



– Doença/Agravo:

✓ ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME) 5q tipos I b/c e tipo II

– Código internacional de doenças (CID-10) contemplado(s):

- G 12.0 — Atrofia muscular espinal infantil tipo I (Werdnig-Hoffman)
- G 12.1 – Outras atrofia muscular espinal hereditárias

– Medicamento(s) disponível(is):

- **NUSINERSENA 2,4 mg/mL solução injetável (por frasco ampola – 5mL)**
- **RISDIPLAM 0,75mg/mL pó para solução oral (80mL) – para pacientes com idade ≥ 2 meses**

– Regulamentação fundamentada para obtenção do(s) medicamento(s) do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF):

- Título IV, do Anexo XXVIII da Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017.
- Portaria Conjunta nº 03, de 18 de janeiro de 2022 – Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT).

– Procedimentos e demais informações:

- Todas as orientações quanto à abertura e renovação de processos, bem como, dispensação de medicamentos podem ser verificadas no documento intitulado “**ORIENTAÇÕES GERAIS**” que encontra no site da CEMAC Juarez Barbosa acessando o link abaixo:

[ORIENTAÇÕES GERAIS](#)

- Comunicamos que **O MEDICAMENTO NUSINERSENA NÃO SERÁ ENTREGUE NA UNIDADE**, pois as aplicações são realizadas em um centro de referência.
- Caso o paciente **não resida em Goiânia**, deverá solicitar regulação para o **CRER** (Centro Estadual de Reabilitação e Readaptação Dr. Henrique Santillo), junto à Secretaria de Saúde do seu município.
- Caso o paciente **resida no município de Goiânia** mas não esteja fazendo o acompanhamento médico no CRER, este deverá solicitar regulação para o **CRER** (Centro Estadual de Reabilitação e Readaptação Dr. Henrique Santillo), na Unidade de Saúde mais próxima de sua residência.
- Após esse procedimento o CRER entrará em contato nos números de telefone informados pelo paciente, para agendar a reavaliação e informar o dia da aplicação.
- Para maiores esclarecimentos, entrar em contato com a CEMAC Juarez Barbosa pelo telefone: (62) 3201-7449 ou 3201-7446 ou 3201-7450

RELAÇÃO DE DOCUMENTOS E EXAMES NECESSÁRIOS PARA ABERTURA DE PROCESSO



ATENÇÃO: Os documentos e exames aqui solicitados deverão ser encaminhados por **meio eletrônico** para a CEMAC Juarez Barbosa, sendo o armazenamento dos originais responsabilidade do Usuário SUS, exceto prescrições de medicamentos sob controle especial. A documentação original poderá ser solicitada a qualquer tempo pela Unidade.

A apresentação de informações ou documentos falsos, em todo ou parte, configura crime sujeito as penalidades legais.

1 – Prescrição médica devidamente preenchida: O medicamento deve ser prescrito pela Denominação Comum Brasileira, considerando o Art. 3º da Lei Federal nº 9.787 de 10/02/1999. **Todas as prescrições médicas (originais) devem estar disponíveis no ato da dispensação do(s) medicamento(s).**

- PRESCRIÇÃO MÉDICA (sem controle especial). O documento original deverá ser apresentado no ato da dispensação do(s) medicamento(s).

(Validade máxima de 180 dias corridos a contar da data da emissão)

2 – Preenchimento do Formulário para ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME) 5q tipos I e II– pelo médico especialista em PEDIATRIA E/OU NEUROLOGIA E/OU GENÉTICA MÉDICA. (Anexo I)

3 – Cópia do cartão de vacinação do paciente contendo as vacinas recomendadas pelo calendário vacinal vigente no SUS.

4 - Relação do(s) Exame(s) Obrigatório(s) para inclusão no Programa:

✓ **Observações:**

- O Laudo Laboratorial deve ser datado e assinado pelo responsável técnico, conforme a resolução RDC nº 302/2005 (ANVISA/MS).
- Posteriormente, OUTROS exames complementares poderão ser exigidos por esta Unidade de Saúde, para que a avaliação dessa solicitação seja concluída

- Laudo do exame quantitativo de genes SMN1 e SMN2 (por MPLA ou qPCR).

Atenção: Caso o exame **não apresente** a ausência das duas cópias completas de SMN1 o paciente deverá apresentar outros exames de investigação genética com identificação da mutação por sequenciamento (heterozigose composta ou homozigose).

- **CURVA DE CRESCIMENTO atualizada** (segundo a OMS).

5 – Termo de compromisso para monitorização do paciente em uso do medicamento NURSINERSENA (Anexo II).

6 – Documentos pessoais do paciente:

- Carteira de Identidade ou Certidão de Nascimento;
- CPF;
- Comprovante de Endereço com CEP (água, luz ou telefone);
- Cartão SUS. Caso o usuário não possua Cartão SUS, este cartão poderá ser feito na CEMAC Juarez Barbosa.

7 – Termo de Esclarecimento e Responsabilidade com todos os campos corretamente preenchidos sem emenda e/ou rasura. Atenção: esse documento é assinado pelo paciente (ou responsável legal) e pelo médico. O reconhecimento da incapacidade do paciente é confirmado mediante a apresentação de documentos comprobatórios (Tutela, Curatela, Interdição ou equivalente) ou, ainda, por meio do preenchimento do “campo 13” do LME pelo médico assistente.



8 – LME (Laudo para Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica) adequadamente preenchido. As instruções de preenchimento e o arquivo do LME, para preenchimento manual, estão disponíveis para serem baixados (*download*) no sítio eletrônico <http://www.saude.go.gov.br>. Seguem abaixo os links para acesso aos documentos:

[ORIENTAÇÕES SOBRE O PREENCHIMENTO DA LME](#)

[LME](#)

Cabe ainda salientar que o **LME** terá noventa (**90**) **DIAS DE VALIDADE**, a partir de sua data de preenchimento pelo médico solicitante, para a solicitação de medicamentos na Unidade.



Anexo I – FORMULÁRIO PARA ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME) 5q tipos I e II **INCLUSÃO, ACOMPANHAMENTO e MUDANÇA de tratamento**

Questionário para ser preenchido pelo médico especialista em:
PEDIATRA e/ou NEUROLOGIA e/ou GENÉTICA MÉDICA.

1. Nome do(a) paciente: _____

2. Data de nascimento do paciente: ____/____/____ 3. Peso (*em Kg*): _____

4. Data do INÍCIO DOS SINTOMAS: _____ 5. Data do diagnóstico: _____

6. Paciente se enquadra em qual classificação (*conforme os resultados dos testes genéticos e seu fenótipo*)?

6.1 AME 5q I - 1a ou 0 [] - 1b [] - 1c []

6.2 AME 5q II - [] 6.3 AME 5q III - [] 6.4 AME 5q IV - []

7. Quanto à **Função respiratória**:

7.1) 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

7.2) Saturação de O₂ _____%. Data/Período: _____

8. Quanto aos **Cuidados nutricionais**:

8. 1) Via de alimentação majoritária nos três meses de acompanhamento:

[] Oral [] Nutrição enteral por tubo (nasoentérica, nasogástrica, entre outras)

[] Ostomias. Caso tenha descrever quais abaixo:

8. 2) Consistência da dieta majoritária nos três meses de acompanhamento:

[] Sólido [] Pastoso [] Líquido

8.3) Estado nutricional

a) Escore Z (Organização Mundial da Saúde) _____

b) Índice de Massa Corporal _____ kg/m²



9. Medidas antropométricas

- a) Estatura _____ cm b) Perímetro cefálico _____ cm
c) Perímetro braquial _____ cm d) Perímetro torácico _____ cm

10. Quanto à **Função motora** (escala mais adequada ao paciente¹):

9.1) Resultado escala **HINE-2*** _____ pontos.

*Escala disponível em: https://www.togetherinsma-hcp.com/en_us/home/sma-care/motor-function-measures.html

9.2) Resultado escala **CHOP-INTEND**** _____ pontos.

**Escala disponível em: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3260046/>

9.3) Resultado escala **HFMSE***** _____ pontos.

***Escala disponível em: http://columbiasma.org/docs/HFMSE_2019_Manual.pdf

¹Apresentar justificativa da escala escolhida:

10. O paciente apresenta:

10.1) História de doença cerebral ou da medula espinhal, bem como, contraturas graves ou escoliose?

Não Sim. Citar: _____

10.2) Possui derivação implantada para drenagem do líquido cefalorraquidiano ou de cateter de SNC implantado?

Não Sim. Citar: _____

11. Paciente já fez uso do medicamento (**NURSINERSENA**)? Não Sim.

- **SE SIM**, em qual fase do tratamento o paciente se encontra?

✓ **Fase INICIAL**. Quais aplicações já foram realizadas e a data da última aplicação:

✓ **Fase de MANUTENÇÃO**. Citar a posologia e a data da última aplicação realizada:



12. Outras informações pertinentes ao Início ou Mudança de tratamento:

Data: ____/____/____

Assinatura e carimbo do médico solicitante
PEDIATRA e/ou NEUROLOGIA e/ou GENÉTICA MÉDICA



Anexo II - Este termo deve ser emitido **EM DUAS VIAS**, sendo uma via da Farmácia e outra do paciente.

TERMO DE COMPROMISSO PARA MONITORIZAÇÃO DA
Atrofia Muscular Espinhal (AME)

Eu, _____ (nome do(a) **RESPONSÁVEL LEGAL**), declaro ter sido informado(a) claramente sobre o período e os exames que constituem a monitorização estabelecida para o tratamento da **Atrofia Muscular Espinhal (AME)** e que devo trazer o(s) seguinte(s) documento(s), **a cada SEMESTRE**:

1. Questionário para avaliação clínica de paciente com Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q tipos I e II – Monitorização, devidamente preenchido, por médico com especialidade em **PEDIATRA E/OU NEUROLOGIA E/OU GENÉTICA MÉDICA**.

Nome do paciente:

Data: ____/____/____

Assinatura do paciente ou do responsável legal

Observações:

- O medicamento Nusinersena será entregue pela Central Estadual de Medicamentos de Alto Custo (CEMAC) Juarez Barbosa, diretamente ao Centro de Referência de aplicação do medicamento, quando do agendamento do procedimento, portanto não haverá entrega direta do medicamento aos pacientes e nem para seus representantes legais.

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 nursinersena, indicado para o tratamento medicamentoso da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2.

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 tipos 1 e 2;

- independência de suporte nutricional invasivo durante o período de tratamento; e

- 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 de medicamento:

NUSINERSENA:

Relacionados à punção lombar e administração intratecal

- Dor de cabeça, náusea, vômitos, dor lombar e infecção. A maioria destes eventos foi reportada 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 nursinersena;
- alteração da função renal foi observada após administração de nursinersena por vias subcutânea e intravenosa, daí ser recomendada 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**

() **NUSINERSENA**

() **RISDIPLAM**

Local:	Data:
Nome do paciente:	
Cartão Nacional de Saúde:	



Nome do responsável legal:

Documento de identificação do responsável legal:

Assinatura do paciente ou do responsável legal:

Médico responsável:

Assinatura e Carimbo do Médico:

CRM:

UF:

Observações:

- Este Termo é obrigatório ao se solicitar o fornecimento de medicamento do Componente Especializado de Assistência Farmacêutica (CEAF) e deverá ser preenchido em duas vias: uma será arquivada na farmácia e a outra, entregue ao usuário ou a seu responsável legal.

– O nusinersena se inclui na Tabela de Procedimentos, Medicamentos, Órteses, Próteses e Materiais Especiais do SUS sob o código 06.04.79.001-9, sendo dispensado no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) casos com diagnóstico clínico e genético de AME 5q tipo 1B/C ou AME 5q tipo 2.

- O nusinersena integra a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica, sendo adquirido pelo Ministério da Saúde e fornecido aos centros de referência definidos pelos respectivos gestores estaduais e distrital do SUS pelos núcleos farmacêuticos das secretarias estaduais e distrital de saúde.