

20 de agosto de 2020

**Carta aberta à comunidade de Atrofia Muscular Espinhal (AME)**

Orientada pelo princípio da transparência e comprometimento, a Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. (“Biogen”) vem, por meio desta, trazer esclarecimentos sobre o andamento do acordo de compartilhamento de risco por desfecho. Em audiência com representantes da Biogen Brasil na última semana, o Ministério da Saúde colocou que, após explorar diversas alternativas, **não foi encontrada solução que viabilizasse a aquisição e dispensação do nusinersena para atender aos pacientes com Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipos II e III, tal como originalmente planejado. A orientação é que a Biogen faça uma nova submissão à Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec).**

Para a Biogen, como parte da comunidade de AME no Brasil, é frustrante comunicar este desfecho, considerando que ainda não há outra opção terapêutica disponível para esta subpopulação, mas principalmente, pelo atraso de mais de um ano – prazo desalinhado com as necessidades sociais e clínicas de pessoas que vivem com uma doença neurodegenerativa (6).

Trazemos mais detalhes sobre estas definições abaixo:

- Fomos pioneiros ao aceitar fazer parte do projeto de acordo de compartilhamento de risco por desfecho, proposto pelo Ministério da Saúde – uma vez que essa seria a alternativa, de acordo com a pasta, para ampliar o tratamento a todos os pacientes com AME;
- Conscientes da urgência de tratar e da necessidade médica não atendida, e levando em consideração que devido ao seu ineditismo a implantação do acordo poderia sofrer alterações no cronograma, a Biogen propôs um mecanismo de mitigação orçamentária no primeiro ano, de forma que **o contrato de fornecimento do nusinersena atendesse a todos os pacientes com AME – sem qualquer restrição por tipo, peso ou idade;**
- A expectativa era a de que a avaliação de desfechos tivesse início a partir do segundo ano – o que garantiria tempo hábil para as definições administrativas referentes à aquisição e dispensação do nusinersena para os pacientes com AME tipos II e III – **sem comprometer, no curto prazo, o tratamento dos indivíduos elegíveis;**
- **A Biogen vem cumprindo integralmente ao que foi estabelecido em contrato até o momento** – tanto nos quantitativos fornecidos, condição comercial, e mecanismo de mitigação orçamentária, todos pensados para acesso amplo (pacientes com AME tipos I, II e III);

- Porém, apenas os pacientes com AME tipo I que se enquadram nos critérios de elegibilidade do Protocolo Clínico e Diretriz Terapêutica (PCDT) receberam a medicação – 72 pacientes até o momento, de acordo com dados do DATASUS de maio/2020. Pacientes tipo II e III permaneceram aguardando definição do mecanismo pelo qual o produto poderia ser adquirido e dispensado;
- Reforçamos que ao longo dos últimos 12 meses, **houve avanços importantes sobre o acordo de compartilhamento de risco por desfecho:**
  - (i) pronunciamento oficial de representantes do Ministério da Saúde em sessão solene no Senado Federal e imprensa (3);
  - (ii) publicação da portaria Nº 1.297/2019(1) em junho de 2019;
  - (iii) criação de serviço específico para o cadastro de pacientes com AME tipos II e III, no qual muitos pacientes se cadastraram e aguardavam até então, o início da dispensação nos centros de referência que seriam definidos pelo Ministério da Saúde (4);
  - (iv) evolução significativa nas tratativas com o Hospital Albert Einstein via Programa de Desenvolvimento Institucional do Sistema Único de Saúde (PROADI-SUS), para que a instituição desempenhasse a gestão do projeto (5).
- Apesar das sinalizações de avanço mencionadas no tópico anterior, mais recentemente o Ministério da Saúde passou a externalizar suas preocupações sobre como viabilizar a aquisição e dispensação do nusinersena para pacientes com AME tipos II e III, não incorporado ao Sistema Único de Saúde (SUS) para esta indicação.
- Nesse contexto, em audiência com representantes da Biogen Brasil na última semana, o Ministério da Saúde trouxe sua posição final – já colocada na introdução desta carta.

Independente desta posição, a Biogen reafirma seu compromisso e incansável empenho para buscar, de forma legítima e sustentável, o acesso amplo e irrestrito a todos os pacientes com AME, conforme indicado em bula e aprovado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Nesse contexto, buscaremos com celeridade a incorporação do tratamento no SUS para pacientes com AME Tipos II e III:

- **Planejamos submeter ainda em setembro, um novo dossiê junto à Conitec, para reavaliação do nusinersena para o tratamento de pacientes com AME tipos II e III. Não podemos antecipar detalhes do dossiê, mas nos comprometemos a trabalhar com uma proposta equilibrada e que atenda às necessidades das partes.**
- Reforçamos que os dados do programa de desenvolvimento clínico do nusinersena sustentaram

---

a indicação aprovada e os benefícios clínicos para esses subtipos da AME. Evidências de vida real publicadas recentemente confirmam e adicionam à literatura existente, os resultados clínicos sustentados que fundamentalmente mudaram o curso natural da doença e a vida de pacientes de todas as idades e tipos, incluindo adultos.

- Por ser um novo dossiê, inicia-se um **novo processo de avaliação de tecnologia**: recomendação preliminar, consulta pública, recomendação final da Comissão, decisão por parte da SCTIE, contratação de fornecimento, e atualização de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) – processo que de acordo com o regimento interno da CONITEC, deve ser concluído dentro de até 360 dias (180 dias para avaliação da tecnologia em saúde e outros 180 dias para publicação de PCDT atualizado) (7).
- Embora haja prazo regulamentar para o processo de avaliação do nursinersena, a Biogen reforça que tratará toda a sua submissão com celeridade máxima. **Esta é nossa prioridade, mas, considerando a natureza degenerativa da AME, a espera de mais de um ano pelo único tratamento disponível para essa a população, e as centenas de pacientes e familiares já cadastrados junto ao Ministério da Saúde, pedimos que esse se torne um compromisso de todas as partes – indústria farmacêutica, governo, profissionais da saúde, e sociedade.**

Ficamos à disposição para esclarecer quaisquer dúvidas e questionamentos, reiterando mais uma vez nosso elevado compromisso com a comunidade.

Atenciosamente,

Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos LTDA.

---

## Referências

1. Ministério da Saúde. PORTARIA Nº 1.297, DE 11 DE JUNHO DE 2019. Institui 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 [Internet]. 2019. Available from: <http://www.in.gov.br/web/dou/-/portaria-n-1.297-de-11-de-junho-de-2019-163114948>
2. Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. Bula do medicamento Spinraza® (nusinersena) [Internet]. 2017. Available from: [http://www.anvisa.gov.br/datavisa/fila\\_bula/frmResultado.asp#](http://www.anvisa.gov.br/datavisa/fila_bula/frmResultado.asp#)
3. Jornal Nacional. Saúde diz que vai compartilhar com laboratórios riscos de medicamentos para doenças raras [Internet]. 2019. Available from: <https://g1.globo.com/jornal-nacional/noticia/2019/02/28/saude-diz-que-vai-compartilhar-com-laboratorios-riscos-de-medicamentos-para-doencas-raras.ghtml>
4. Ministério da Saúde. Quem tem AME agora tem Spinraza [Internet]. Available from: <https://www.saude.gov.br/noticias/agencia-saude/45953-quem-tem-ame-agora-tem-spinraza>
5. Hospital Israelita Albert Einstein. Characterization of the Clinical-epidemiological Profile of Patients With SMA5q Types II and III: Observational Study [Internet]. 2020. Available from: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04404764>
6. Lunn MR, Wang CH. Spinal muscular atrophy. Lancet. 2008 Jun;371(9630):2120–33.
7. Civil C. DECRETO Nº 7.646, DE 21 DE DEZEMBRO DE 2011. Dispõe sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo Sistema Único de. Available from: [http://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/\\_Ato2011-2014/2011/Decreto/D7646.htm](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2011/Decreto/D7646.htm)