



# Atrofia Muscular Espinhal: perspectivas terapêuticas

**Edmar Zanoteli**

Professor Associado do Departamento de Neurologia da Faculdade de Medicina da  
Universidade de São Paulo

# Tratamento da AME

	Nusinersena (Biogen)	Zolgensma (Novartis)	Ridisplam (Roche)
Vantagens	<ul style="list-style-type: none"><li>▪ Eficácia demonstrada</li><li>▪ Mínimos efeitos adversos</li><li>▪ Maior experiência com a droga</li><li>▪ FDA, EMA, ANVISA</li><li>▪ Já incorporado ao SUS para AME tipo 1</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>▪ Eficácia demonstrada</li><li>▪ Dose única</li><li>▪ FDA, ANVISA, EMA</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>▪ Eficácia demonstrada</li><li>▪ Via oral</li><li>▪ Mínimos efeitos adversos</li><li>▪ FDA, ANVISA, EMA</li></ul>
Desvantagens	<ul style="list-style-type: none"><li>▪ Repetidas administrações intratecais</li><li>▪ Complexidade nas deformidades de coluna</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>▪ Aprovado só para idade &lt; 2 anos</li><li>▪ Duração de efeito não bem determinada</li><li>▪ Uso de corticoterapia</li><li>▪ Imunogenicidade pode ser um problema</li><li>▪ Potencial lesão hepática</li><li>▪ Ainda pouca experiência com a</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>▪ Uso diário</li><li>▪ Pouca experiência com a droga</li></ul>