



# Análisis de costes de nusinersen a dosis altas en el manejo de la atrofia muscular espinal en España

P03

Laura Gómez<sup>1</sup>, Javier Sotoca<sup>1</sup>, Javier Jiménez<sup>1</sup>, Rocío González-Alonso del Hoyo<sup>2</sup>, María Mareque<sup>2</sup>, Itziar Oyagüez<sup>2</sup>  
<sup>1</sup>Biogen Idec Iberia, Madrid, Spain; <sup>2</sup>Pharmacoeconomics & Outcomes Research Iberia (PORIB), Madrid, Spain

## INTRODUCCIÓN

La atrofia muscular espinal (AME) es un trastorno neurológico degenerativo causado por mutaciones del gen de supervivencia de la neurona motora 1.

## OBJETIVO

Estimar y comparar los eventos clínicos y los costes asociados al uso de nusinersen 12 mg o 50/28 mg, en pacientes con AME, desde la perspectiva del Sistema Nacional de Salud (SNS).

## MATERIAL Y MÉTODOS

Se desarrolló un modelo de análisis de decisión para comparar el uso de nusinersen 50/28 mg (*high dose*, HD) en lugar de nusinersen 12 mg, en el manejo de una cohorte hipotética de 1.000 pacientes con AME naïve a tratamiento con nusinersen.

Los datos relacionados con las hospitalizaciones (proporción de pacientes hospitalizados, nº ingresos/año y nº de días promedio hospitalizados), con los eventos respiratorios graves y con el nº de punciones lumbares asociadas a la administración del tratamiento durante el primer año se obtuvieron del estudio DEVOTE Parte B (población con AME de inicio infantil)<sup>1</sup> (Tabla 1).

Tabla 1. Datos clínicos considerados en el análisis

	Nusinersen 12 mg	Nusinersen 50/28 mg (HD)	Δ Nusinersen 50/28 mg vs. 12 mg
<b>Proporción de pacientes hospitalizados</b>	<b>56%</b>	<b>38%</b>	<b>- 32%</b>
% por infecciones	25%	24%	- 4%
% por enf. Respiratorias, torácicas y mediastinitis	15%	10%	- 33%
% por trastornos sanguíneos y linfáticos	3%	0%	- 100%
% por causa desconocida	13%	4%	- 69%
<b>Nº ingresos/año/paciente</b>	<b>1,40</b>	<b>0,80</b>	<b>- 43%</b>
<b>Nº días estancia media/ingreso</b>	<b>32,90</b>	<b>30,70</b>	<b>- 7%</b>
<b>% de pacientes con eventos respiratorios graves</b>	<b>64%</b>	<b>52%</b>	<b>- 19%</b>
<b>Nº eventos respiratorios graves/año/paciente</b>	<b>2,10</b>	<b>1,80</b>	<b>- 14%</b>
<b>Nº punciones lumbares/año (1º año tto)</b>	<b>6</b>	<b>4</b>	<b>- 33%</b>

El análisis se realizó desde la perspectiva del SNS, por lo que únicamente se consideraron los costes sanitarios directos. Estos costes comprendieron las hospitalizaciones y sus causas, las punciones lumbares asociadas a la administración del tratamiento y el manejo de los eventos respiratorios graves.

La Tabla 2 muestra los costes unitarios (€, 2025) considerados en el modelo, basados en información recopilada de bases de datos nacionales.<sup>2</sup>

Tabla 2. Costes unitarios (€, 2025)

	Coste unitario (€, 2025)
<b>Hospitalización</b>	<b>784 €/día<sup>2</sup></b>
Infecciones	6.166 €/evento <sup>2</sup>
Enf. Respiratorias, torácicas y mediastinitis	11.109 €/evento <sup>2</sup>
Trastornos sanguíneos y linfáticos	3.688 €/evento <sup>2</sup>
Causa desconocida	784 €/evento <sup>2</sup>
<b>Punción lumbar</b>	<b>206 €/punción<sup>2</sup></b>
<b>Eventos respiratorios graves</b>	
Nusinersen 12 mg	<b>3.546 €/evento*</b>
Nusinersen 50/28 mg (HD)	<b>207 €/evento*</b>

\*Coste calculado considerando la proporción de pacientes que presenta cada evento respiratorio grave<sup>1</sup> y su coste unitario<sup>2</sup>

En la práctica clínica en España pueden existir diferencias en el estado clínico con respecto a las observadas en el estudio DEVOTE (tratamiento recibido, resultados clínicos, supervivencia libre de eventos y supervivencia global), lo que podría afectar o limitar la interpretación de los resultados.

## RESULTADOS

Para una cohorte hipotética de 1.000 pacientes con AME se estimaron 1.344 eventos respiratorios graves anuales, con un coste asociado de 4.766.144 € (nusinersen 12 mg) y 936 eventos/año con un coste de 193.309 €/año (nusinersen 50/28 mg, HD) (Figura 1).

El coste de hospitalización estimado considerando los días de estancia fue de 20.220.337 € para nusinersen 12 mg (25.794 días) y 7.316.262 € para nusinersen 50/28 mg, HD (9.333 días) (Figura 1).

La reducción del número de punciones lumbares anuales para la administración del tratamiento durante el primer año de nusinersen 50/28 mg (HD) en pacientes naïve a nusinersen (4.000 punciones vs 6.000 punciones con nusinersen 12 mg) conllevó un ahorro de 412.000 €/año (Figura 1).

El número de hospitalizaciones anuales se estimó en 784 (350 por infecciones, 210 por enfermedades respiratorias, torácicas y mediastínicas, 42 por trastornos sanguíneos y linfáticos, y 182 por causas desconocidas) para 1.000 pacientes tratados con nusinersen 12 mg y 304 (192 por infecciones, 80 por enfermedades respiratorias, torácicas y mediastínicas, 32 por causas desconocidas) para 1.000 pacientes tratados con nusinersen 50/28 mg (Figura 2).

El coste anual total de hospitalización, considerando las distintas causas de ingreso, fue de 4.788.462 € en pacientes tratados con nusinersen 12 mg y 2.097.613 € en aquellos tratados con nusinersen 50/28 mg (HD).

## CONCLUSIONES

El uso de nusinersen HD en pacientes con AME podría reducir las hospitalizaciones, los eventos respiratorios graves y el nº de punciones lumbares y, por tanto, podría ahorrar 17.889 € por paciente respecto a la posología actual (12 mg).

Figura 1. Costes totales

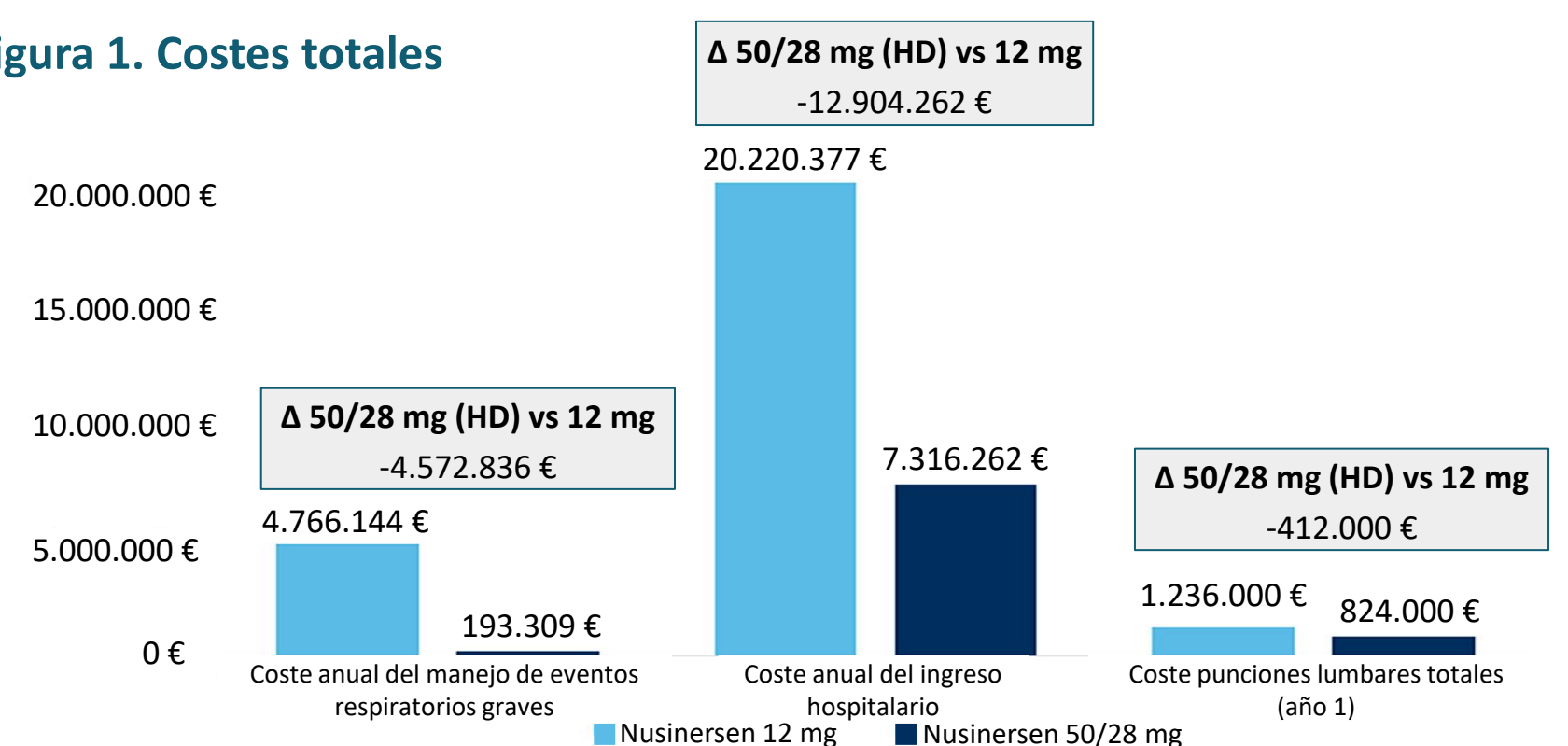


Figura 2. Hospitalizaciones anuales por causas

