



01 de marzo de 2020

Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica

Sr. Administrador Nacional

Dr. Manuel Rodolfo Limeres

S...../.....D

De nuestra mayor consideración:

En representación del Grupo Argentino para el Uso racional de los Medicamentos (GAPURMED) nos dirigimos a Ud. a fin de hacerle llegar nuestras inquietudes sobre el medicamento nusinersen, cuyo registro debe renovarse en estos días.

Esta agrupación tiene como objetivo principal el uso racional, razonado y responsable del medicamento en la República Argentina, considerando que, para garantizar a la población el acceso a medicamentos eficaces, seguros y de calidad, existen numerosos factores en juego, entre los cuales el registro en el país es uno de los principales. En esta etapa se evalúa tanto su necesidad sanitaria como su eficacia, efectividad y seguridad. Por otra parte, el precio que se establezca para el medicamento debe contemplar el impacto en la sostenibilidad del sistema sanitario. Estos factores pueden asegurar o desvirtuar el concepto medicamentos asequibles.

En este marco, elevamos la presente nota a los fines de solicitar la revisión del registro del medicamento nusinersen, cuya inscripción en el Registro de Especialidades Medicinales (REM) que fuera autorizado "Bajo condiciones especiales" el 1 de marzo del año 2019 por el término de un año de acuerdo a la Disposición 2062/2019. En su artículo 6° se expresa que *"Para solicitar la reinscripción del certificados en el REM, el titular del registro deberá presentar los resultados de seguimiento de los pacientes (PMEES), tratados con SPINRAZA, en cuanto a Eficacia, Efectividad y seguridad, con antelación de tres meses previo al vencimiento del mismo"*. Dicha información también es exigida en el artículo 8° de dicha disposición a la firma BIOGEN ARGENTINA SRL y condicionada a la cancelación del registro según figura en el artículo 7°.

Por otra parte, cabe esperar que el laboratorio productor aporte los datos de seguimiento de los pacientes incluidos en los estudios pivotaes ENDEAR¹ y CHERISH², comprometidos oportunamente a la FDA, incluyendo información sobre sobrevida y requerimientos de ventilación asistida. Estos datos permitirían definir los beneficios y riesgos del tratamiento más allá de la ventana de 15 meses informada en los trabajos iniciales, lo que resulta esencial para determinar el impacto real del tratamiento en la vida de los pacientes.

Disentimos con los argumentos expresados en los considerandos de la Disp. 2062/19, debido a que, según los datos disponibles en ese momento, el medicamento posee eficacia marginal y diferencial de acuerdo a los diferentes sub tipos de Atrofia Muscular Espinal (AME). Por tal motivo consideramos que la nueva información con los resultados del seguimiento de los pacientes (PMEES) debe ser accesible en forma transparente en esta instancia de evaluación.



Por último, aunque no sea función de esa Administración el análisis del precio del medicamento, el mismo constituye un factor limitante que no debe dejar de valorarse para garantizar la asequibilidad que beneficie a la población. En este sentido queremos destacar el informe elaborado por la Comisión Nacional de evaluación de Tecnologías de Salud (CONETEC)³, dependiente del Ministerio de Salud, que concluye:

“Al evaluar la evidencia disponible sobre nusinersen y el posible impacto de su incorporación de acuerdo al marco de valor establecido, para la CONETEC, se concluye que: si bien su beneficio clínico sobre los pacientes con AME tipo I y II sería mayor y esto está respaldado por evidencia científica de buena calidad; la incorporación de la tecnología tendría impacto negativo sobre la salud pública, la equidad y en el aspecto económico.

Teniendo en cuenta el informe técnico, la información disponible hasta el momento y el contexto actual la mesa técnica NO recomienda la incorporación de esta tecnología a la cobertura obligatoria del país.

Solo en caso de una reducción considerablemente significativa en el precio de la tecnología que permita garantizar la sustentabilidad del resto de prestaciones esenciales como promoción de salud, prevención, tratamiento y rehabilitación para todos los beneficiarios del sistema de salud argentino; podría considerarse la cobertura para pacientes con AME tipo I y tipo II que presenten características similares a los pacientes incluidos en los ensayos clínicos.”

Por lo expuesto anteriormente el Grupo Argentino para el Uso Racional de los Medicamentos considera necesaria la evaluación del medicamento en el contexto de la realidad sanitaria de nuestro país, con una mirada integral de este problema de salud.

Nos ponemos a disposición para colaborar y participar en cualquier debate o aporte que fuera necesario.

Sin otro particular, saludamos Ud. muy atentamente.

Lucila Unias
Presidenta
GAPURMED

www.gapurmed.org.ar

Referencias

1. Finkel RS, Mercuri E, Darras BT, et al. Nusinersen versus Sham Control in Infantile-Onset Spinal Muscular Atrophy. *N Engl J Med.* 2017;377(18):1723–1732. doi:10.1056/NEJMoa1702752
2. Mercuri E, Darras BT, Chiriboga CA, et al. Nusinersen versus sham control in later-onset spinal muscular atrophy. *N Engl J Med.* 2018;378(7):625–635. doi:10.1056/NEJMoa1710504
3. Comisión Nacional de Evaluación de Tecnologías de Salud – CONETEC. Nusinersen en atrofia muscular espinal. Informe de Evaluación de Tecnologías Sanitarias N°01, Buenos Aires, República Argentina. Noviembre 2019. Disponible en www.argentina.gob.ar/salud/conetec.