



– Doença/Agravo:

✓ DOENÇA DE GAUCHER

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

- E 75.2 — Outras esfingolipidoses.

– Medicamento(s) disponível(is):

- **ALFATALIGLICERASE 200 U Injetável (por frasco ampola) - (TRE)**
- **ALFAVELAGLICERASE 200 U Injetável (por frasco ampola) - (TRE)**
- **ALFAVELAGLICERASE 400 U Injetável (por frasco ampola) - (TRE)**
- **IMIGLUCERASE 400 U Injetável (por frasco ampola) - (TRE)**
- **MIGLUSTATE 100 mg (ISS) – Somente para pacientes com idade ≥ 18 anos.**

– 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 n.º 04 de 27 de junho de 2017 – 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

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 – Formulário para o Tratamento da Doença de Gaucher – adequadamente preenchido pelo médico solicitante e aplicado para os casos de **INÍCIO** e **MUDANÇA** de tratamento. **(Anexo I)**



3 – 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

- ^{*1} Xérox do Laudo do EXAME POR MÉTODO DE ENSAIO IMUNOENZIMÁTICO (ou outro) EM LEUCÓCITOS DO SANGUE PERIFÉRICO PARA medida da atividade da enzima beta-glicocerebrosidade (Sem Validade definida);
- Xérox do Laudo do exame Hemograma Completo (Validade máxima de 90 dias);
- Xérox do Laudo do exame de Dosagem de Ferritina Sérica (Validade máxima de 90 dias);
- Xérox do Laudo do exame de Dosagem de Aspartato Aminotransferase – AST – ou Glutâmico Oxaloacética – TGO – (Validade máxima de 90 dias);
- Xérox do Laudo do exame de Dosagem de Alanina Aminotransferase – ALT – ou Glutâmico Pirúvica – TGP – (Validade máxima de 90 dias);
- Xérox do Laudo do exame de Dosagem de Gama Glutamil Transferase – Gama-GT – (Validade máxima de 90 dias);
- Xérox do Laudo de Ultrassonografia de Abdômen OU Xérox do Laudo de Tomografia Computadorizada de Abdômen OU Xérox do Laudo de Ressonância Magnética de Abdômen (Validade máxima de 90 dias);;
- Xérox do Laudo Radiológico de coluna vertebral em perfil, quadril em anteroposterior e de ossos longos (Validade máxima de 90 dias);
- Xérox da CURVA DE CRESCIMENTO (segundo a OMS 2007) para pacientes com idade inferior a 19 (dezenove) anos.
- Xérox do Laudo do exame de β -HCG sérico para mulheres em idade fértil (Validade máxima de 10 (dez) dias);

^{*1}Atenção: Caso o resultado do exame de medida da atividade da enzima beta-glicocerebrosidade em leucócitos possa gerar controvérsias, poderá ser solicitado, adicionalmente, os exames listados abaixo:

- Xérox do Laudo do EXAME POR MÉTODO DE ENSAIO IMUNOENZIMÁTICO (ou outro) EM fibroblastos PARA medida da atividade da enzima beta-glicocerebrosidade (Sem Validade definida);

OU

- Xérox do Laudo de análise do gene GBA1 (contemplando a verificação das mutações: N370S/N370S, N370S/L444P e p.L444P/L444P) - (Sem Validade definida)

4 – 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.

5 – 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.

6 – 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.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 o Tratamento da Doença de Gaucher
Aplicado para **INÍCIO E MUDANÇA DE TRATAMENTO**

1. Nome do paciente: _____

2. Data de preenchimento: ____/____/____

3. Peso atual (kg): _____ 4. Data de nascimento: ____/____/____

5. Paciente está em início de tratamento? () Sim () Não. Preencher abaixo:

Em tratamento farmacológico para doença de Gaucher desde: _____

5.1 Atualmente está em uso de:

() TRE com imiglucerase. Dose: _____(UI/kg/inf) quinzenal.

Desde: ____/____

() TRE com alfataliglicerase. Dose: _____(UI/kg/inf) quinzenal.

Desde: ____/____

() TRE com alfavelaglicerase. Dose: _____(UI/kg/inf) quinzenal.

Desde: ____/____

() ISS com miglustate 100 mg: _____

Desde: ____/____

5.2 Em caso de mudança de TRATAMENTO ou INÍCIO de tratamento deseja utilizar:

() TRE com imiglucerase. Dose: _____(UI/kg/inf) quinzenal.

() TRE com alfataliglicerase. Dose: _____(UI/kg/inf) quinzenal.

() TRE com alfavelaglicerase. Dose: _____(UI/kg/inf) quinzenal.

() ISS com miglustate 100 mg: _____ (Em caso de início de tratamento, apresentar justificativa do uso em detrimento dos TRE's)

5.3 Justificar abaixo a mudança de TRATAMENTO e/ou a DOSE INICIAL PRECONIZADA:

6. Dados clínicos atuais do paciente:

6.1 Conforme estabelece o PCDT-Gaucher (Portaria Conjunta n.º 04 de 27 de junho de 2017) o paciente apresenta qual forma clínica da doença ?

() Tipo 1 () Tipo 2 () Tipo 3

6.2 Necessita transfusões? () Sim. () Não.

6.3 Sangramentos espontâneos? () Sim. () Não.



6.4 Possui acometimento cardiopulmonar secundário a Doença de Gaucher?

() Sim. Apresentar ecocardiograma e radiografia simples de tórax ou espirometria. () Não.

6.5 Tamanho ou volume atuais do fígado : _____

Técnica utilizada para aferição:

() Exame físico. () USG abdominal () TC abdômen. () RM abdômen.

6.6 Tamanho ou volume do baço: _____

Técnica utilizada para aferição:

() Exame físico. () USG abdominal () TC abdômen. () RM abdômen.

6.7 Possui osteoporose confirmada por densitometria óssea? () Sim. () Não.

6.7.1 Já fez uso de medicamentos para o tratamento da osteoporose? () Sim. () Não.

6.7.2 Cite os medicamentos utilizados e o período de uso a seguir:

6.8 Tem sintomas gerais incapacitantes?

() Sim. Quais?

() Não.

6.9 Tem mieloma múltiplo? () Sim. () Não.

7. Outras informações pertinentes:

Assinatura e carimbo de Médico Responsável

**TERMO DE ESCLARECIMENTO E RESPONSABILIDADE**
Alfataliglicerase, Imiglucerase, Alfavelaglicerase, Miglustate.

Eu, _____ (nome do(a) paciente), declaro ter sido informado(a) claramente sobre benefícios, riscos, contraindicações e principais efeitos adversos relacionados ao uso de **alfataliglicerase, imiglucerase, alfavelaglicerase ou miglustate**, indicados para o tratamento da **Doença de Gaucher**.

Os termos médicos foram explicados e todas as dúvidas foram resolvidas pelo médico _____ (nome do médico que prescreve).

Assim, declaro que fui claramente informado(a) de que o medicamento que passo a receber pode trazer as seguintes melhoras:

- melhora do cansaço (melhora dos quadros de anemia), e dos sangramentos (pela melhora do quadro de trombocitopenia);
- diminuição do tamanho do fígado e do baço;
- prevenção de fraturas;
- melhora da qualidade de vida.

Fui também claramente informado(a) a respeito das seguintes contraindicações, potenciais efeitos adversos e riscos do uso do medicamento:

- na gravidez: estudos em animais com **imiglucerase** e **alfavelaglicerase** não mostraram anormalidades nos descendentes, porém não há estudos em mulheres grávidas. O risco para o bebê é muito improvável; entretanto o médico deve avaliar se os benefícios são maiores do que os riscos. **Miglustate é contraindicado durante a gravidez**; também as mulheres em idade fértil devem evitar a gestação 90 dias após a suspensão do tratamento. Durante o uso do medicamento e até 90 dias após sua suspensão os homens devem proteger-se para evitar a geração de filhos;

- não há informações nos estudos clínicos com a **alfataliglicerase** que relatem problemas durante a gestação para a mãe ou ao bebê; estudos continuam sendo realizados;

- na amamentação: não se sabe se a **alfataliglicerase, imiglucerase e alfavelaglicerase** são excretados no leite materno, portanto, durante a amamentação, o médico deve avaliar se os benefícios são maiores do que os riscos; o miglustate é contraindicado na amamentação;

- efeitos adversos mais comuns para **imiglucerase** e **alfavelaglicerase**: dor de cabeça e reações alérgicas (que incluem vermelhidão, coceira, tosse, sensação de formigamento, dor no peito, falta de ar e diminuição da pressão arterial); outros eventos já relatados incluem dor abdominal, sensação de calor, dores nas articulações, tonturas e irritação da pele;

- efeitos adversos mais comuns para **miglustate**: perda de peso, diminuição do apetite, tremores, tonturas, dor de cabeça, câibras nas pernas, náusea, vômitos, diarreia, prisão de ventre e gases;

- efeitos adversos mais comuns para **alfataliglicerase**: hipersensibilidade, dor de cabeça e coceiras;



• medicamentos contraindicados em casos de hipersensibilidade (alergia) conhecida ao fármaco ou componentes da fórmula.

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 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.**

Meu tratamento constará do seguinte medicamento:

() **alfataliglicerase.**

() **imiglucerase.**

() **alfavelaglicerase.**

() **miglustate.**

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:

Observação:

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.