



Trabalhos Científicos

Título: Eficácia E Segurança Do Nusinersena Para O Tratamento Da Ame5Q

Autores: MARIANA MICHEL BARBOSA (HOSPITAL ALEMÃO OSVALDO CRUZ), ISABELLA DE FIGUEIREDO ZUPPO (CCATES/PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), CAROLINA ZAMPIROLI DIAS (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), PÂMELA SANTOS AZEVEDO (CENTRO COLABORADOR DO SUS - AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS E EXCELÊNCIA EM SAÚDE (CCATES)), NATÁLIA DIAS BRANDÃO (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), KENNEDY CREPALDE RIBEIRO (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), NÉLIO GOMES RIBEIRO JUNIOR (CENTRO COLABORADOR DO SUS - AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS E EXCELÊNCIA EM SAÚDE (CCATES)), LUDMILA PERES GARGANO (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), LUCAS LIMA TÔRRES (CENTRO COLABORADOR DO SUS - AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS E EXCELÊNCIA EM SAÚDE (CCATES)), CAROLINA MARIA FONTES FERREIRA NADER (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM SAÚDE DA CRIANÇA E DO ADOLESCENTE, UFMG), FRANCISCO DE ASSIS ACURCIO (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), JULIANA ALVARES-TEODORO (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), AUGUSTO AFONSO GUERRA JUNIOR (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG)

Resumo: Introdução: Atrofias Musculares Espinhais (AME) são um grupo de doenças neuromusculares hereditárias autossômicas recessivas, consideradas a causa genética mais comum de mortalidade infantil, com manifestações clínicas graves, que ocasionam diminuição da qualidade e expectativa de vida dos pacientes. O nusinersena foi o primeiro medicamento para tratamento da AME5q no Brasil, recentemente incorporado ao SUS para o tipo I. Objetivo: Avaliar a eficácia e segurança do nusinersena em pacientes com AME5q. Métodos: Uma revisão sistemática (RS) avaliando a eficácia e segurança do nusinersena para o tratamento da AME5q foi conduzida em janeiro de 2019, em quatro bases de dados. Dois revisores selecionaram os estudos e as divergências foram resolvidas por um terceiro. A qualidade metodológica dos estudos foi avaliada pela ferramenta risco de viés da Cochrane. Resultados: De 429 estudos identificados, dois Ensaios Clínicos Randomizados (ECR) e uma extensão foram incluídos. A qualidade metodológica foi considerada moderada. Um dos ECR, avaliando AME5q de início precoce, encontrou diferenças estatisticamente significantes entre o grupo nusinersena e controle na melhora do HINE 2, sobrevida livre de evento, CHOP INTEND e mortalidade. Já para proporção de pacientes em ventilação mecânica e eventos adversos, não foram observadas diferenças estatisticamente significantes. Pacientes com menor duração da doença tiveram melhores resultados com o nusinersena na mortalidade e uso de ventilação mecânica. No estudo de extensão deste ECR, aqueles que continuaram em uso de nusinersena tiveram maior tempo livre até a ventilação/morte. O ECR de pacientes com AME5q de início tardio avaliou o ganho motor (escala HFMSE), sendo maior no grupo nusinersena quando comparado ao controle. Os desfechos secundários e de segurança não apresentaram diferenças estatisticamente significantes entre os grupos. Conclusão: O nusinersena apresenta resultados de eficácia e segurança plausíveis para o tratamento de indivíduos com AME5q tipo I. Para as demais populações portadoras de AME5q as evidências ainda são incipientes.