



**INAME**

**Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal**

Novembro/2019

# O INAME

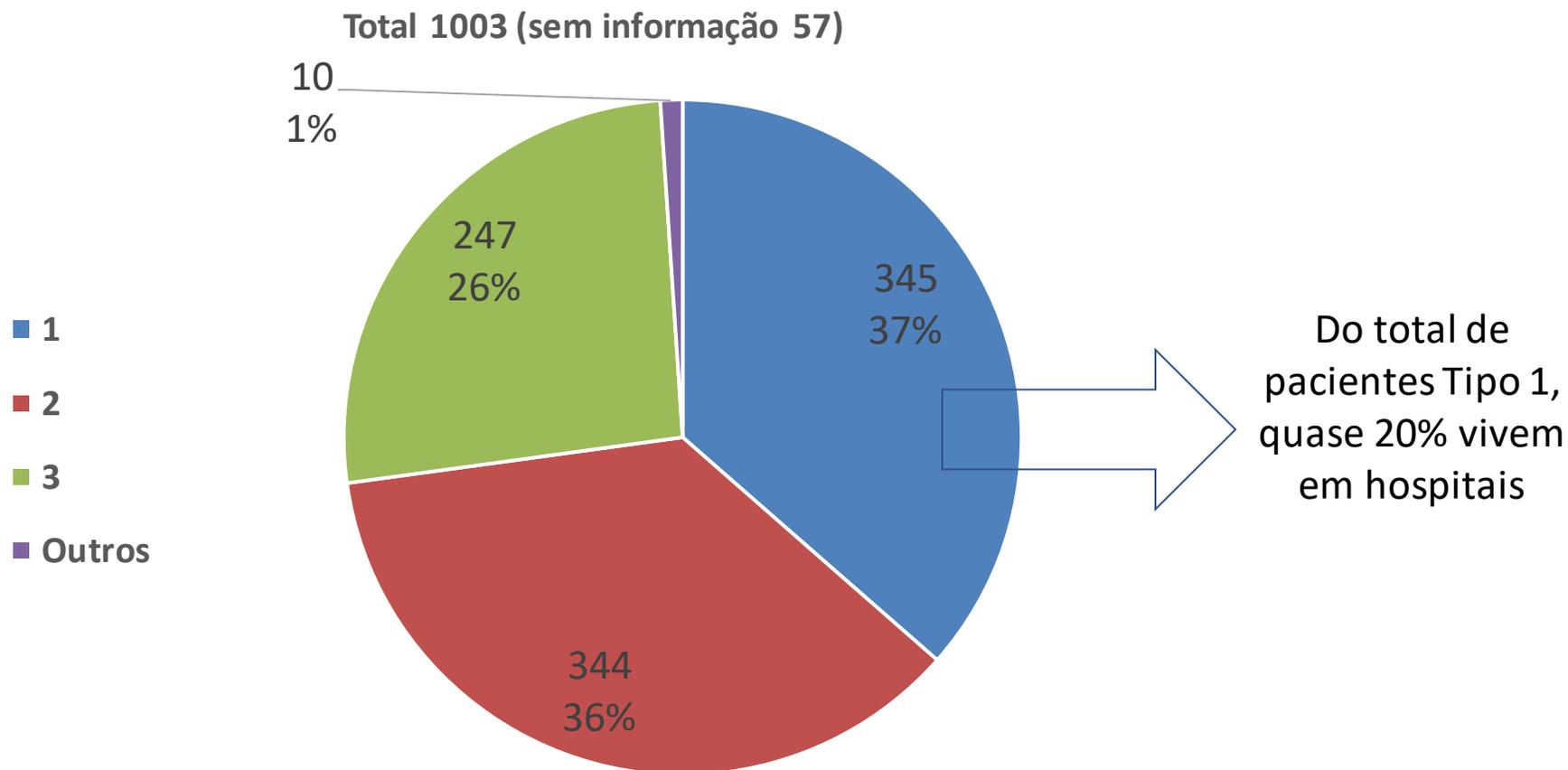
## Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal



- > Associação sem fins lucrativos, baseada em trabalho voluntário
- > Busca de tratamento e cuidados adequados para **todos** os pacientes com AME no Brasil;
- > Suporte incondicional às necessidades das famílias, desde o diagnóstico até a rotina diária de atuação multidisciplinar.
- > **Missão: disseminar informação** e conhecimento, de forma que todos os pacientes com AME possam ter uma vida digna e com qualidade, e atuar para possibilitar que todos tenham **diagnóstico rápido** e **acesso aos tratamentos** para AME no Brasil da forma mais veloz e eficaz possível.

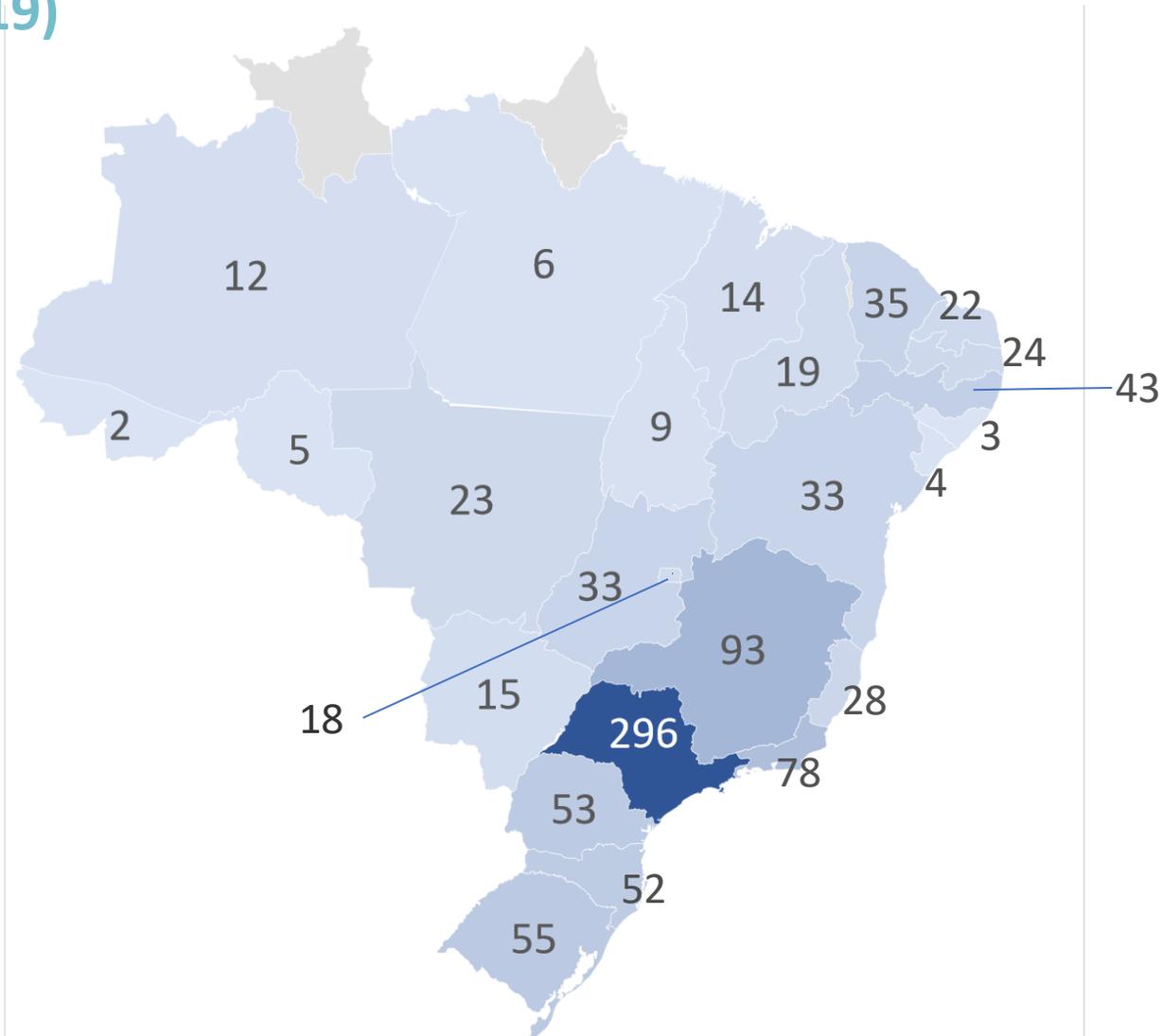
# ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL

Cenário dos Pacientes AME no Brasil (01/11/2019): 1.003 pactes



# Distribuição Geográfica dos Pacientes AME

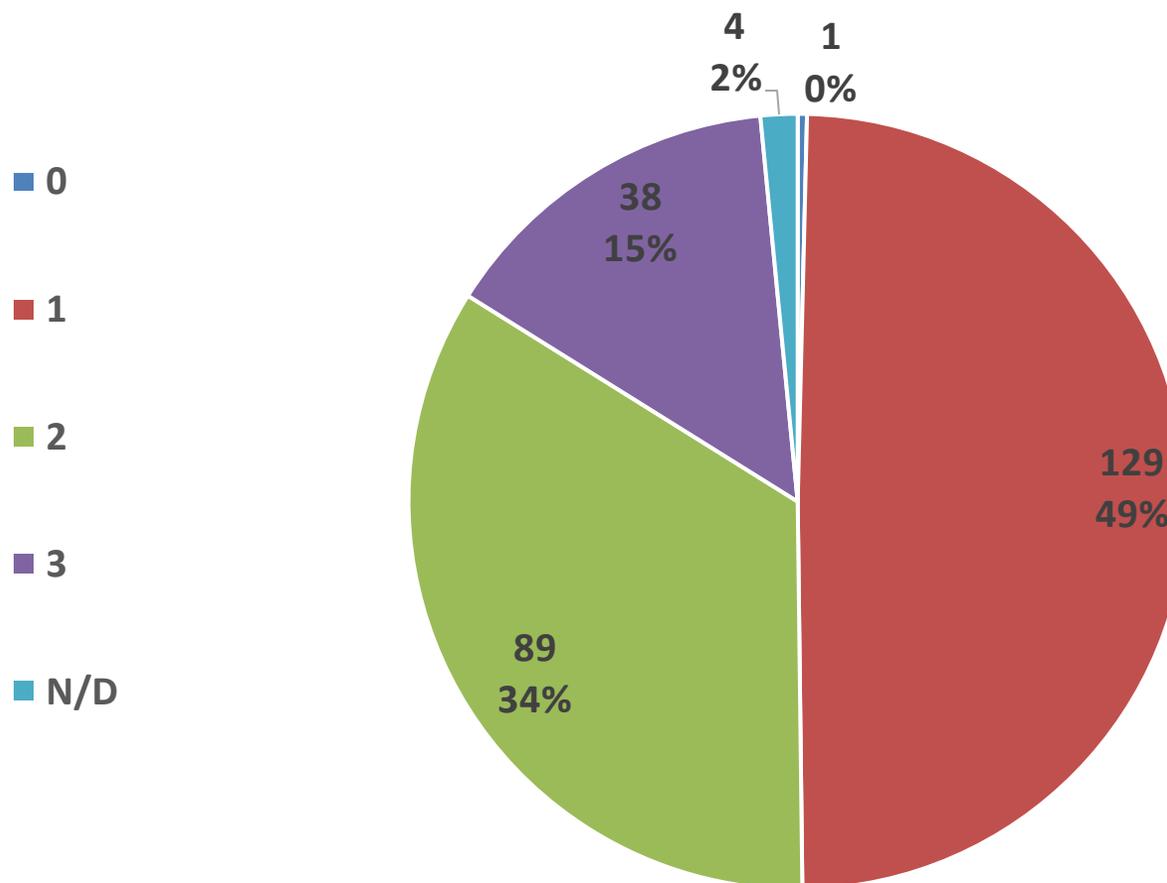
(Total 1.003, 01/11/2019)



Sem informação: 28

# Pacientes em Tratamento com Spinraza

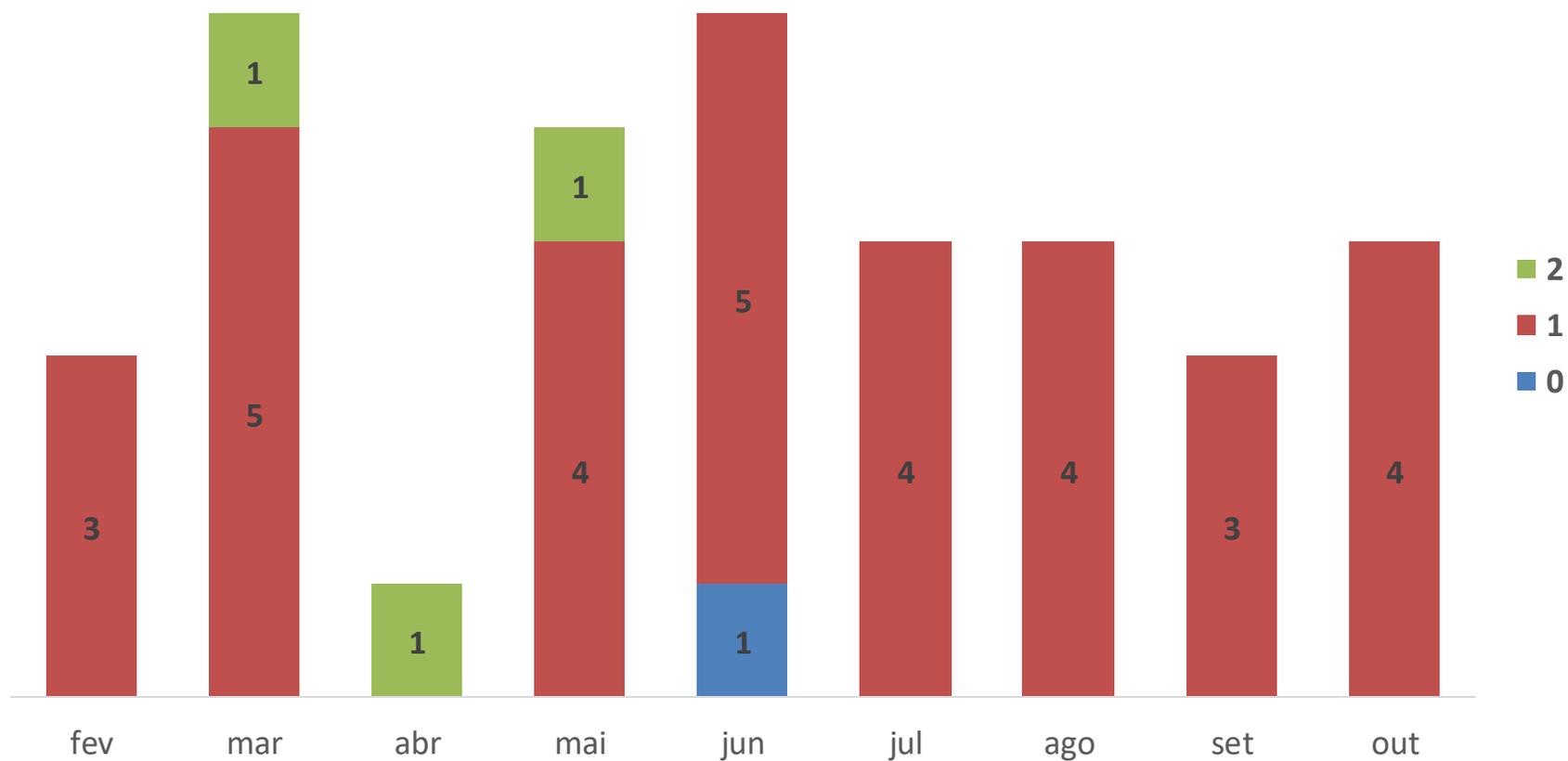
Por Tipo: total 261 (01/11/2019)



Estimativa total: 390

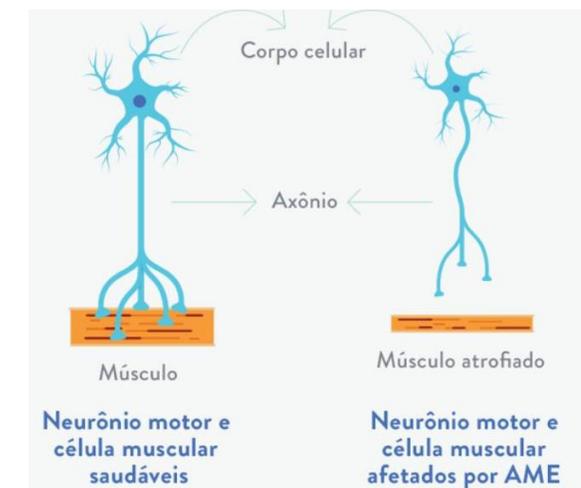
# Óbitos Janeiro a 01/novembro/2019

Total: 36



# A Atrofia Muscular Espinhal

- > Maior causa genética de mortalidade infantil.
- > 1 a cada 10.000 nascimentos.
- > Neurônios motores:
  - > Células que controlam as atividades musculares essenciais (andar, falar, engolir, respirar)
  - > Células que não se regeneram
  - > “Alimentam-se” de uma proteína chamada SMN (quem tem AME não a produz adequadamente)
  - > Tratamento: melhora a produção da proteína SMN pelo organismo
- > AME Tipo 1: mais grave
  - > 60% dos casos (nascimentos)
  - > **90% dos neurônios motores degeneram até os seis meses de idade**
  - > Diagnóstico em média após os 6 meses de idade.



# Triagem Neonatal para AME

- > Caminho para futuro sem AME
- > AME não está englobada no teste do pezinho ampliado
- > Quanto mais cedo inicia o tratamento, melhores os resultados → estudos científicos publicados
- > Padrão ouro de tratamento: criança pré-sintomática → **CURA**



# Triagem Neonatal para AME

- > Momento ideal:
  - > Tratamento Spinraza incorporado pelo SUS
  - > Um único tratamento trata praticamente todos os tipos da doença (AME 5q)
  - > PCDT de AME publicado com previsão para tratamento pré-sintomático
  - > Atualmente há testes genéticos com custos muito baixos
- > Triagem neonatal + início do tratamento em fase pré-sintomática → melhores resultados → MUDANÇA DE PROGNÓSTICO → otimização dos recursos investidos pelo Poder Público no tratamento.

# Triagem Neonatal para AME

- > Evita outros custos para o Sistema Público de Saúde:
  - > Internações e cirurgias (tqt, gtt, coluna, etc);
  - > Equipamentos: respirador, máquina de tosse, oxímetro, aspirador, O2
  - > Insumos
  - > Terapias: fisioterapia diária, fono, terapia ocupacional
  - > 20% dos pacientes Tipo 1 vivem internados em UTIs de hospitais (diária R\$ 1.200,00/pacte)



# Triagem Neonatal para AME

- > Resultados dos testes são precisos e rápidos (3 a 6 dias)
- > Custos já viáveis: USD 0,70 a USD 3 por teste (EUA)
- > Brasil: 2,9 milhões de nascimentos/ano → 290 novos casos de AME por ano
- > União: competência para articular a implantação com os entes federativos (PNTN)
- > EUA: 38% dos Estados terão a triagem neonatal para AME implantada até final 2019; 70% até final 2020; 100% dos estados em 2022
- > Tendência mundial.



# Triagem Neonatal para AME

**MUITO OBRIGADA!**