

RESOLUCIÓ per la qual s'estableixen els centres autoritzats per a l'ús de nusinersen en pacients amb atròfia muscular espinal tipus Ib, Ic, II i III

L'atròfia muscular espinal és un trastorn neurològic poc freqüent que es caracteritza per la degeneració de les neurones motores de la medul·la espinal que controlen l'acció dels músculs. Aquesta degeneració condueix a una debilitat muscular generalitzada i progressiva que ens els casos més greus pot conduir a la mort prematura del pacient. Malgrat que es considera una malaltia minoritària –la prevalença oscil·la entre 1-2 casos per 100.000 persones–, és la causa més comuna de mortalitat infantil dins dels trastorns autosòmics recessius.

Les manifestacions clíniques de la malaltia són molt heterogènies i varien des de fenotips molt greus, que apareixen en edats primerenques, a fenotips més lleus que es manifesten a l'edat adulta.

Nusinersen és el primer fàrmac autoritzat per al tractament de l'atròfia muscular espinal. Aquest fàrmac permet la formació d'una variant de la proteïna absent, però en quantitats variables segons les característiques genètiques de cada pacient. Malgrat que nusinersen ha demostrat millorar les funcions motores i respiratòries, aquesta millora es produeix en la meitat de pacients i de manera molt variable.

Per tal de garantir el seguiment adequat dels pacients, com també l'avaluació dels resultats del tractament, el Ministeri de Sanitat, Serveis Socials i Igualtat (MSSSI) ha establert un protocol farmacoclínic i un registre de monitoratge farmacoterapèutic que permet conèixer l'evolució de les variables relacionades amb la funció motora i pulmonar, així com la supervivència dels pacients tractats. La recollida de la informació al registre i l'anàlisi dels resultats permetrà respondre les incerteses romanents.

La present resolució s'emet tenint en consideració l'Acord de la Comissió Farmacoterapèutica per al Sistema sanitari integral d'utilització pública de Catalunya (CFT-SISCAT) del CatSalut, sobre els criteris d'ús, accés i provisió harmonitzats de nusinersen per al tractament de l'atròfia muscular espinal, tal com estableix la Instrucció 05/2017 del CatSalut, Programa d'harmonització farmacoterapèutica del CatSalut, així com el *Protocolo farmacoclínico de tratamiento de pacientes con atrofia muscular espinal 5q con el medicamento Spinraza®* del MSSSI.

Per tot això, es considera necessari definir quins han de ser els centres autoritzats per dur a terme l'inici i seguiment del tractament amb nusinersen dels pacients diagnosticats amb atròfia muscular espinal tipus Ib, Ic, II i III, mentre no s'hagi designat la unitat d'expertesa clínica en el grup temàtic de malalties neuromusculars, tal com estableix la Instrucció 12/2014 del CatSalut, "Desenvolupament i implantació del model d'atenció a les malalties minoritàries (MM) a Catalunya. Ordenació d'unitats d'expertesa clínica per a MM o grups temàtics d'MM", i la Resolució del director del CatSalut de 27 de juliol de 2015, per la qual

s'aprova la regulació i el procediment de designació d'unitats d'expertesa clínica en MM a Catalunya.

En exercici de les facultats que m'atorguen els articles 16 i 17 de la Llei 15/1990, de 9 de juliol, d'ordenació sanitària de Catalunya,

Resolc:

Primer. L'inici i seguiment del tractament amb nusinersen de pacients pediàtrics amb atròfia muscular espinal s'han de dur a terme als centres Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona i Hospital Universitari Vall d'Hebron, d'acord amb els criteris clínics aprovats per la CFT-SISCAT.

Segon. L'inici i seguiment del tractament amb nusinersen de pacients adults amb atròfia muscular espinal s'han de dur a terme als centres Hospital Universitari de Bellvitge, Hospital de la Santa Creu i Sant Pau i Hospital Universitari Vall Hebron, d'acord amb els criteris clínics aprovats per la CFT-SISCAT.

Tercer. Aquesta Resolució té caràcter temporal i deixa de tenir efectes una vegada s'hagi resolt la designació d'unitat d'expertesa clínica per a la patologia esmentada.

Barcelona, 10 d'abril de 2018

David Elvira i Martínez
Director