



ESTADO DE SANTA CATARINA  
SECRETARIA DE ESTADO DA SAÚDE  
SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE  
SUPERINTENDÊNCIA DE PLANEJAMENTO EM SAÚDE  
DIRETORIA DE ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA



NOTA TÉCNICA nº 23/2023 DIAF/SPS/SES/SC

**Assunto:** Fluxo de acesso aos medicamentos Nusinersena e Risdiplam para o tratamento de Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2, por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no Estado de Santa Catarina

Considerando a Portaria de Consolidação nº 2 de 28 de setembro de 2017: Consolidação das Normas sobre as Políticas Nacionais de Saúde do Sistema Único de Saúde. Anexo XXVIII - Título IV - Trata das regras de Financiamento e Execução do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF, no âmbito do SUS;

Considerando a Retificação da Portaria de Consolidação nº 2 de 28 de setembro de 2017, publicada no Diário Oficial da União nº 71 de 13/04/2018;

Considerando a Portaria de Consolidação nº 6 de 28 de setembro de 2017: Consolidação das Normas sobre o financiamento e a transferência dos recursos federais para as ações e os serviços de saúde do Sistema Único de Saúde. Título V - Capítulos II e III - Trata do Financiamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica;

Considerando a Portaria SCTIE/MS nº 26, de 1º de junho de 2021, que torna pública a decisão incorporar o nusinersena para tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo II, com diagnóstico até os 18 meses de idade e conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde, e não incorporar o nusinersena para tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo III, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS.;

Considerando a Portaria Conjunta SCTIE/MS nº 17, de 11 de março de 2022, que torna pública a decisão de incorporar o Risdiplam para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo II, conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde, e de não incorporar o Risdiplam para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo IIIa, no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS.

DIAF/GETAF



**Diretoria de Assistência Farmacêutica - DIAF**

Rua Esteves Júnior, nº 390 – Anexo I – 1º andar – Centro  
Florianópolis / SC - 88015-130

Telefone: (48) 3665 4508 / 3665 4509 e-mail: diaf@saude.sc.gov.br



ESTADO DE SANTA CATARINA  
SECRETARIA DE ESTADO DA SAÚDE  
SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE  
SUPERINTENDÊNCIA DE PLANEJAMENTO EM SAÚDE  
DIRETORIA DE ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA

Considerando a Portaria Conjunta SCTIE/SAES/MS nº 06, de 15 de maio de 2023, que aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2.

Considerando a Portaria estadual SES/SC Portaria nº 1006, de 22 de novembro 2018, que define a execução da Assistência Farmacêutica e seus Programas, nas Unidades Descentralizadas de Assistência Farmacêutica (UDAF) das Gerências Regionais de Saúde nas Regiões de Saúde no Estado de Santa Catarina.

Considerando a Deliberação CIB nº 398/2014, que aprova as competências das esferas estadual e municipal para a operacionalização do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica do Estado;

### Informamos:

As atrofas musculares espinhais são um grupo diverso de desordens genéticas que afetam o neurônio motor espinhal. As diferentes formas de atrofas musculares espinhais estão associadas a numerosas mutações genéticas e significativa variabilidade fenotípica. A atrofia muscular espinhal (AME) 5q é a forma mais comum entre esse grupo de doenças neuromusculares hereditárias autossômicas recessivas caracterizadas pela degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e tronco encefálico. A AME 5q é a causa mais frequente de morte infantil decorrente de uma condição monogênica, apresentando uma prevalência de 12 casos em 100.000 pessoas e incidências de 1 a cada 6.000 até 1 a cada 11.000 nascidos vivos.

A AME 5q é causada por alterações no locus do gene de sobrevivência do neurônio motor, localizado na região 5q11.2-13.3 do cromossomo 5. O locus é constituído por dois genes parálogos (classe particular de homólogos resultantes da duplicação genômica): o gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1), localizado na região telomérica do cromossomo, e o gene de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2), localizado na região centromérica. Os genes SMN1 e SMN2 são responsáveis pela síntese da proteína de sobrevivência do neurônio motor (SMN), fundamental para a manutenção dos neurônios motores.

No sistema nervoso central (SNC), os neurônios motores inferiores, localizados no corno anterior da medula espinhal, são os principais alvos da doença. A falta da proteína SMN resulta em degeneração e perda progressiva da função desses neurônios, deixando os neurônios sensoriais intactos. Essa degeneração resulta em fraqueza, hiporreflexia e atrofia simétrica progressiva com predomínio dos músculos voluntários proximais de membros inferiores, superiores, e, durante a progressão da doença, pode afetar os músculos axiais, da respiração e bulbares que, por sua vez, pode gerar falha respiratória e morte.

DIAF/GETAF



**Diretoria de Assistência Farmacêutica - DIAF**  
Rua Esteves Júnior, nº 390 – Anexo I – 1º andar – Centro  
Florianópolis / SC - 88015-130  
Telefone: (48) 3665 4508 / 3665 4509 e-mail: diaf@saude.sc.gov.br



ESTADO DE SANTA CATARINA  
SECRETARIA DE ESTADO DA SAÚDE  
SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE  
SUPERINTENDÊNCIA DE PLANEJAMENTO EM SAÚDE  
DIRETORIA DE ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA

Por se tratar de uma condição clínica neurodegenerativa progressiva, os cuidados de suporte e tratamentos médicos especializados são fundamentais, levando a aumento da expectativa e qualidade de vida dos pacientes com AME 5q.

O Nusinersena é um oligonucleotídeo anti-sentido que atua impedindo que os fatores de silenciamento/remoção intrônico processem e removam o exon 7 do RNAm de SMN2. A retenção do exon 7 no RNAm de SMN2 permite a leitura e tradução correta dessa molécula, levando à produção da proteína funcional relacionada com a sobrevivência do neurônio motor, a proteína SMN.

O Risdiplam é um modificador do splicing (maturação) do pré-mRNA de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2), o medicamento interfere no splicing de SMN2 para evitar a exclusão do éxon 7 para a inclusão desse éxon no mRNA transcrito, promovendo um aumento na produção da proteína SMN funcional e estável. Assim, o Risdiplam trata a AME aumentando e mantendo os níveis funcionais da proteína SMN.

**Os seguintes benefícios devem ser esperados com o uso de Nusinersena ou do Risdiplam:**

- 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 ou tipo 2;
- Independência de suporte nutricional invasivo durante o período de tratamento;
- Melhora ou estabilização de função motora clinicamente relevante definida de acordo com o tipo de AME.

Além destes benefícios, deve ser também monitorada a ocorrência de infecção das meninges (meningite) após o início do tratamento com Nusinersena, pois trata-se de um evento adverso grave que necessita de intervenção imediata. Este evento pode estar potencialmente relacionado com o medicamento ou com o procedimento de sua administração. Além dos resultados de efetividade e segurança do Nusinersena a serem medidos para avaliar os benefícios para os pacientes, deve ser utilizado o Questionário para Avaliação Clínica de Paciente com AME 5q tipo 1 ou 2.

O Nusinersena deve ser administrado por profissional médico habilitado para realizar o procedimento de administração intratecal por punção lombar. Dessa forma, é essencial que haja atendimento especializado e centralizado em hospitais ou centros de referência. A dispensação e administração intratecal do medicamento deverão ocorrer exclusivamente nos centros de referência definidos pelos respectivos gestores estaduais e distrital do SUS e informados ao Ministério da Saúde.

O Risdiplam é um pó para solução oral que deve ser constituído por profissional de saúde em farmácia que atenda aos padrões recomendados pelas normas da ANVISA de boas práticas antes de ser dispensado. A inalação e o contato direto da pele ou

DIAF/GETAF



**Diretoria de Assistência Farmacêutica - DIAF**  
Rua Esteves Júnior, nº 390 – Anexo I – 1º andar – Centro  
Florianópolis / SC - 88015-130  
Telefone: (48) 3665 4508 / 3665 4509 e-mail: diaf@saude.sc.gov.br



membranas mucosas com o pó seco e a solução constituída devem ser evitados. O procedimento de constituição deve ser realizado com a utilização de luvas descartáveis, que também devem ser utilizadas na limpeza da superfície externa do frasco ou tampa e da superfície de trabalho após a constituição. Se houver contato, a área deve ser lavada completamente com água e sabão. Se este contato ocorrer com os olhos, eles devem ser lavados com água.

Dessa forma, em Santa Catarina a **manipulação do medicamento Risdiplam**, ficará sob responsabilidade dos **Hospitais referenciados de gestão estadual, a saber:** Joinville - Hospital Jeser Amarante Faria; São Miguel do Oeste - Hospital Terezinha Gaio Basso; Criciúma - Hospital Materno Infantil SC; Lages - Hospital e Maternidade Tereza Ramos; Florianópolis - Hospital Infantil Joana de Gusmão e a **dispensação do medicamento para atendimento ao paciente será realizada pelas Unidades Descentralizadas de Assistência Farmacêutica (UDAF)** localizadas nos municípios listados acima. Assim, os pacientes (responsáveis) deverão ser direcionados para a retirada do medicamento na UDAF mais próxima de sua residência, conforme recomendação da DIAF. Sendo que as UDAFs deverão organizar o fluxo de transferência do medicamento junto ao Hospital de referência.

Já para o medicamento **Nusinersena**, a aplicação permanecerá ocorrendo nos municípios de Florianópolis, no Hospital Infantil Joana de Gusmão e em Concórdia, no Hospital São Francisco.

#### Diante do exposto, orientamos:

Para **acessar o medicamento Nusinersena pelo CEAF todos os pacientes portadores de AME 5q** deverão seguir o itinerário a seguir, incluindo atendimento médico bem como a primeira aplicação do medicamento no Hospital Infantil Joana de Gusmão.

O Fluxo ordenador de atividades para acesso ao Nusinersena por **pacientes NOVOS** inclui as seguintes instituições e setores: Unidade de Assistência Farmacêutica (UAF), Diretoria de Assistência Farmacêutica (DIAF), Unidade Descentralizada de Assistência Farmacêutica (UDAF), Central de Abastecimento Farmacêutico (CAF) e Hospital Infantil Joana de Gusmão (HIJG). O fluxo deve ser seguido conforme descrito abaixo:

- Pacientes com diagnóstico de AME 5q tipo I ou tipo II que necessitarem utilizar o medicamento **Nusinersena** deverão, por meio de seus pais ou responsável legal, se dirigir à UAF, que realizará o cadastro da solicitação no SISMEDEX e encaminhará o processo para avaliação central da DIAF seguindo o fluxo padrão dos medicamentos do CEAF;
- Após a primeira avaliação do processo pela Comissão Médica de Doenças Raras, o analista da DIAF solicitará à CAF por e-mail, o envio do Nusinersena para o paciente.

DIAF/GETAF



ESTADO DE SANTA CATARINA  
SECRETARIA DE ESTADO DA SAÚDE  
SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE  
SUPERINTENDÊNCIA DE PLANEJAMENTO EM SAÚDE  
DIRETORIA DE ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA

A DIAF deverá informar à UDAF o quantitativo de ampolas, nome completo do paciente e data da avaliação presencial e primeira aplicação prevista;

- Após a avaliação clínica realizada pela equipe médica no HIJG, o médico avaliador informará à DIAF se o paciente estará apto para realizar a primeira aplicação do medicamento e deverá ter o processo autorizado centralmente. A partir desse momento, a equipe médica do HIJG enviará o laudo de autorização do medicamento via SGP-e e o analista realizará a autorização;
- Em caso de processos deferidos e autorizados, o analista da DIAF irá transferir o paciente no SISMEDEX da unidade de origem para a unidade de SR HIJG vinculada a UDAF Grande Florianópolis, a fim de realizar a renovação e autorização do processo para a dispensação do medicamento;
- A UDAF receberá o medicamento Nusinersena conforme agenda da CAF, e realizará a entrada no estoque do SR HIJG no SISMEDEX;
- Caberá à UDAF e ao HIJG organizarem o transporte do medicamento de acordo com as datas de aplicação;
- O HIJG deverá solicitar a assinatura do responsável pelo paciente no recibo de dispensação do medicamento e enviar à UDAF por e-mail para anexar no SGP-e, e físico para arquivamento;
- **Pacientes que realizarem a primeira aplicação de Nusinersena no HIJG e que necessitarem realizar as demais aplicações em outro Hospital referenciado para atendimento a pacientes com AME, deverão comunicar à UDAF para o fluxo de transferência.**

Para acessar o medicamento Risdiplam pelo CEAF todos os pacientes portadores de AME 5q deverão seguir o seguinte itinerário descrito abaixo e desenhado no anexo deste documento:

O Fluxo ordenador de atividades para acesso ao Risdiplam inclui as seguintes instituições e setores: Unidade de Assistência Farmacêutica (UAF), Diretoria de Assistência Farmacêutica (DIAF), Unidade Descentralizada de Assistência Farmacêutica (UDAF), Central de Abastecimento Farmacêutico (CAF) e os **Hospitais referenciados de gestão estadual**.

- Pacientes com diagnóstico de AME 5q tipo I ou tipo II que necessitarem utilizar o medicamento Risdiplam deverão, por meio de seus pais ou responsável legal, se dirigir à UAF, que realizará o cadastro da solicitação no SISMEDEX e encaminhará o processo para avaliação central da DIAF seguindo o fluxo padrão dos medicamentos do CEAF;

DIAF/GETAF



**Diretoria de Assistência Farmacêutica - DIAF**  
Rua Esteves Júnior, nº 390 – Anexo I – 1º andar – Centro  
Florianópolis / SC - 88015-130  
Telefone: (48) 3665 4508 / 3665 4509 e-mail: diaf@saude.sc.gov.br



ESTADO DE SANTA CATARINA  
SECRETARIA DE ESTADO DA SAÚDE  
SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE  
SUPERINTENDÊNCIA DE PLANEJAMENTO EM SAÚDE  
DIRETORIA DE ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA

- Após a primeira avaliação e deferimento central, a DIAF realizará a transferência do processo no SISMEDEX para a UDAF definida pela DIAF (Joinville, São Miguel do Oeste, Criciúma, Lages ou São José);
- Após a transferência do processo, a UDAF será responsável por renovar e autorizar o processo e dispensar o medicamento;
- A analista da DIAF solicitará à CAF por e-mail, o envio do Risdiplam para a UDAF selecionada. Caberá à UDAF organizar com o Hospital referenciado o fluxo de transferência para o preparo do medicamento, mediante a informação da data de dispensação, que deverá ser acordada previamente com o responsável pelo paciente;
- Ressalta-se que a logística do medicamento da UDAF para o Hospital e retorno para a UDAF após reconstituição, deverá ocorrer em tempo que não exceda 24 horas, já que a validade do medicamento é de apenas 64 dias após a sua reconstituição;
- Caberá à UDAF orientar o responsável pelo paciente sobre a administração e armazenamento do medicamento, realizar a dispensação e a emissão do recibo do medicamento no SISMEDEX, além de solicitar a assinatura do paciente (responsável legal) no recibo de dispensação. A UDAF deverá manter o medicamento armazenado nas condições preconizadas pelo fabricante até a dispensação ao responsável pelo paciente;
- **Resumidamente: A UAF cadastra a solicitação de Risdiplam, após, a DIAF avalia, autoriza e transfere o processo do paciente além de comunicar a CAF para distribuição, a UDAF agenda a retirada com o paciente e depois comunica o Hospital para manipulação, o Hospital manipula o medicamento Risdiplam e devolve o medicamento à UDAF que, dispensará o medicamento para a família do paciente, adequará e renovará os processos.**

**Obs.: O fluxo de tramitação dos processos via Sistema de Gestão de Processo Eletrônico (SGP-e) seguirá conforme já realizado com os demais medicamentos do CEAF.**

Os contatos das UDAF das Regionais de Saúde estão disponíveis no sítio eletrônico da Secretaria de Estado de Saúde: [www.saude.sc.gov.br](http://www.saude.sc.gov.br) → Profissionais de Saúde → Assistência Farmacêutica - DIAF → Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF → Unidades de Assistência Farmacêutica do CEAF em Santa Catarina.

DIAF/GETAF



**Diretoria de Assistência Farmacêutica - DIAF**  
Rua Esteves Júnior, nº 390 – Anexo I – 1º andar – Centro  
Florianópolis / SC - 88015-130  
Telefone: (48) 3665 4508 / 3665 4509 e-mail: [diaf@saude.sc.gov.br](mailto:diaf@saude.sc.gov.br)



ESTADO DE SANTA CATARINA  
SECRETARIA DE ESTADO DA SAÚDE  
SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE  
SUPERINTENDÊNCIA DE PLANEJAMENTO EM SAÚDE  
DIRETORIA DE ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA



Esta Nota Técnica entra em vigor a partir da data de sua publicação.

Florianópolis, 04 de setembro de 2023.

(assinado digitalmente)

**Maria Teresa Bertoldi Agostini**

Diretora de Assistência Farmacêutica

(assinado digitalmente)

**Lia Quaresma Coimbra**

Gerente Técnica de Assistência Farmacêutica

DIAF/GETAF



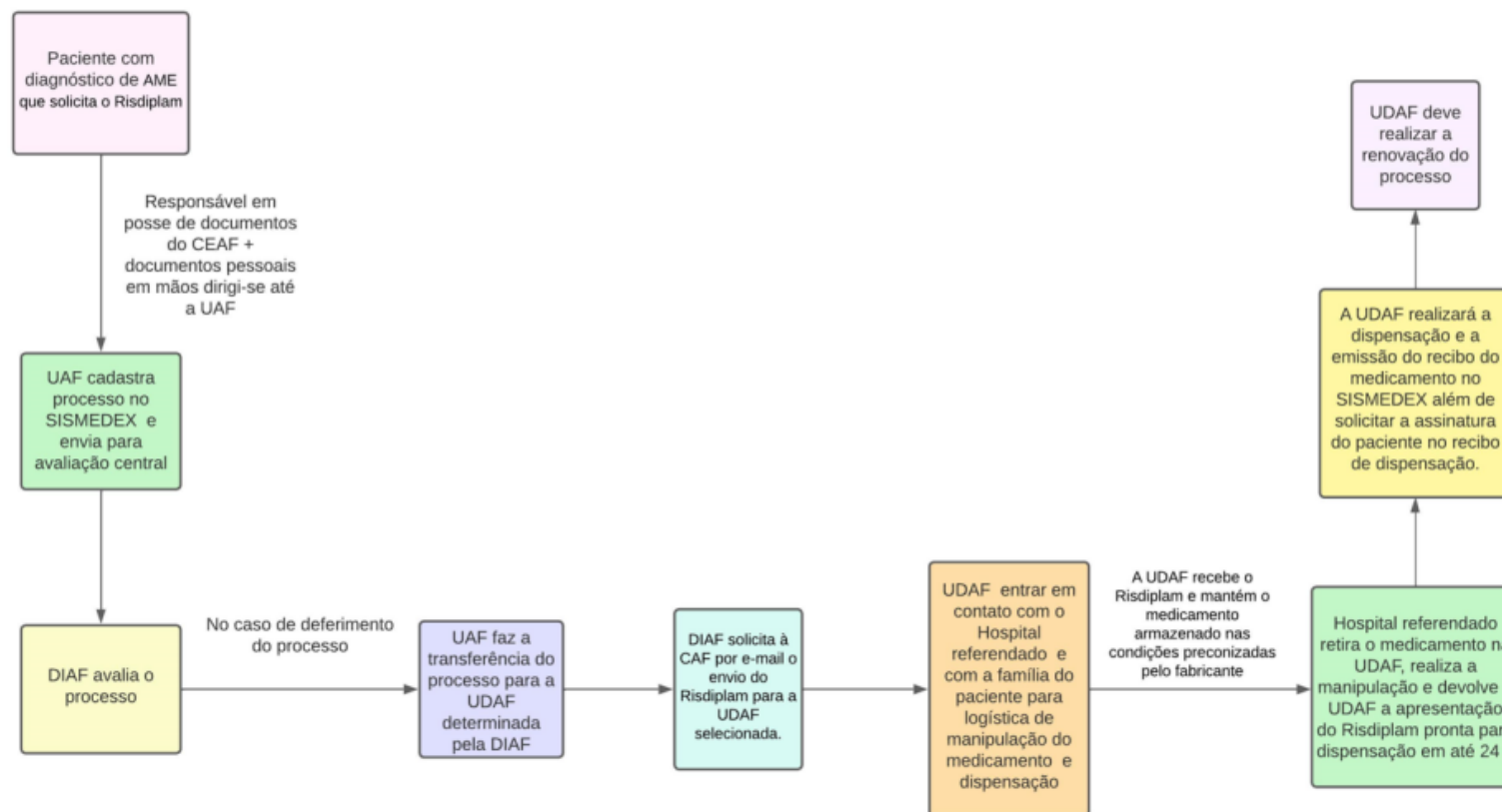
**Diretoria de Assistência Farmacêutica - DIAF**

Rua Esteves Júnior, nº 390 – Anexo I – 1º andar – Centro  
Florianópolis / SC - 88015-130

Telefone: (48) 3665 4508 / 3665 4509 e-mail: diaf@saude.sc.gov.br



ESTADO DE SANTA CATARINA  
SECRETARIA DE ESTADO DA SAÚDE  
SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE  
SUPERINTENDÊNCIA DE PLANEJAMENTO EM SAÚDE  
DIRETORIA DE ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA



DIAF/GETAF





# Assinaturas do documento



Código para verificação: **11B5F2QJ**

Este documento foi assinado digitalmente pelos seguintes signatários nas datas indicadas:

✓ **MARIA TERESA BERTOLDI AGOSTINI** (CPF: 642.XXX.309-XX) em 04/09/2023 às 12:30:35  
Emitido por: "SGP-e", emitido em 26/07/2018 - 13:27:30 e válido até 26/07/2118 - 13:27:30.  
(Assinatura do sistema)

✓ **LIA QUARESMA COIMBRA** (CPF: 851.XXX.989-XX) em 04/09/2023 às 12:42:02  
Emitido por: "SGP-e", emitido em 13/07/2018 - 14:32:30 e válido até 13/07/2118 - 14:32:30.  
(Assinatura do sistema)

Para verificar a autenticidade desta cópia, acesse o link <https://portal.sgpe.sea.sc.gov.br/portal-externo/conferencia-documento/U0VTXzcwNTIfMDAwMDE5OTZfMjAyMDIzXzExQjVGMIFK> ou o site <https://portal.sgpe.sea.sc.gov.br/portal-externo> e informe o processo **SES 00001996/2023** e o código **11B5F2QJ** ou aponte a câmera para o QR Code presente nesta página para realizar a conferência.