critérios de elegibilidade.

O prazo de vigência do Acordo iniciar-se-á na data da assinatura e vigorará por 36 (trinta e seis) meses.

3. SE HÁ PREVISÃO DE INCORPORAÇÃO DO MEDICAMENTO SPINRAZA (NUSINERSENA) TAMBÉM PARA OS TIPOS 2 E 3;

O Acordo de Compartilhamento de Risco visa a produção de informações mais relevantes para a decisão do gestor sobre a incorporação, com a análise da efetividade do medicamento em condições reais.

O objetivo basilar do ACR é promover o acesso do medicamento enquanto evidências necessárias são coletadas para servir ao convencimento da autoridade para decisão administrativa.

Os membros da Conitec, presentes na 76ª reunião, realizada nos dias 03 e 04/04/2019, deliberaram: “[...] A CONITEC informa 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” (http://conitec.gov.br/images/Reuniao_Conitec/2019/Pauta_76Reuniao.pdf).

4. CONCLUSÃO

A demanda pela incorporação de tratamentos inovadores exige coragem para adoção de novas políticas públicas que promovam a cooperação com a indústria farmacêutica e o fortalecimento do sistema público de saúde. A discussão sobre Acordo de Compartilhamento de Risco e o mero esforço público nesse sentido já representa um ganho para o país.

A Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde – SCTIE/MS coloca-se à disposição para quaisquer esclarecimentos.

DENIZAR VIANNA ARAÚJO

Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Denizar Vianna Araujo, Secretário(a) de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde**, em 17/03/2020, às 12:17, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. 6º, § 1º, do Decreto nº 8.539, de 8 de outubro de 2015; e art. 8º, da Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0014003020** e o código CRC **D8AD472D**.

Referência: Processo nº 25000.037059/2020-36

SEI nº 0014003020

Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde - SCTIE
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br