

Nº 112 - DOU de 12/06/19 - Seção 1 - p. 125

**MINISTÉRIO DA SAÚDE  
GABINETE DO MINISTRO**

**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 (AME 5q) tipos II e III no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS.

O MINISTRO DE ESTADO DA SAÚDE, no uso das atribuições que lhe conferem os incisos I e II do parágrafo único do art. 87 da Constituição, e

Considerando que as Atrofias Musculares Espinhais (AME) são doenças genéticas caracterizadas por fraqueza e atrofia musculares progressivas, oriundas da degeneração de neurônios motores;

Considerando que a AME é causada por mutações no gene SMN1, localizado no cromossomo 5 (AME 5q). AME 5q é a principal causa genética de mortalidade infantil e impacta gravemente os indivíduos acometidos em termos de morbidade;

Considerando que a AME 5q é dividida em subtipos (Tipos 0, I, II, III e IV), sendo o primeiro de maior gravidade e o último, menos agressivo, com manifestação tardia e perda de função motora gradativa;

Considerando que o medicamento Spinraza(Nusinersena) é indicado para tratamento da AME 5q e que o uso da medicação baseia-se tanto nos resultados dos estudos clínicos, como no mecanismo de ação do medicamento, que atua especificamente na patogênese comum a todos os pacientes;

Considerando que atualmente o Spinraza(Nusinersena) é o único tratamento para AME 5q aprovado no Brasil;

Considerando que já foi incorporado o medicamento Spinraza (Nusinersena) no SUS para pacientes com AME 5q Tipo I, sem necessidade de suporte ventilatório invasivo permanente (Portaria nº 24/SCTIE/MS, de 24 de abril de 2019), consoante recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC);

Considerando que os pacientes com AME 5q Tipos II e III não foram contemplados na Portaria nº 24/SCTIE/MS, de 24 de abril de 2019;

Considerando que a maioria das agências de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) no Mundo recomenda o uso do Spinraza(Nusinersena) para o tratamento da AME 5q Tipos I, II e III, mediante o estabelecimento de rígidos critérios de elegibilidade, que incluem idade de início dos sintomas, idade de início do tratamento e ausência de ventilação mecânica permanente;

Considerando que as evidências científicas que atestaram a eficácia e segurança do Spinraza(Nusinersena) para os pacientes com AME 5q Tipos II e III apresentam algumas incertezas, em função de um menor número de pacientes avaliados; e

Considerando a necessidade de orientar e coordenar ações específicas sobre acordo de compartilhamento de risco entre o Ministério da Saúde e a empresa farmacêutica fornecedora do medicamento Spinraza, para oferecer acesso ao tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) Tipos II e III no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), resolve:

Art. 1º Fica instituído 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 no âmbito do Sistema único de Saúde (SUS).

Parágrafo único. Para fins desta Portaria, considera-se acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde o instrumento celebrado entre o Ministério da Saúde e a empresa farmacêutica fornecedora de medicamento, em razão de incertezas quanto:

- I - ao custo/efetividade do medicamento incorporado ao SUS em condições reais; e
- II - à estimativa de consumo, considerando a quantidade de comprimidos/doses e o impacto orçamentário.

Art. 2º São objetivos do projeto piloto de que trata esta Portaria:

- 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.

Art. 3º O acordo de compartilhamento de risco, a ser pactuado com a empresa farmacêutica, deverá conter:

- 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.

Parágrafo único. A definição dos termos e condições do compartilhamento de risco de que trata o caput deverá ser devidamente motivada por manifestação da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde (SCTIE/MS) que apresente os fundamentos técnicos para os critérios utilizados.

Art. 4º Os pacientes terão acesso ao medicamento Spinraza em centros de referência para o tratamento da AME 5q, com a disponibilização de cuidados multidisciplinares.

Parágrafo único. Os centros serão selecionados pela SCTIE/MS entre os Serviços de Referência em Doenças Raras e os Hospitais Universitários Estaduais e Federais.

Art. 5º O monitoramento dos pacientes e a avaliação dos desfechos clínicos nos centros de referência serão coordenados por instituição de pesquisa indicada pela SCTIE/MS, observados os termos acordados entre o Ministério da Saúde e a empresa farmacêutica.

Parágrafo único. Caberá à SCTIE/MS acompanhar e fiscalizar as atividades realizadas pela instituição de pesquisa de que trata o caput.

Art. 6º As evidências adicionais produzidas por meio deste projeto piloto de acordo do compartilhamento de risco deverão ser submetidas, em até 3 anos, à Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC, para reavaliação da incorporação do medicamento Nursinersena para o tratamento da AME 5q, no âmbito de sua competência de assessorar o Ministério da Saúde na incorporação de tecnologias no SUS.

Art. 7º A Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos para a Saúde (SCTIE/MS) deverá realizar avaliações periódicas deste projeto piloto, com o objetivo de subsidiar a futura edição de norma geral acerca do compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde no âmbito do SUS.

Art. 8º Esta portaria entra em vigor na data de sua publicação.

LUIZ HENRIQUE MANDETTA