

– Doença/Agravo:

## ✓ MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO VII (Síndrome de Sly)

– Código internacional de doenças (CID-10) contemplado(s):

- E 76.2 — Outras Mucopolissacaridoses

– Medicamento(s) disponível(is):

- **ALFAVESTRONIDASE 2mg/mL solução injetável (frasco ampola de 5mL)**

– Regulamentação fundamentada para obtenção do(s) medicamento(s) do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF):

- Título IV, do Anexo XXVIII da Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017.
- Portaria Conjunta nº 08, de 21 de maio de 2021 – Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT).

– Procedimentos e demais informações:

- Todas as orientações quanto à abertura e renovação de processos, bem como, dispensação de medicamentos, podem ser verificadas no documento intitulado “**ORIENTAÇÕES GERAIS**” que encontra no site da CEMAC Juarez Barbosa acessando o link abaixo:

### [ORIENTAÇÕES GERAIS](#)

## RELAÇÃO DE DOCUMENTOS E EXAMES NECESSÁRIOS PARA ABERTURA DE PROCESSO

**ATENÇÃO:** Os documentos e exames aqui solicitados deverão ser encaminhados por **meio eletrônico** para a CEMAC Juarez Barbosa, sendo o armazenamento dos originais responsabilidade do Usuário SUS, exceto prescrições de medicamentos sob controle especial. A documentação original poderá ser solicitada a qualquer tempo pela Unidade. A apresentação de informações ou documentos falsos, em todo ou parte, configura crime sujeito as penalidades legais.

**1 – Prescrição médica devidamente preenchida:** O medicamento deve ser prescrito pela Denominação Comum Brasileira, considerando o Art. 3º da Lei Federal nº 9.787 de 10/02/1999. **Todas as prescrições médicas (originais) devem estar disponíveis no ato da dispensação do(s) medicamento(s).**

- **PRESCRIÇÃO MÉDICA** (sem controle especial). O documento original deverá ser apresentado no ato da dispensação do(s) medicamento(s).  
(Validade máxima de 180 dias corridos a contar da data da emissão)

**2 – Preenchimento do Formulário para MUCOPOLISSACARIDOSE DO TIPO VII pelo médico solicitante – Anexo I.**

**3 – Relação do(s) Exame(s) Obrigatório(s) para inclusão no Programa:**

- **Observações:**

- O Laudo Laboratorial deve ser datado e assinado pelo responsável técnico, conforme a resolução RDC nº 302/2005 (ANVISA/MS).  
- Posteriormente, OUTROS exames complementares poderão ser exigidos por esta Unidade de Saúde, para que a avaliação dessa solicitação seja concluída



- Laudo do exame de atividade da enzima **Beta-glicuronidase (GUSB)** em comparação com a enzima de referência na mesma amostra e método de análise em Fibroblastos ou Leucócitos.
- Laudo do exame de análise quantitativa de excreção urinária de Glisoaminoglicanos (GAG) totais **OU** do Laudo do exame de análise quantitativa de Dermatan Sulfato (DS) **OU** Laudo do exame de análise quantitativa de Sulfato Heparan (SH)
- Laudo do exame de análise de atividade da IDUA (alfa-1-iduronidase) e da IDS (iduronato-sulfatase), avaliadas na mesma amostra que a GUSB (Beta-glicuronidase) deficiente.

### OU

- Laudo do exame genético com presença de mutações patogênicas em homozigose ou heterozigose composta no gene da enzima **Beta-glicuronidase (GUSB)**

#### 4 – Documentos pessoais do paciente:

- Carteira de Identidade ou Certidão de Nascimento;
- CPF;
- Comprovante de Endereço com CEP (água, luz ou telefone);
- Cartão SUS. Caso o usuário não possua Cartão SUS, este cartão poderá ser feito na CEMAC Juarez Barbosa.

**5 – Termo de Esclarecimento e Responsabilidade** com todos os campos corretamente preenchidos sem emenda e/ou rasura. Atenção: esse documento é assinado pelo paciente (ou responsável legal) e pelo médico. O reconhecimento da incapacidade do paciente é confirmado mediante a apresentação de documentos comprobatórios (Tutela, Curatela, Interdição ou equivalente) ou, ainda, por meio do preenchimento do “campo 13” do LME pelo médico assistente.

**6 – LME** (Laudo para Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica) adequadamente preenchido. As instruções de preenchimento e o arquivo do LME, para preenchimento manual, estão disponíveis para serem baixados (*download*) no sítio eletrônico <http://www.saude.go.gov.br>. Seguem abaixo os links para acesso aos documentos:

### [ORIENTAÇÕES SOBRE O PREENCHIMENTO DA LME](#)

#### [LME](#)

Cabe ainda salientar que o **LME** terá noventa (**90**) **DIAS DE VALIDADE**, a partir de sua data de preenchimento pelo médico solicitante, para a solicitação de medicamentos na Unidade.



**Anexo I – FORMULÁRIO PARA INÍCIO DE TRATAMENTO  
MUCOPOLISSACARIDOSE DO TIPO VII (Síndrome de Sly)**  
**Questionário para ser preenchido pelo Médico Solicitante**

1. Nome do(a) paciente: \_\_\_\_\_

2. Idade do(a) paciente: \_\_\_\_\_ 3. Peso (em Kg): \_\_\_\_\_

4. Assinalar abaixo as manifestações que se fizeram presente no paciente:

- Características faciais sugestivas de doença lisossômica (face de “depósito”).
- Otite média e infecções respiratórias superiores precoces e de repetição, excluídas outras causas mais frequentes.
- Perda auditiva
- Hérnias
- Hepatoesplenomegalia, excluídas outras causas mais frequentes.
- Alterações esqueléticas ou articulares típicas (disostose múltipla, giba, limitação da amplitude de movimento das articulações).
- Mãos em garra.
- Alterações oculares características (opacificação bilateral da córnea) - (Apresentar exames comprobatórios).
- Irmão de qualquer sexo com MPS VII.

5. Outras informações pertinentes:

---

---

---

---

---

Data: \_\_\_\_/\_\_\_\_/\_\_\_\_

\_\_\_\_\_  
Assinatura e carimbo do médico solicitante



**Anexo II – FORMULÁRIO PARA INÍCIO E MONITORAMENTO DE TRATAMENTO MUCOPOLISSACARIDOSE DO TIPO VII (Síndrome de Sly)**  
**Questionário para ser preenchido pelo Médico Solicitante**

1. Nome do(a) paciente: \_\_\_\_\_

2. Data de nascimento: \_\_\_\_/\_\_\_\_/\_\_\_\_ 3. Peso (em Kg): \_\_\_\_\_

3. Quanto ao teste de caminhada de 6 minutos (TC6M)

Resultado obtido: \_\_\_\_\_

4. Quanto a Capacidade Vital Forçada (CVF) (%)

Resultado obtido: \_\_\_\_\_

4. Quanto a Amplitude de flexão de ombro

Resultado obtido: \_\_\_\_\_

5. Acuidade visual

Resultado obtido: \_\_\_\_\_

6. PedsQL - Fadiga

Resultado obtido: \_\_\_\_\_

7. Quanto a **hepatomegalia** ou **esplenomegalia**, apresentar os valores obtidos atualmente e método empregado para tal.

( ) exame físico: \_\_\_\_\_ ( ) ecografia abdominal: \_\_\_\_\_

( ) ressonância abdominal: \_\_\_\_\_

8. Quanto a **adesão** ao tratamento. O paciente encontra-se regular nas avaliações e/ou em programa específico para adesão ao tratamento, ou seja, compareceram a pelo menos **50%** do número de eventos agendados?

( ) SIM ( ) NÃO. Esclarecer os motivos: \_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

Data: \_\_\_\_/\_\_\_\_/\_\_\_\_

Assinatura e carimbo do médico solicitante



## TERMO DE ESCLARECIMENTO E RESPONSABILIDADE ALFAVESTRONIDASE

Eu, \_\_\_\_\_ (nome do(a) paciente), declaro ter sido informado(a) claramente sobre benefícios, riscos, contraindicações e principais efeitos adversos relacionados ao uso de alfavestronidase, indicada para o tratamento da mucopolissacaridose tipo VII.

Os termos médicos foram explicados e todas as minhas dúvidas foram resolvidas pelo médico \_\_\_\_\_ (nome do médico que prescreve).

Assim, declaro que fui claramente informado(a) de que o medicamento que passo a receber podem trazer os seguintes benefícios:

- Melhora dos sintomas da doença, como melhora no teste de caminhada de 6 minutos e redução dos glicosaminoglicanos (GAG) urinários, diminuição da frequência de uso de suporte respiratório, aumento de frequência escolar, normalização de hábitos alimentares e estabilização de tamanho de baço e fígado.

Fui também claramente informado(a) a respeito das seguintes contraindicações, potenciais efeitos adversos e riscos:

- Medicamento sem experiência de uso na gestação e lactação;
- Efeitos adversos da alfavestronidase mais comuns: reação anafilactoide (13%), urticária (13%), inchaço no local da infusão (13%), extravasamento no local da infusão (8,7%), prurido (8,7%), diarreia (8,7%) e erupção cutânea (8,7%);
- Contraindicação em casos de hipersensibilidade (alergia) ao fármaco ou aos componentes da fórmula. 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 se 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:		
Assinatura do paciente ou do responsável legal:		
Médico responsável:		
Assinatura e Carimbo do Médico:	CRM:	UF:

### Observação:

- Este Termo é obrigatório ao se solicitar o fornecimento de medicamento do Componente Especializado de Assistência Farmacêutica (CEAF) e deverá ser preenchido em duas vias: uma será arquivada na farmácia e a outra, entregue ao usuário ou a seu responsável legal.