

MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO VI (MPS VI)	
Portaria Conjunta SAES/SCTIE/MS nº 20 – 05/12/2019	
Medicamento	GALSULFASE
CID 10	E76.2
Apresentação	1 mg/mL solução injetável (frasco ampola 5 mL)
Inclusão	<p>Pacientes que apresentem:</p> <p>- <u>Pelo menos um dos seguintes sinais e sintomas:</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <input type="checkbox"/> características faciais sugestivas de doença lisossômica (face de “depósito”); <input type="checkbox"/> infecções respiratórias superiores precoces e de repetição, incluindo otite média, excluídas outras causas mais frequentes; <input type="checkbox"/> perda auditiva; <input type="checkbox"/> diminuição da velocidade de crescimento; <input type="checkbox"/> hepatoesplenomegalia, excluídas outras causas mais frequentes; <input type="checkbox"/> hérnias; <input type="checkbox"/> alterações esqueléticas ou articulares típicas [disostose múltipla, giba, limitação da amplitude de movimento (AM) das articulações]; <input type="checkbox"/> mãos em garra; <input type="checkbox"/> achados oculares característicos (opacificação bilateral da córnea); <input type="checkbox"/> irmão de qualquer sexo com MPS VI. <p><u>E</u></p> <p>- <u>Diagnóstico de MPS VI confirmado de acordo com um dos critérios abaixo:</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <input type="checkbox"/> atividade da enzima arilsulfatase A (ASB) < 10% do limite inferior dos valores de referência em fibroblastos ou leucócitos <u>E</u> atividade de pelo menos outra sulfatase (N-acetilgalactosamina-6-sulfatase, arilsulfatase B, heparan N-sulfatase ou iduronato-sulfatase) <u>avaliada na mesma amostra e pelo mesmo método</u>, apresentando valores normais <u>E</u> presença de níveis aumentados de GAGs totais na urina ou de excreção aumentada de DS; <u>OU</u> <input type="checkbox"/> atividade da enzima arilsulfatase A (ASB) < 10% do limite inferior dos valores de referência em fibroblastos, leucócitos ou em papel-filtro <u>E</u> atividade de pelo menos outra sulfatase (N-acetilgalactosamina-6-sulfatase, arilsulfatase B, heparan N-sulfatase ou iduronato-sulfatase) <u>avaliada na mesma amostra e pelo mesmo método</u>, apresentando valores normais, <u>E</u> presença de mutações patogênicas em homozigose ou heterozigose composta no gene <i>ASB</i>; <p><u>E</u></p> <p>- Idade entre 0 a 6 anos;</p> <p><u>OU</u></p> <p>- Idade igual ou superior a 7 anos <u>E</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <input type="checkbox"/> sejam ambulantes e capazes de percorrer, sem ajuda, pelo menos 5 metros nos 6 primeiros minutos do Teste da Caminhada de 6 minutos (TC6M); <u>OU</u> <input type="checkbox"/> sejam capazes de realizar espirometria. <p>Os pacientes que já estiverem em uso de galsulfase quando da publicação deste PCDT <u>deverão ser reavaliados</u> para verificação dos critérios de inclusão. Caso não preencham os critérios, a reposição da enzima deve ser imediatamente suspensa.</p>

Anexos Obrigatórios	<p>- Exames:</p> <ul style="list-style-type: none"> <input type="checkbox"/> atividade da enzima ASB; E <input type="checkbox"/> atividade de pelo menos outra sulfatase (N-acetilgalactosamina-6-sulfatase, arilsulfatase B, heparan N-sulfatase ou iduronato-sulfatase); E <input type="checkbox"/> dosagem urinária de glicosaminoglicanos dermatan sulfato; OU <input type="checkbox"/> exame genético do gene ASB. <p>- Formulário Médico para Mucopolissacaridose Tipo VI completamente preenchido, datado, assinado e carimbado pelo(a) médico(a) responsável.</p>
Administração	<p>A dose recomendada para a galsulfase é de 1 mg/kg de peso corporal, administrada uma vez por semana por infusão intravenosa, <u>devendo ser infundida ao longo de 4 horas e em ambiente hospitalar.</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <input type="checkbox"/> <u>Pacientes com 20 kg ou menos:</u> devem receber um volume total de 100 ml; <input type="checkbox"/> <u>Pacientes com mais de 20 kg:</u> devem receber um volume total de 250 mL.; <p>A taxa de infusão inicial deve ser de 6 ml por hora durante a primeira hora. Se a infusão for bem tolerada, a velocidade de infusão pode ser aumentada para 80 ml por hora durante as restantes 3 horas. O tempo de infusão pode ser prolongado até 20 horas se ocorrerem reações à infusão.</p> <p>OBSERVAÇÃO: O uso de antipiréticos ou anti-histamínicos é recomendado 30 a 60 minutos antes do início da infusão.</p>
Prescrição Máxima Mensal	100 frascos ampola
Crítérios de Interrupção	<p>- O tempo de tratamento não pode ser pré-determinado, devendo ser mantido enquanto indicado e dele o doente se beneficie.</p> <p>- A terapia de reposição enzimática com galsulfase deve ser interrompida nas seguintes situações:</p> <ul style="list-style-type: none"> <input type="checkbox"/> pacientes que não apresentarem melhora após 6 meses de tratamento em pelo menos uma das seguintes manifestações clínicas que comprovadamente respondem ao tratamento com TRE: TC6M (melhora definida como o aumento da distância percorrida, em relação ao período basal, de pelo menos 45m); OU níveis basais de GAGs urinários (melhora definida como a redução dos níveis urinários de GAGs em pelo menos 60% em relação aos níveis basais); OU função pulmonar medida por espirometria (melhora definida como aumento da CVF ou do VEF1, na ausência de uso concomitante de broncodilatador, em pelo menos 10% em relação aos níveis basais); <input type="checkbox"/> pacientes que desenvolverem condição irreversível que implique em morte iminente, cujo prognóstico não se alterará devido ao uso da TRE, como resultado da MPS VI ou de outra doença associada, em acordo entre mais de um especialista; <input type="checkbox"/> pacientes que não apresentarem pelo menos 50% de adesão ao número de infusões previstas em um ano, ou ao número de consultas previstas em um ano com o médico responsável pelo seguimento do paciente, desde que previamente inseridos, sem sucesso, em programa específico para melhora de adesão, ou seja, pacientes que, mesmo após o programa, não comparecerem a pelo menos 50% do número de infusões, consultas ou comparecerem a pelo menos 50% do número de infusões, consultas ou avaliações previstas em um ano;

Critérios de Interrupção (continuação)	<ul style="list-style-type: none"> <input type="checkbox"/> pacientes que apresentarem hipersensibilidade ou reação adversa grave (choque anafilático, risco de óbito) ao uso da galsulfase, que não podem ser controladas com segurança utilizando medidas terapêuticas e preventivas apropriadas; <input type="checkbox"/> pacientes com idade > 18 anos que, após serem devidamente informados sobre os riscos e benefícios de sua decisão, optarem por não mais se submeterem ao tratamento com terapia de reposição enzimática intravenosa (TRE IV) com galsulfase. 				
Monitoramento	<p>- Avaliação complementar a ser realizada pelo(a) médico(a) do(a) paciente:</p> <ul style="list-style-type: none"> <input type="checkbox"/> <u>Primeiro ano de tratamento</u>: realização <u>semestral</u> (mês 0, 6 e 12) de dosagem urinária de GAGs, acompanhamento médico, hepatimetria (exame físico), teste de caminhada de 12 minutos (TC12M), espirometria, como parte da avaliação da resposta ao tratamento. <input type="checkbox"/> <u>Após o primeiro ano de tratamento</u>: realização <u>anual</u> de teste de espirometria e questionário de qualidade de vida, como parte da avaliação da resposta ao tratamento; <input type="checkbox"/> Monitorar o uso, a adesão, a indicação e os resultados da terapia de reposição enzimática com galsulfase. 				
Exclusão	<p>Pacientes que enquadram nas seguintes situações:</p> <ul style="list-style-type: none"> - Condição médica irreversível e que implique em sobrevida provavelmente < 6 meses como resultado da MPS VI ou de outra doença associada, em acordo entre mais de um especialista; - Pacientes com idade > 18 anos que, após serem informados sobre os potenciais riscos e benefícios associados ao tratamento com galsulfase, recusarem-se a serem tratados; - Pacientes com histórico de falha de adesão, desde que previamente inseridos, sem sucesso, em programa específico para melhora de adesão, ou seja, pacientes que, mesmo após o programa, não comparecerem a pelo menos 50% do número de consultas ou de avaliações previstas em um ano. 				
Validade dos Exames	<ul style="list-style-type: none"> - <u>Exames laboratoriais</u> (atividade da enzima ASB, atividade de sulfatases e dosagem urinária de glicosaminoglicanos dermatan sulfato): indeterminado. - <u>Exame genético</u> (exame genético do gene ASB): indeterminado. 				
Especialidade Médica	<table border="1" style="width: 100%; border-collapse: collapse;"> <tr> <td style="width: 50%; padding: 5px;">Novas Solicitações e Adequação</td> <td style="width: 50%; padding: 5px;">- Médico com experiência no tratamento de mucopolissacaridose tipo VI.</td> </tr> <tr> <td style="padding: 5px;">Renovação</td> <td style="padding: 5px;">- Médico com experiência no tratamento de mucopolissacaridose tipo VI.</td> </tr> </table>	Novas Solicitações e Adequação	- Médico com experiência no tratamento de mucopolissacaridose tipo VI.	Renovação	- Médico com experiência no tratamento de mucopolissacaridose tipo VI.
Novas Solicitações e Adequação	- Médico com experiência no tratamento de mucopolissacaridose tipo VI.				
Renovação	- Médico com experiência no tratamento de mucopolissacaridose tipo VI.				
Documentos para Renovação	<ul style="list-style-type: none"> - LME; - Receita médica. 				
Documentos para Adequação*	<ul style="list-style-type: none"> - LME; - Receita médica; - Relato médico com o motivo do aumento ou redução da dose; <p>* Deve ser encaminhado para avaliação central.</p>				

● **CASOS ESPECIAIS:**

- **Gestantes e lactantes:** a galsulfase é considerada classe B para uso na gestação e aleitamento. A evidência científica apontada na literatura para tratamento de gestantes com MPS VI é limitada à série de casos: há relato na literatura de manutenção de uso da galsulfase durante a gestação com desfechos positivos para mãe e recém-nascido. De forma geral, recomenda-se que o tratamento com galsulfase não seja iniciado durante a gestação, especialmente durante o primeiro trimestre, e que, se já iniciado, seja mantido durante a gravidez. Da mesma forma, caso estejam em uso de glicocorticóides e anti-histamínicos, considerar a interrupção da TRE, especialmente no primeiro trimestre.

CID-10:

E76.2 Outras Mucopolissacaridoses



DIAF
Diretoria de Assistência
Farmacêutica