

MUCOPOLISSACARIDOSE DO TIPO II	
Portaria Conjunta SAS/SCTIE/MS nº 16 – 24/05/2018	
Medicamento	IDURSULFASE ALFA
CID 10	E76.1
Apresentação	2mg/ml (solução injetável)
Inclusão	<p>1) Pacientes do sexo masculino que apresentem pelo menos um dos sinais ou sintomas *</p> <p>E</p> <p>2) Suspeita Clínica e confirmação do diagnóstico de MPSII de acordo com um dos critérios abaixo relacionados:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Atividade da enzima IDS < 10% do limite inferior dos valores de referência em plasma, leucócitos ou fibroblastos, E atividade normal de pelo menos outra sulfatase (medida na mesma amostra na qual determinada a atividade da IDS), E presença de níveis aumentados de GAGs totais na urina ou de excreção urinária aumentada de sulfatos de dermatan e heparan; OU • Presença de mutação reconhecidamente patogênica no gene IDS.
Anexos Obrigatórios	<ul style="list-style-type: none"> - Relato médico com sinais e sintomas; - Exames laboratoriais: atividade da IDS, GAGs urinários ou teste genético (análise do gene IDS).
Administração	0,5mg/kg 1x por semana
Prescrição Máxima Mensal	34 ampolas
Monitoramento	<p>A cada 6 meses: GAGs urinários, história médica, revisão do número de infusões realizadas no período, determinação da adesão ao acompanhamento/tratamento, peso/altura, pressão arterial e hepatimetria.</p> <p>A cada 1 ano: aplicação de questionário de qualidade de vida validado, exame neurológico clínico, avaliação do neurodesenvolvimento por neurologista.</p>
Exclusão	<p>Não serão elegíveis para o tratamento com Idursulfase alfa os pacientes que apresentarem alguma das situações abaixo relacionadas:</p> <ul style="list-style-type: none"> - Regressão neurológica, ou seja, perda dos marcos do desenvolvimento neuropsicomotor confirmada por avaliação formal com neurologista; - Condição médica irreversível e que implique em sobrevida provavelmente < 6 meses, como resultado da MPS II ou de outra doença associada, em acordo entre mais de um especialista; - Idade > 18 anos e que, após serem informados sobre os potenciais riscos e benefícios associados ao tratamento com Idursulfase alfa, recusarem-se a serem tratados; - 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.
Tempo de Tratamento	<p>O tratamento deve ser mantido por toda a vida do paciente, porém recomenda-se que o tratamento seja interrompido nas seguintes situações:</p> <ul style="list-style-type: none"> - Desenvolvimento de regressão neurológica (perda de funções adquiridas) durante a vigência do tratamento; - Ausência de benefício clínico associado ao tratamento (considerar o período de 12 meses após o início das infusões; a presença pelo menos um dos itens a seguir é evidência de benefício clínico): <ul style="list-style-type: none"> a) redução da excreção urinária de GAGs (pelo menos 50%); b) qualquer redução da hepatomegalia; c) qualquer redução de esplenomegalia; d) melhora da qualidade de vida, aferida por questionários validados;

Tempo de Tratamento	<p>- Falta de adesão ao tratamento, ou seja, 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; ou ao número de avaliações 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 avaliações previstas em um ano.</p> <p>- Pacientes que apresentarem hipersensibilidade ou reação adversa grave (choque anafilático, risco de óbito) ao uso de Idursulfase alfa, que não podem ser controlados com segurança utilizando medidas terapêuticas e preventivas apropriadas.</p> <p>- Pacientes que desenvolverem condição irreversível que implique em morte iminente, cujo prognóstico não se alterará devido ao uso de TRE, como resultado da MPS II ou de doença associada, em acordo entre mais de um especialista.</p> <p>- Pacientes com idade ≥ 18 anos e que, após devidamente informados sobre os riscos e benefícios de sua decisão, optarem por não mais se submeterem ao tratamento com TRE IV com Idursulfase alfa.</p>	
Validade dos Exames	<p>GAGs urinários: 3 meses. Atividade da enzima IDS e Teste genético: Indeterminada.</p>	
Especialidade Médica	Novas Solicitações e Adequações	Geneticista ou Neurologista
	Renovações Sem Alterações	Geneticista, Neurologista, médico da saúde da família, Pediatra ou Clínico (pacientes adultos).
<p>* Sinais e Sintomas:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Características faciais sugestivas de doença lisossômica (face de “depósito”). • Infecções respiratórias superiores precoces, e de repetição, incluindo otite média, excluídas causas mais frequentes; • Hérnia inguinal ou umbilical, especialmente se ambas e em criança, excluídas causas mais frequentes; Hepatoesplenomegalia, excluídas causas mais frequentes; • Alterações esqueléticas ou articulares típicas (disostose múltipla, giba, limitação de amplitude de movimento das articulações); • Mãos em garra; • Achados oculares característicos (papiledema, atrofia óptica e, raramente, opacificação de córnea); • Síndrome do túnel do carpo em crianças; • Irmão (sexo masculino) com MPSII; • Primo (sexo masculino) ou tio, pelo lado materno, com MPSII; • História familiar de MPS compatível com herança recessiva ligada ao X. 		
<p>CID-10: E76.1 Mucopolissacaridose do tipo II Síndrome de Hunter</p>		