

Zolgensma no tratamento da Atrofia Muscular Espinhal: Acordos de Acesso Gerenciado no mundo

EIXO 1: SUSTENTABILIDADE NOS SISTEMAS DE SAÚDE

Autores: Laís Lessa Neiva Pantuzza; Amanda Oliveira Lyrio; Ana Carolina de Freitas Lopes; Luciene Fontes Schluckebier Bonan

Introdução: Os Acordos de Acesso Gerenciado (ACR) são estratégias para mitigar incertezas relacionadas às tecnologias de alto custo, como o Zolgensma® (onasemnogeno abeparvoveque), medicamento indicado para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME). O Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS) é responsável pelo monitoramento das tecnologias incorporadas no Sistema Único de Saúde (SUS), incluindo a avaliação e acompanhamento de ACR. Em 2021, foram iniciadas ações para avaliar a viabilidade de ACR para o Zolgensma® no SUS, com a decisão de incorporação, atrelada a um ACR, em 2022. A fim de subsidiar as discussões sobre o ACR no contexto brasileiro, o objetivo desta revisão de literatura foi identificar e descrever informações sobre os acordos já firmados internacionalmente para o Zolgensma® no tratamento da AME.

Métodos: Para a identificação dos ACR, foi realizada busca sistematizada no Pubmed utilizando os termos “Managed Entry Scheme” e “Zolgensma”, e seus correlatos. Também foram realizadas buscas manuais no Google, nas agências sanitárias da América Latina e nas agências de Avaliação de Tecnologia em Saúde (ATS) do International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA). As informações sobre os ACR identificados foram sumarizadas utilizando uma planilha contendo informações gerais; indicação; incertezas; desfechos, coleta e análise de dados; e condições econômicas dos acordos. Não houve fonte de financiamento para a realização do estudo.

Resultados: Foram identificados quatro ACR para o Zolgensma®, sendo eles da Argentina, Escócia, Espanha e Reino Unido. O ACR da Argentina foi o único identificado para a América Latina, o qual foi firmado em 2023. Todos os acordos tiveram indicação para pacientes com AME 5q, mas houve diferenças entre o grupo de pacientes incluído. Na Argentina, Escócia e Espanha, a indicação foi para pacientes com uma mutação bialélica no gene SMN1 e diagnóstico clínico de AME tipo 1 ou com uma mutação bialélica no gene SMN1 e até 3 cópias do gene SMN2. No Reino Unido, a indicação foi apenas para pacientes pré-sintomáticos com uma mutação bialélica no gene SMN1 e até 3 cópias do gene SMN2. Em relação ao tipo de ACR, na Argentina, foi adotado acordo baseado em desempenho (pagamento realizado mediante obtenção de desfechos esperados), na Espanha, modelo misto (pagamento por desempenho e acordo de preço por volume) e, na Escócia, apenas desconto simples no preço do medicamento; essa informação não estava disponível para o acordo no Reino Unido. O preço da tecnologia estava disponível apenas para o ACR da Argentina, sendo ele de 1,3 milhões de dólares.

Discussão e conclusões: Foram identificados quatro ACR internacionais para o Zolgensma® no tratamento da AME. Entretanto, existem poucas informações disponíveis sobre as características desses acordos, especialmente aquelas relacionadas aos quesitos econômicos e ao preço da tecnologia. Dada a escassez de dados públicos, é possível que existam acordos adicionais não identificados por meio da metodologia de busca utilizada.

Palavras-chave: Acordo de Acesso Gerenciado; Zolgensma; Onasemnogeno Abeparvoveque