Doença é rara, atingindo menos de 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos

Crianças que precisam de tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) tipo 1, doença rara que afeta os movimentos do corpo e também a respiração, terão, a partir desta segunda-feira (24), acesso a um tratamento inovador e gratuito pelo Sistema Único de Saúde. O SUS passará a realizar a terapia genética com o medicamento Zolgensma, que na rede particular custa em média R\$ 7 milhões.

“É a primeira terapia gênica que está sendo introduzida no Sistema Único de Saúde. O SUS passa a fazer parte de um pequeno clube de cinco sistemas públicos nacionais no mundo a oferecerem esse medicamento para a sua população”, comemorou o ministro da Saúde, Alexandre Padilha.

A indicação desse tipo de terapia é para pacientes de até 6 meses de idade que não estejam com a ventilação mecânica invasiva acima de 16 horas por dia. De acordo com o Ministério da Saúde, com a incorporação do Zolgensma, o SUS passará a ofertar para AME tipo 1 todas as terapias modificadoras desta doença.

Segundo dados do Instituto Brasileiro de Geografia e Estatística (IBGE), entre os 2,8 milhões de brasileiros nascidos vivos em 2023, cerca de 287 foram diagnosticadas com a doença. Na prática, o tratamento faz uso do medicamento em substituição à função de um gene ausente ou que não está funcionando corretamente.

A incorporação do tratamento foi viabilizada por meio de um acordo firmado com a indústria internacional, que condiciona o pagamento ao resultado da terapia no paciente.

“Vai seguir de forma permanente a avaliação

do desempenho do medicamento, da melhoria da vida dessa criança e da vida da família, com marcadores clínicos de avaliação, ao longo do tratamento”, explica o ministro.

Protocolo

Para iniciar o tratamento, a família do paciente deve procurar um dos 28 serviços de referência para terapia gênica de AME, presentes nos estados de Alagoas, Bahia, Ceará, Distrito Federal, Espírito Santo, Goiás, Minas Gerais, Mato Grosso, Pará, Paraíba, Pernambuco, Piauí, Paraná, Rio de Janeiro, Rio Grande do Norte, Rio Grande do Sul, Santa Catarina e São Paulo.

O paciente será acolhido e passará por uma triagem orientada pelo Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas para Atrofia Muscular Espinhal 5q Tipos 1 e 2, estabelecido pelo Ministério da Saúde. Nas próximas semanas, também será instalado um comitê para acompanhamento permanente dos pacientes que farão o uso do medicamento de dose única.

Antes do acordo, o Zolgensma já era ofertado pelo Ministério da Saúde em cumprimento a 161 ações judiciais.

Entenda

A AME é uma doença rara que interfere na capacidade de produzir uma proteína essencial para a sobrevivência dos neurônios motores, responsáveis pelos gestos voluntários vitais simples do corpo, como respirar, engolir e se mover. A doença é considerada rara, por atingir menos de 65 pessoas em cada 100 mil indivíduos.

SUS passa a oferecer tratamento inovador de atrofia muscular espinhal

Na rede pública, os pacientes de AME tipos 1 e 2, em outras faixas etárias, são tratados com os medicamentos de uso contínuo nusinersena e risdiplam. Segundo o Ministério da Saúde, em 2024, esses medicamentos tiveram mais 800 prescrições emitidas para tratamento.

Fabíola Sinimbú - Repórter da Agência Brasil

Publicado em 23/03/2025 - 13:04

Brasília