

## Estudo de custo-efetividade para o tratamento da AME tipo 1

**Autores:** Fernanda d Athayde Rodrigues, Hérica Nubia Cardoso Cirilo, Stéfani Sousa Borges, Brígida Dias Fernandes, Bárbara Corrêa Krug, Lívia Fernandes Probst, Ivan Ricardo Zimmermann

**Instituição:** DGITS/Ministério da Saúde - Brasília - DF - Brasil, DGITS/MS - Brasília - DF - Brasil, Hospital Alemão Oswaldo Cruz - São Paulo - SP - Brasil, Hospital das Clínicas da Universidade Federal de Goiás - Goiânia - RS - Brasil, Secretaria Estadual de Saúde do Rio

**Introdução:** O desenvolvimento de tecnologias inovadoras para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo 1 tem se mostrado promissor na mudança da morbimortalidade dos pacientes com essa condição. No entanto, o alto custo das terapias e as evidências clínicas de tratamentos de doenças raras desafiam a tomada de decisão em sistemas universais de saúde, sendo essencial o desenvolvimento de avaliações econômicas independentes. **Objetivo:** Avaliar o custo-efetividade do Onasemnogeno Abeparvoeque em comparação ao nusinersena e risdiplam no tratamento da AME tipo 1, na perspectiva do SUS. **Material e Método:** Foi construído um modelo de Markov considerando os estados de saúde: 'ventilação mecânica', 'não senta', 'senta', 'caminha' e 'morte'. Os dados de curto prazo foram obtidos dos estudos clínicos das tecnologias avaliadas, e os marcos da função motora alcançados ao final desses estudos foram considerados mantidos até a morte. Os riscos de mortalidade foram extraídos de curvas de sobrevida de Kaplan–Meier (KM) publicadas. Os valores de utilidade empregados derivaram de várias fontes para AME tipo 1, enquanto os custos relacionados à aquisição e administração das tecnologias, e aos cuidados de manutenção foram obtidos de relatórios de compras públicas, reembolsos e literatura de serviços médicos publicados no Brasil. Foi aplicada uma taxa de desconto de 5% ao ano. Foram realizadas análises de sensibilidade determinística e probabilística. **Resultados:** o Onasemnogeno Abeparvoeque obteve um custo incremental de aproximadamente 742 mil reais por QALY, e um incremento de 3 QALYs em relação à estratégia mais barata (Nusinersena), no horizonte lifetime. O Risdiplam é dominado pelas demais estratégias (por dominância estendida), resultando em uma RCEI em torno de R\$ 926 mil por QALY, comparado ao Nusinersena. A análise de sensibilidade determinística demonstrou impacto importante do horizonte temporal da análise e do custo de aquisição do Onasemnogeno Abeparvoeque. Na análise de sensibilidade probabilística, em 100% das simulações o Onasemnogeno Abeparvoeque foi mais caro e mais efetivo que ambos os comparadores, e acima de R\$ 120 mil por QALY, limiar de referência de custo-efetividade no Brasil. **Discussão e Conclusões:** no decorrer do horizonte lifetime, o Onasemnogeno Abeparvoeque se apresenta como uma opção provavelmente mais efetiva que Nusinersena e Risdiplam para o tratamento da AME tipo 1, mas associada a um custo incremental. Tal relação deve ser ponderada nos critérios de eficiência durante o monitoramento de resultados na perspectiva brasileira do SUS.

**Palavras-Chave:** Análise de custo-efetividade; Avaliação de tecnologias em saúde; Atrofia muscular espinhal.

### Referências Bibliográficas:

1. Malone DC, Dean R, Arjunji R, Jensen I, Cyr P, Miller B, Maru B, Sproule DM, Feltner DE, Dabbous O. Cost-effectiveness analysis of using onasemnogene abeparvoec (AVXS-101) in spinal muscular atrophy type 1 patients. *J Mark Access Health Policy*. 2019;7(1).
2. Institute for Clinical and Economic Review. Spinraza® and Zolgensma® for Spinal Muscular Atrophy: Effectiveness and Value. New England Comparative Effectiveness Public Advisory Council. Final Evidence Report Abril 3, 2019.