

Terapia gênica de alto custo na atrofia muscular espinhal: avaliação de custo-efetividade nos sistemas de saúde

Arthur Calil Tonasso¹, Ágatha Rafael Marinho¹, Aline Santana Cabral¹, Giovana Mesquita Gava¹, Isadora Potratz Sales Pereira¹, Isaque Pereira Severino¹, Jully Nunes Erlacher¹, Larissa Kohls Carvalho¹, Marcela Bassani Porpino¹, Ana Rosa Murad Szpilman².

¹Discentes do Curso de Medicina da Universidade de Vila Velha (UVV), e-mail: acaliltonasso@gmail.com

²Docente do Curso de Medicina da Universidade de Vila Velha (UVV)

Introdução: A atrofia muscular espinhal (AME) é uma doença genética autossômica recessiva grave, marcada pela degeneração progressiva dos neurônios motores e elevada mortalidade na forma tipo 1. O desenvolvimento de terapias modificadoras transformou o prognóstico, especialmente com a introdução da terapia gênica de dose única Zolgensma® (onasemnogene abeparvovec). Contudo, o custo extremamente elevado impõe desafios à incorporação nos sistemas de saúde, suscitando o debate sobre custo-efetividade em comparação a tratamentos crônicos como Spinraza™ (nusinersena) e Evrysdi® (risdiplam).

Objetivo: Analisar evidências científicas sobre custo-efetividade e impacto orçamentário do onasemnogene abeparvovec no tratamento da AME tipo 1, comparando-o às terapias modificadoras crônicas.

Método: Realizou-se busca no PubMed com seleção por relevância e publicação nos últimos 5 anos. Utilizaram-se os descritores “gene therapy”, “cost-effectiveness”, “healthcare sustainability” e “Zolgensma”. Incluíram-se estudos com avaliação de custo-efetividade, análises de impacto orçamentário e que abordassem sobrevida, qualidade de vida ajustada por anos (QALY) e comparações terapêuticas.

Resultados: Os modelos de avaliação econômica demonstram que o onasemnogene abeparvovec tende a apresentar custo-efetividade favorável em comparação à nusinersena quando analisado à longo prazo e sob a premissa de benefício clínico duradouro. Nessas condições, o custo único inicial pode ser compensado pela ausência de gastos cumulativos do tratamento crônico, resultando em maiores ganhos em QALYs e redução do custo total ao longo da vida. Contudo, a vantagem econômica diminui em cenários de perda precoce do efeito terapêutico ou preços muito elevados de aquisição.

Conclusão: A terapia gênica de dose única demonstra vantagem econômica frente às terapias crônicas quando seus efeitos são sustentados ao longo do tempo e o preço é compatível com os limites de disposição a pagar do sistema público. Assim, sua incorporação no sistema de saúde pode ser justificável em cenários de efeito terapêutico sustentado e negociação adequada de valores, reduzindo o impacto do tratamento crônico.

Palavras-chave: Atrofia Muscular Espinhal; Terapia Gênica; Custo-efetividade; Prognóstico; Qualidade de Vida.