



## RESPUESTA DEL GOBIERNO

### (184) PREGUNTA ESCRITA CONGRESO

184/94410 a 184/94414

21/09/2022

233562 a 233566

**AUTOR/A:** FERNÁNDEZ RÍOS, Tomás (GVOX); JARA MORENO, Mercedes (GVOX); RODRÍGUEZ ALMEIDA, Andrés Alberto (GVOX); SALVÁ VERD, Antonio (GVOX); STEEGMANN OLMEDILLAS, Juan Luis (GVOX)

#### RESPUESTA:

Nusinersen (Spinraza®), al que se refieren Sus Señorías, está incluido en la financiación del Sistema Nacional de Salud (SNS) desde el 31 de enero de 2018 para pacientes con atrofia muscular espinal 5q (salvo para los tipos 0, IA, IV). La financiación de Nusinersen supuso un hito relevante para los pacientes con Atrofia Muscular Espinal, AME, y se asoció al cumplimiento de un protocolo clínico para todo el SNS con criterios de inicio, seguimiento y suspensión del tratamiento.

Nusinersen fue el primer tratamiento autorizado para la AME y, precisamente para facilitar el acceso a pacientes que no tenían otra alternativa terapéutica, no se disponía -tal como señala el Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT) del medicamento- de información sobre la eficacia a largo plazo. En el desarrollo clínico de un primer producto en una enfermedad rara (para la que no existen variables bien estandarizadas para el seguimiento a corto, medio o largo plazo) se eligen un conjunto de variables que tratan de capturar el curso de la enfermedad pero que, con el tiempo y la generación de conocimiento, puede ser necesario re-evaluar.

Actualmente se analizan los datos disponibles en el SNS en la base de registro de datos SISTAME y, con ello, se valorará la actualización del protocolo clínico en colaboración con todas las partes interesadas, incluyendo pacientes y profesionales sanitarios.

En relación con Risdiplam (Evrysdi®), se indica que la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos (CIMP) acordó (en la sesión 224 de 5 de mayo de 2022<sup>1</sup>) proponer su financiación en pacientes con AME tipo I con hasta tres

<sup>1</sup> [https://www.sanidad.gob.es/profesionales/farmacologia/pdf/20220602\\_ACUERDOS\\_CIPM\\_224.pdf](https://www.sanidad.gob.es/profesionales/farmacologia/pdf/20220602_ACUERDOS_CIPM_224.pdf)



copias del gen SMN2 asociado –además del precio del medicamento y otras consideraciones generales habituales- al cumplimiento de un protocolo clínico implementado a través de Sistema de información corporativo del Sistema Nacional de Salud para determinar el valor terapéutico en la práctica clínica real de los medicamentos que se utilizan en el Sistema Nacional de Salud (VALTERMED) para su indicación financiada.

Actualmente se analizan los datos disponibles en el SNS en la base de registro de datos SISTAME y, con ello, se valorará la actualización del protocolo clínico en colaboración con todas las partes interesadas, incluyendo pacientes y profesionales sanitarios.

Los registros disponibles actualmente son SISTAME y VALTERMED.

Número de pacientes tratados con Nusinersén (Spinraza®):

- AME Ib-Ic. 64 pacientes
- AME II-III. 288 pacientes

Número de pacientes tratados con Onasemnogén Abeparvovec (Zolgensma®):  
11 pacientes.

Los registros se actualizan continuamente.

Madrid, 27 de octubre de 2022

