



Elaboração: 2023	Última revisão: 06/2023	Próxima Revisão: 06/2025	Revisão: 01
ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME) 5q TIPO I e II CID 10: G12.0; G12.1. Portaria Conjunta SAES/SCTIE/MS – nº 6, DE 15 DE MAIO DE 2023			

Informações Gerais
Este é um guia que contém orientações sobre o medicamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF que você está recebendo gratuitamente pelo SUS. Seguindo orientações, você terá mais chance de se beneficiar com o tratamento.

Medicamentos CEAF
Nusinersena: 2,4 mg/ml solução injetável – Frasco ampola (5ml) Risdiplam: pó para solução oral de 0,75 mg/mL – Frasco (80ml)

Documentos Pessoais a serem apresentados (original e cópia)
<input type="checkbox"/> Carteira de identidade com foto (RG) <input type="checkbox"/> Cadastro de Pessoa Física (CPF) <input type="checkbox"/> Comprovante de residência com CEP (conta de água, luz, telefone ou declaração de residência) <input type="checkbox"/> Cartão Nacional de Saúde (CNS) <input type="checkbox"/> Declaração Autorizadora, caso deseje credenciar representante para receber os medicamentos

Documentos a serem emitidos pelo Médico (original e cópia)	
<input checked="" type="checkbox"/> Solicitação inicial	<input checked="" type="checkbox"/> Renovação a cada 6 (seis) meses
<input type="checkbox"/> LME - Laudo para Solicitação/Avaliação e Autorização de Medicamentos do CEAF (no campo anamnese, preencher com a história clínica do (a) paciente e se o espaço não for suficiente utilizar laudo complementar); <input type="checkbox"/> Receita Médica , com posologia para 6 (seis) meses de tratamento; <input type="checkbox"/> Laudo médico , descrevendo histórico clínico do paciente e diagnóstico; <input type="checkbox"/> Questionário para avaliação clínica de pacientes com AME 5q tipo I e II (anexo I). <input type="checkbox"/> Termo de Esclarecimento e Responsabilidade .	<input type="checkbox"/> LME - Laudo para Solicitação/Avaliação e Autorização de Medicamentos do CEAF (em qualquer mudança na terapêutica informar no campo (anamnese) e se o espaço não for suficiente utilizar laudo complementar); <input type="checkbox"/> Receita Médica , com posologia para 6 (seis) meses de tratamento. <input type="checkbox"/> Questionário para avaliação clínica de pacientes com AME 5q tipo I e II (anexo I).

Exames e documentação específica (cópias)		
<input checked="" type="checkbox"/> Solicitação inicial	<input checked="" type="checkbox"/> Renovação a cada 6 (seis) meses	<input checked="" type="checkbox"/> Adequação
<input type="checkbox"/> Cópia do exame genético confirmatório (qPCR ou MLPA) - teste de variação de número de cópias do SMN1 e SMN2 <input type="checkbox"/> Cartão de vacina atualizado (em caso de atraso em ralação ao calendário vacinal, deverá apresentar justificativa médica) Obs: Em alguns casos, poderá ser exigido pelo avaliador, cópia do exame de identificação de mutação por sequenciamento por amplicon. Caso o paciente já tenha realizado o exame, poderá anexá-lo previamente para viabilizar o processo de avaliação.	<input type="checkbox"/> Cartão de vacina atualizado (em caso de atraso em ralação ao calendário vacinal, deverá apresentar justificativa médica) Adicionalmente para mulheres em idade fértil: <input type="checkbox"/> Cópia de exame B-hCG realizado até 5 dias antes da solicitação	Em caso de alteração de posologia: <input type="checkbox"/> Laudo médico , descrevendo histórico clínico do paciente e justificativa para mudança de posologia Em caso de troca de medicamento: <input type="checkbox"/> Relatório médico padrão para troca de medicamentos (Anexo II ou III) <input type="checkbox"/> Questionário para avaliação clínica de pacientes com AME 5q tipo I e II (anexo I).

O resultado de exames garante uma correta avaliação sobre o que o medicamento está fazendo no seu organismo. Em alguns casos pode ser necessário ajustar a dose ou até interromper o tratamento. Em casos de resultado fora do especificado ou ausência de algum exame o médico deverá justificar para ser analisado. Dependendo da situação clínica do usuário, exames ou documentos adicionais poderão ser solicitados pelo avaliador técnico, de acordo com o Protocolo Clínico e Diretriz Terapêutica do Ministério da Saúde da respectiva doença.

Serviços de Referência

Unidades de Saúde do SUS que atendam **Doenças Raras**, regularizadas no CNES – Cadastro Nacional de Estabelecimentos de Saúde e credenciadas à **Farmácia de Pernambuco**.

Para receber os medicamentos

O paciente ou seu representante deve ser atendido em algum serviço de Doenças Raras que vai solicitar toda documentação necessária e encaminhar para avaliação. Após autorizado, o medicamento será enviado à Unidade de Saúde solicitante (serviço credenciado que acompanha o paciente), devendo o paciente ou representante se dirigir a esta para recebimento e devidas orientações.

Observações

- A resposta à Solicitação será emitida em até 30 (trinta) dias;
- Os documentos para renovação do tratamento devem ser apresentados com antecedência de 30 (trinta) dias;
- Em caso de dúvidas que não esteja esclarecida nesse guia, antes de tomar qualquer atitude, procure orientação com o médico ou farmacêutico.
- Para o remédio em casa, o paciente recebe a ligação e concorda em receber o medicamento. Nesse caso ele deve permanecer no programa no mínimo 6 meses e aguardar o medicamento no período acordado (manhã ou tarde).
- Para acesso a Portaria integral acesse: <http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>
- Para acesso a Normas Técnicas Estaduais acesse: <http://www.farmacia.pe.gov.br/normas-tecnicas>

Termo de Consentimento para tratamento de dados pessoais - Lei LGPD nº 13.709, de 14 de agosto de 2018

Este documento visa registrar a manifestação livre, informada e inequívoca pela qual o proprietário dos dados concorda com o tratamento de seus dados pessoais para finalidade específica, em conformidade com a Lei nº 13.709/2018 – Lei Geral de Proteção de Dados Pessoais (LGPD).

Ao aceitar o presente termo, o proprietário do dado consente e concorda que seus dados serão usados pela Secretária Estadual de Saúde de Pernambuco para alimentar o Sistema Hórus do Ministério da Saúde para ter acesso ao seu tratamento.

Assinatura do paciente ou responsável legal

QUESTIONÁRIO PARA AVALIAÇÃO CLÍNICA DE PACIENTES COM AME 5Q TIPO I E II (Anexo I)

Nome do paciente: _____ Data de nascimento: ____/____/____

Sexo: () Feminino () Masculino

Data da Avaliação: ____/____/____

Idade do início da manifestações dos sintomas: ____ () dias () meses () anos () Pré-sintomático*

*Em caso de pré-sintomáticos: Possui histórico familiar positivo para AME? () sim () não

Descreva:

Nusinersena () Risdiplam ()

Função respiratória:

- 1) Uso de ventilação mecânica nos três meses de acompanhamento (pode assinalar mais de uma opção):
() Não
() Sim, ventilação não invasiva, por ____ horas/dia durante ____ dias
() Sim, ventilação invasiva, por ____ horas/dia durante ____ dias

Observações quanto ao uso de ventilação:

- 2) Saturação de O₂ ____%

Cuidado nutricional:

- 3) Via de alimentação majoritária nos três meses de acompanhamento:
() Oral
() Nutrição enteral por tubo (nasoentérica, nasogástrica, entre outras)
- 4) Consistência da dieta majoritária nos três meses de acompanhamento:
() Sólido
() Pastoso
() Líquido

Observações:

Medidas antropométricas:

- 5) Idade ____ meses Perímetro cefálico ____ cm
Peso ____ kg Perímetro braquial ____ cm
Estatura ____ cm Perímetro torácico ____ cm

Estado Nutricional:

- 6) Escore Z (Organização Mundial da Saúde) ____ Altura por idade ____
Peso por idade ____ Índice de Massa Corporal ____

Função motora:

- 7) Classificação AME: Tipo 1 () a () b () c Tipo 2 () Tipo 3 e 4 ()

Resultado escala HFMSE ____ pontos

Resultado escala CHOP-INTEND ____ pontos

Notas: (1) Escolha a escala que mais adequada a condição clínica do paciente; scala CHOP-INTEND <http://columbiasma.org/docs/cme-2010/CHOP%20INTEND%20for%20SMA%20Type%20I%20-%20Score%20Sheet.pdf>

Orientações para a escala CHOP-INTEND: <https://iname.org.br/wp-content/uploads/2020/09/UTF-8Avaliac%CC%A7a%CC%83o-Chop-Intend-Traduc%CC%A7a%CC%83oLivre-2.pdf> Escala HFMSE e orientações: http://columbiasma.org/docs/HFMSE_2019_Manual.pdf

Anexo II
RELATÓRIO MÉDICO PARA MUDANÇA DO
TRATAMENTO DE NUSINERSENA PARA RISDIPLAM
(paciente deverá apresentar pelo menos 1 dos eventos abaixo relacionados)

Nome do paciente: _____ Data: ____/____/____

Solicito troca do medicamento Nusinersena para Risdiplam, pois o paciente apresentou:

- () Ocorrência de eventos adversos graves ao nusinersena que demandem a suspensão do tratamento*;
- () Evolução para contraturas graves ou de escoliose grave que, de acordo com o médico assistente, possam interferir na administração do nusinersena, trazendo riscos para o paciente, evidenciados por radiografia ou outros exames de imagem;
- () Surgimento de doença cerebral ou da medula espinhal que impeça a administração intratecal de medicamento ou a circulação do líquido cefalorraquidiano;
- () Necessidade de uso de derivação implantada para drenagem do líquido cefalorraquidiano ou de cateter de sistema nervoso central implantado;
- () Inefetividade do tratamento caracterizada pela regressão nos indicadores de mobilidade (escalas: CHOPINTEND - Children's Hospital Of Philadelphia Infant Test Of Neuromuscular Disorders; ou HFMSE - Hammersmith Functional Motor Scale — Expanded) após 12 meses de tratamento ou antes deste prazo, a critério médico, considerando necessariamente o resultado após duas avaliações consecutivas.

Será considerada regressão na escala de mobilidade quando o valor obtido é inferior ao medido na linha de base, ou seja, antes do início do uso do medicamento.

* Os eventos adversos graves incluem infecções graves, alterações da coagulação sanguínea, alterações da função renal, sintomas de hipertensão intracraniana, cefaleia, náusea, vômitos, letargia e edema de papila, dor e febre, lesão do parênquima nervoso, hemorragia e outros sinais de acometimento do SNC, como vertigem, sonolência, irritabilidade e convulsões. Outras reações não previstas impedem a administração continuada do medicamento.

Descrição de outros eventos:

Carimbo e assinatura do médico

Observação: Em todas as situações para a substituição do tratamento medicamentoso, além do relatório médico, deve ser anexado e preenchido o questionário previsto no Anexo I (Questionário para Avaliação Clínica de Paciente com AME 5q tipo 1 ou 2)

Anexo III
RELATÓRIO MÉDICO PARA MUDANÇA DO
TRATAMENTO DE RISDIPLAM PARA NUSINERSENA
(paciente deverá apresentar pelo menos 1 dos eventos abaixo relacionados)

Nome do paciente: _____ Data: ____/____/____

Solicito troca do medicamento Risdiplam para Nusinersena, pois o paciente apresentou:

- () Ocorrência de eventos adversos que demandem a suspensão do tratamento;
- () Ocorrência de gravidez ou lactação, pois o medicamento demonstrou ser embriofetotóxico, teratogênico, sendo excretado no leite em estudos com modelos animais*;
- () Inefetividade do tratamento caracterizada pela regressão nos indicadores de mobilidade (escalas: CHOPINTEND ou HFMSE) após 12 meses de tratamento ou antes deste prazo, a critério médico, considerando necessariamente o resultado após duas avaliações consecutivas.

Será considerada regressão na escala de mobilidade quando o valor obtido é inferior ao medido na linha de base, ou seja, antes do início do uso do medicamento.

*Inexistem dados de estudos clínicos sobre o tratamento com nusinersena durante a gravidez (período gestacional) em seres humanos. O benefício do tratamento versus risco potencial deve ser discutido com mulheres em idade fértil ou grávidas, pois o nusinersena se inclui na categoria de risco C para gravidez. Caso opte pelo tratamento, médico deve dar ciência do estado gestacional da paciente e justificar o risco benefício no campo descrição de outros eventos.

Descrição de outros eventos:

Carimbo e assinatura do médico

Observação: Em todas as situações para a substituição do tratamento medicamentoso, além do relatório médico, deve ser anexado e preenchido o questionário previsto no Apêndice 1 (Questionário para Avaliação Clínica de Paciente com AME 5q tipo 1 ou 2)

TERMO DE ESCLARECIMENTO E RESPONSABILIDADE NUSINERSENA E RISDIPLAM

Eu, _____ (nome do (a) paciente), declaro ter sido informado(a) claramente sobre os benefícios, riscos, contraindicações e principais efeitos adversos relacionados ao uso do nusinersena, indicado para o tratamento medicamentoso da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipo I. Os termos médicos foram explicados e todas as dúvidas foram esclarecidas pelo médico _____ (nome do médico que prescreve). Assim, declaro que fui claramente informado (a) de que o medicamento que passo a receber pode trazer os seguintes benefícios:

- Independência de ventilação mecânica invasiva permanente, definida como < 24 horas de ventilação por dia, continuamente, durante o período do tratamento medicamentoso, exceto por uso em caso de insuficiência respiratória aguda gerada por outras causas que não a AME 5q tipo 1;
- Independência de suporte nutricional invasivo durante o período de tratamento;
- Melhora ou estabilização de função motora, definida por critérios estabelecidos em escalas apropriadas. Fui também claramente informado (a) a respeito das seguintes contraindicações, potenciais efeitos adversos e riscos pelo uso do medicamento:

Nusinersena

Relacionados à punção lombar e administração intratecal

- Dor de cabeça, náusea, vômitos, dor lombar e infecção. A maioria destes eventos foi relatada no período de 72 horas após o procedimento.
- Sintomas e sinais de hipertensão intracraniana (cefaleia, náusea, vômitos, letargia e edema de papila) e outras complicações à punção lombar e à administração intratecal, como lesão do parênquima nervoso (dor lombar, rigidez de nuca, fraqueza ou mesmo paralisia muscular), dor e febre devidas a infecção, hemorragia e outros sinais de acometimento do sistema nervoso central, como vertigem, sonolência, irritabilidade e convulsões.

Relacionadas à ação do medicamento:

- Baixa do número de plaquetas no sangue e alteração da coagulação sanguínea, após a administração de nusinersena;
- Alteração da função renal foi observada após administração de nusinersena por vias subcutânea e intravenosa, daí ser preconizada a realização do teste de presença de proteína em urina e, em caso de persistência de proteínas urinárias presentes em concentração elevada, deve-se proceder a uma melhor avaliação.;
- Nos estudos de toxicidade realizados em modelos animais (in vivo), não foram observados efeitos relacionados aos órgãos reprodutivos, na fertilidade masculina ou feminina ou no desenvolvimento do embrião ou fetal;
 - Os efeitos do tratamento com nusinersena sobre o parto e o trabalho de parto são desconhecidos;
 - Inexistem dados de estudos clínicos sobre o tratamento com nusinersena durante a gravidez (período gestacional) em seres humanos. O benefício do tratamento versus risco potencial deve ser discutido com mulheres em idade fértil ou grávidas, pois o nusinersena se inclui na categoria de risco C para gravidez;
 - Insuficiência renal e alterações hepáticas não foram estudadas em pacientes em uso de nusinersena.

Risdiplam

Relacionadas à ação do medicamento:

- Nos estudos de toxicidade realizados em modelos animais (in vivo), foram observados efeitos relacionados aos órgãos reprodutivos, na fertilidade masculina ou feminina ou no desenvolvimento do embrião ou fetal. Os pacientes com potencial reprodutivo devem ser informados dos riscos e devem utilizar contracepção altamente eficaz durante o tratamento e até pelo menos 1 mês após a última dose para pacientes do sexo feminino e 4 meses após a última dose para pacientes do sexo masculino;
- Os efeitos do tratamento com risdiplam sobre o parto e o trabalho de parto são desconhecidos;
- O uso durante a gestação ou lactação é contraindicado, uma vez que se inclui na categoria de risco C para gravidez. O risdiplam demonstrou ser embriofetotóxico, teratogênico, sendo excretado no leite em estudos com modelos animais;
- Em pacientes com insuficiência hepática leve ou moderada não houve impacto na farmacocinética, segurança e tolerabilidade de uma dose única de 5 mg de risdiplam, não sendo necessário realizar o ajuste de doses;
- Insuficiência renal, insuficiência hepática grave e idade superior a 60 anos não foram situações estudadas em pacientes em uso de risdiplam.

Estou ciente de que este medicamento somente pode ser utilizado por mim, comprometendo-me a devolvê-lo caso não queira ou não possa utilizá-lo ou se o tratamento for interrompido. Sei também que continuarei a ser atendido (a), inclusive em caso de desistir de usar o medicamento.

Autorizo o Ministério da Saúde e as Secretarias de Saúde a fazerem uso de informações relativas ao meu tratamento, desde que assegurado o anonimato. () Sim () Não

Local:	Data:
Nome do Paciente:	
Cartão Nacional de Saúde:	
Nome do responsável legal:	
Documento de identificação do responsável legal:	
_____ Assinatura do paciente ou responsável legal	
Nome do Médico:	CRM:
UF:	
_____ Assinatura e carimbo médico	
Data:	

Este termo é obrigatório ao se solicitar o fornecimento de medicamento do componente especializado da Assistência Farmacêutica e deverá ser preenchido em duas vias: uma ficará arquivada na farmácia e a outra será entregue ao usuário ou a seu responsável legal.

DECLARAÇÃO AUTORIZADORA

(Portaria de Consolidação nº 2, de 28 de setembro de 2017)

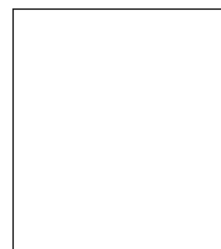
Nome Paciente: _____ CNS: _____

Autorizo os representantes abaixo relacionados a me representarem na Farmácia de Medicamentos Especializados da Secretaria de Saúde do Estado de Pernambuco para formalização da solicitação de medicamentos, renovação da continuidade de tratamento e recebimento de medicamentos.

REPRESENTANTE 1*			
Nome Completo:			
Nº Doc. de Identidade (RG):		UF:	Órgão Emissor:
Nº CPF:			
Parentesco:			
Logradouro:		Nº	Complemento:
Bairro:	UF:	Município:	CEP:
Telefones para contato:			
Email:			
REPRESENTANTE 2*			
Nome Completo:			
Nº Doc. De Identidade (RG):		UF:	Órgão Emissor:
Nº CPF:			
Parentesco:			
Logradouro:		Nº	Complemento:
Bairro:	UF:	Município:	CEP:
Telefones para contato:			
Email:			
REPRESENTANTE 3*			
Nome Completo:			
Nº Doc. de Identidade (RG):		UF:	Órgão Emissor:
Nº CPF:			
Parentesco:			
Logradouro:		Nº	Complemento:
Bairro:	UF:	Município:	CEP:
Telefones para contato:			
Email:			

*Anexar cópia do RG dos representantes autorizados.

Data: ___ / ___ /20___ Assinatura do paciente: _____



Campo para digital