

## TERMO DE ESCLARECIMENTO E RESPONSABILIDADE (TER) - NUSINERSENA E RISDIPLAM

Eu, \_\_\_\_\_ (nome do(a) paciente ou seu responsável), declaro ter sido informado(a) claramente sobre os benefícios, riscos, contraindicações e principais efeitos adversos relacionados ao uso do **nusinersena e risdiplam**, indicado para o tratamento medicamentoso da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 ou 2.

Os termos médicos foram explicados e todas as dúvidas foram esclarecidas pelo médico \_\_\_\_\_ (nome do(a) médico(a) 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 acima de 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;

- melhora ou estabilização de função motora, definida por critérios estabelecidos em escalas apropriadas; e

- fui também claramente informado(a) a respeito das seguintes contraindicações, potenciais efeitos 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 nusinersena;

- alteração da função renal foi observada após administração de nusinersena 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 e/ou lactação é contra-indicado, uma vez que se inclui na categoria de risco C para gravidez.

Risdiplam demonstrou ser embriofetotóxico, teratogênico, sendo excretado no leite em estudos com modelos animais;

• em pacientes com insuficiência hepática leve ou moderada e 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 com idade superior a 60 nos não foram 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.

Estou ciente que o uso deste medicamento demanda a realização de avaliação prévia e avaliações periódicas para monitoramento clínico e do desempenho motor.

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:

( ) 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:                              | CRM:  | UF: |
| _____  |       |     |
| Assinatura e carimbo do médico                   |       |     |
| Data: _____                                      |       |     |

Nota: Verificar na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) vigente em qual componente da Assistência Farmacêutica se encontram os medicamentos preconizados neste Protocolo.