

**RELAÇÃO DE DOCUMENTOS E EXAMES PARA ABERTURA DE PROCESSO
ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL 5Q TIPO I E TIPO II – CID: G12.0 / G12.1****DOCUMENTOS**

- LAUDO DE SOLICITAÇÃO/AVALIAÇÃO E AUTORIZAÇÃO DE MEDICAMENTOS (LME);
- CÓPIA DO CARTÃO NACIONAL DE SAÚDE (CNS);
- CÓPIA DO CPF E CARTEIRADE DE IDENTIDADE (RG);
- CÓPIA DO COMPROVANTE DE RESIDÊNCIA;
- PRESCRIÇÃO MÉDICA;
- CÓPIA DO CARTÃO DE VACINAÇÃO ATUALIZADO OU SITUAÇÃO VACINAL DE ACORDO COM O CALENDÁRIO VACINAL VIGENTE NO SUS DESCRITA EM LAUDO MÉDICO;
- QUESTIONÁRIO PARA AVALIAÇÃO CLÍNICA DE PACIENTES COM AME 5q TIPO I E TIPO II EM USO DE NUSINERSENA (**APÊNDICE 1 DO PCDT**);
- TERMO DE CIÊNCIA DO PACIENTE OU DE SEU RESPONSÁVEL LEGAL DE QUE O MEDICAMENTO SERÁ FORNECIDO DIRETAMENTE AO CENTRO DE REFERÊNCIA DEFINIDO;
- TERMO DE ESCLARECIMENTO E RESPONSABILIDADE PREENCHIDO (No caso de assinatura por responsável apresentar IDENTIDADE e CPF do mesmo);
- NO CASO DE RETIRADA POR PORTADOR: DECLARAÇÃO AUTORIZADORA DE RETIRADA POR TERCEIROS COM CÓPIA DE RG, CPF, COMPROVANTE DE RESIDÊNCIA DO PORTADOR E CÓPIA DO RG DO PACIENTE.

INFORMAÇÕES/EXAMES**LAUDO (Todos os medicamentos):**

- LAUDO MÉDICO DETALHADO COM:
 - 1) DESCRIÇÃO CLÍNICA DOS SINAIS E SINTOMAS (HIPOTONIA E FRAQUEZA MUSCULAR) MEMBROS E MÚSCULOS ACOMETIDOS E, PRINCIPALMENTE O PERÍODO EM QUE OCORREU O INÍCIO DOS SINTOMAS;
 - 2) INFORMAR O TIPO DE AME;
 - 3) INFORMAR SE EXISTE HISTÓRICO FAMILIAR DE AME;
 - 4) ENSAIO GENÉTICO (PRESENÇA DE ATÉ TRÊS CÓPIAS DE SMN2 E A DESCRIÇÃO DO INÍCIO DOS SINTOMAS);
 - 5) INFORMAR AS CONDIÇÕES DE NUTRIÇÃO E HIDRATAÇÃO AS QUAIS O PACIENTE SE ENCONTRA SUBMETIDO (COM OU SEM GASTROSTOMIA), PESO CORPORAL (PELO MENOS 3º PERCENTIL DE PESO CORPORAL PARA A IDADE);
 - 6) INFORMAR SE O CALENDÁRIO DE VACINAÇÃO EM DIA;
 - 7) INFORMAR SE JÁ INICIOU O TRATAMENTO E DATA DA ÚLTIMA APLICAÇÃO PARA PACIENTES EM MANUTENÇÃO;
 - 8) INFORMAR SE O PACIENTE JÁ FOI OU ESTÁ SENDO SUBMETIDO A VENTILAÇÃO MECÂNICA OU INVASIVA PERMANENTE (24HS DE VENTILAÇÃO/DIA).

EXAMES:

- CÓPIA DO EXAME GENÉTICO CONFIRMATÓRIO (QPCR OU MLPA) – OBRIGATÓRIO;
- CÓPIA DO EXAME DE IDENTIFICAÇÃO DE MUTAÇÃO POR SEQUENCIAMENTO POR AMPLICOM (FACULTATIVO).

INFORMAÇÕES IMPORTANTES

- O DEFERIMENTO DA SOLICITAÇÃO E AUTORIZAÇÃO DO FORNECIMENTO DO NUSINERSENA NO ÂMBITO DO COMPONENTE ESPECIALIZADO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA (CEAF) ESTÁ VINCULADA À AVALIAÇÃO DA EFETIVIDADE E SEGURANÇA DESSE MEDICAMENTO. A EFETIVIDADE E A SEGURANÇA DO TRATAMENTO SERÃO AVALIADAS PERÍODICAMENTE POR MEIO DE MEDIDAS DE FUNÇÃO MOTORA, CARDIORRESPIRATÓRIA, GASTROINTESTINAL E NUTRICIONAL, ALÉM DE QUESTIONÁRIO CLÍNICO (APÊNDICE 1) E AVALIAÇÃO DO PERFIL DE EVENTOS ADVERSOS (QUADRO 4 DO PCDT).



PARA MUDANÇA DO TRATAMENTO DE NUSINERSENA PARA RISDIPLAM É OBRIGATÓRIO:

- APRESENTAÇÃO DE RELATÓRIO MÉDICO DESCREVENDO OS MOTIVOS PARA SUSPENSÃO E TROCA DE TRATAMENTO (OCORRÊNCIA DE EVENTOS ADVERSOS GRAVES AO NUSINERSENA; 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: CHOP-INTEND 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) E
- QUESTIONÁRIO PARA AVALIAÇÃO CLÍNICA DE PACIENTE COM AME 5Q TIPO 1 OU 2 (APÊNDICE 1 DO PCDT) PREENCHIDO.

PARA MUDANÇA DO TRATAMENTO DE RISDIPLAM PARA NUSINERSENA É OBRIGATÓRIO:

- APRESENTAÇÃO DE RELATÓRIO MÉDICO DESCREVENDO OS MOTIVOS PARA A SUSPENSÃO E TROCA DE MEDICAMENTO (EVENTOS ADVERSOS QUE DEMANDEM A SUSPENSÃO DO TRATAMENTO; GRAVIDEZ OU LACTAÇÃO; INEFETIVIDADE DO TRATAMENTO CARACTERIZADA PELA REGRESSÃO NOS INDICADORES DE MOBILIDADE (ESCALAS: CHOP-INTEND OU HFMSE) APÓS 12 MESES DE TRATAMENTO OU ANTES DESTE PRAZO, A CRITÉRIO MÉDICO, CONSIDERANDO NECESSARIAMENTE O RESULTADO APÓS DUAS AVALIAÇÕES CONSECUTIVAS) E
- QUESTIONÁRIO PARA AVALIAÇÃO CLÍNICA DE PACIENTE COM AME 5Q TIPO 1 OU 2 (APÊNDICE 1 DO PCDT) PREENCHIDO.



COMPONENTE ESPECIALIZADO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA

LAUDO DE SOLICITAÇÃO, AVALIAÇÃO E AUTORIZAÇÃO DE MEDICAMENTO(S)

SOLICITAÇÃO DE MEDICAMENTO(S)

CAMPOS DE PREENCHIMENTO EXCLUSIVO PELO MÉDICO SOLICITANTE

1- Número do CNES*		2- Nome do estabelecimento de saúde solicitante					
3- Nome completo do Paciente*		5- Peso do paciente*				kg	
4- Nome da Mãe do Paciente*		6- Altura do paciente*				cm	
7- Medicamento(s)*		8- Quantidade solicitada*					
		1º mês	2º mês	3º mês	4º mês	5º mês	6º mês
1							
2							
3							
4							
5							
6							
9- CID-10*		10- Diagnóstico					
11- Anamnese*							
12- Paciente realizou tratamento prévio ou está em tratamento da doença?*							
<input type="checkbox"/> NÃO <input type="checkbox"/> SIM. Relatar:							
13- Atestado de capacidade*							
A solicitação do medicamento deverá ser realizada pelo paciente. Entretanto, fica dispensada a obrigatoriedade da presença física do paciente considerado incapaz de acordo com os artigos 3º e 4º do Código Civil. O paciente é considerado incapaz?							
<input type="checkbox"/> NÃO <input type="checkbox"/> SIM. Indicar o nome do responsável pelo paciente, o qual poderá realizar a solicitação do medicamento							
14- Nome do médico solicitante*						Nome do responsável	
15- Número do Cartão Nacional de Saúde (CNS) do médico solicitante*		16- Data da solicitação*				17- Assinatura e carimbo do médico*	
18 - CAMPOS ABAIXO PREENCHIDOS POR*: <input type="checkbox"/> Paciente <input type="checkbox"/> Mãe do paciente <input type="checkbox"/> Responsável (descrito no item 13) <input type="checkbox"/> Médico solicitante							
<input type="checkbox"/> Outro, informar nome: _____ e CPF _____							
19- Raça/Cor/Etnia informado pelo paciente ou responsável*				20- Telefone(s) para contato do paciente			
<input type="checkbox"/> Branca <input type="checkbox"/> Amarela <input type="checkbox"/> Preta <input type="checkbox"/> Indígena. Informar Etnia: _____ <input type="checkbox"/> Parda				_____			
21- Número do documento do paciente				23- Assinatura do responsável pelo preenchimento*			
<input type="checkbox"/> CPF ou <input type="checkbox"/> CNS _____				_____			
22- Correio eletrônico do paciente _____							

* CAMPOS DE PREENCHIMENTO OBRIGATÓRIO



APÊNDICE 1

FORMULÁRIO PARA AVALIAÇÃO CLÍNICA DE PACIENTES COM AME 5Q TIPOS 1 E 2 (Deve ser preenchido pelo médico especialista em PEDIATRIA E/OU NEUROLOGIA E/OU GENÉTICA MÉDICA)

NOME DO (A) PACIENTE: _____

IDADE DO (A) NASCIMENTO PACIENTE: ____/____/____ PESO EM KG: _____

DATA DO INÍCIO DOS SINTOMAS: _____ DATA DO DIAGNÓSTICO: _____

MEDICAMENTO SOLICITADO: NUSINERSENA () RISDIPLAM ()**FUNÇÃO RESPIRATÓRIA**

01 - USO DE VENTILAÇÃO MECÂNICA NOS TRÊS MESES DE ACOMPANHAMENTO (CASO NECESSÁRIO PODE SER ASSINALADA 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:

02 - SATURAÇÃO DE O₂: _____%**CUIDADO NUTRICIONAL**

03 - VIA DE ALIMENTAÇÃO MAJORITÁRIA NOS TRÊS MESES DE ACOMPANHAMENTO:

() ORAL

() NUTRIÇÃO ENTERAL POR TUBO (NASOENTÉRICA, NASOGÁSTRICA, ENTRE OUTRAS OSTOMIAS)

04 - CONSISTÊNCIA DA DIETA MAJORITÁRIA NOS TRÊS MESES DE ACOMPANHAMENTO:

() SÓLIDA

() PASTOSA

() LÍQUIDA

OBSERVAÇÕES:

MEDIDAS ANTROPOMÉTRICAS

05 - IDADE _____ MESES

06 - PESO _____ KG

07 - SEXO: () M () F

08 - ESTATURA: _____ CM

09 - PERÍMETRO CEFÁLICO: _____ CM

10 - PERÍMETRO BRAQUIAL: _____ CM

11 - PERÍMETRO TORÁCICO _____ CM

ESTADO NUTRICIONAL

12 - ESCORE Z (OMS): _____

13 - PESO POR IDADE: _____

14 - ALTURA POR IDADE: _____

15 - ÍNDICE DE MASSA CORPORAL: _____

FUNÇÃO MOTORA

16 - CLASSIFICAÇÃO DA AME - () TIPO 1 () TIPO 2 () TIPO 3 OU 4

17 - RESULTADO ESCALA CHOP-INTEND: _____ PONTOS - DATA DA AVALIAÇÃO: ____/____/____

18 - RESULTADO ESCALA HFMSE: _____ PONTOS - DATA DA AVALIAÇÃO ____/____/____

RELATÓRIO MÉDICO COM DESCRIÇÃO DA SITUAÇÃO MOTORA DO PACIENTE E JUSTIFICATIVA PARA ESCOLHA DA ESCALA QUE MELHOR SE ADEQUA À CONDIÇÃO DO PACIENTE (UTILIZE O VERSO CASO NECESSÁRIO):

DATA DE PREENCHIMENTO: ___/___/___

ASSINATURA E CARIMBO DO MÉDICO: _____

Notas: (1) Escolha a escala que mais adequada a condição clínica do paciente; escala 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%83o-Livre-2.pdf>

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 eventos adversos relacionados ao uso do nursinersena e risdiplam, 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(a)

(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 ou 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 eventos 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 nursinersena;
- Alteração da função renal foi observada após administração de nursinersena 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 nursinersena.

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:			
<hr/> Assinatura do paciente ou do responsável legal			
Médico responsável:	CRM:	UF:	
<hr/> Assinatura e carimbo do médico Data:			

Nota: Verificar na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) em qual componente da Assistência Farmacêutica se encontra o medicamento preconizado neste Protocolo.



AUTORIZAÇÃO PARA RETIRADA DE MEDICAMENTOS

Eu, _____, portador (a) do
CNS

(nome do paciente ou responsável)

nº _____, inscrito (a) no CPF sob o nº _____,

autorizo o (a) Sr(a).

_____,

(nome do procurador ou portador)

portador (a) da carteira de identidade nº _____ expedida pelo _____,

inscrito(a) no CPF sob o nº _____, residente na

_____, telefone de contato (____) _____, **a retirar meu(s) medicamento(s)**

na unidade do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica.

Data: _____

Assinatura **Paciente/Responsável**: _____

Assinatura do **Procurador/Portador (a)**: _____

Autenticação do (a) Farmacêutico (a)/CEAF

Observações:

- Este documento deverá ser apresentado no momento da dispensação, juntamente com os seguintes documentos:
- Identidade, CPF e Comprovante de Residência do PROCURADOR/PORTADOR (a) (original e cópia);
- Identidade do PACIENTE (cópia);
- Cartão Original de Dispensação da unidade (caso a unidade possua);
- Receituário Médico e LME atualizados (se solicitados);