INAME

Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal

Novembro/2019

O INAME

Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal

INAME
Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal

> Associação sem fins lucrativos, baseada em trabalho voluntário

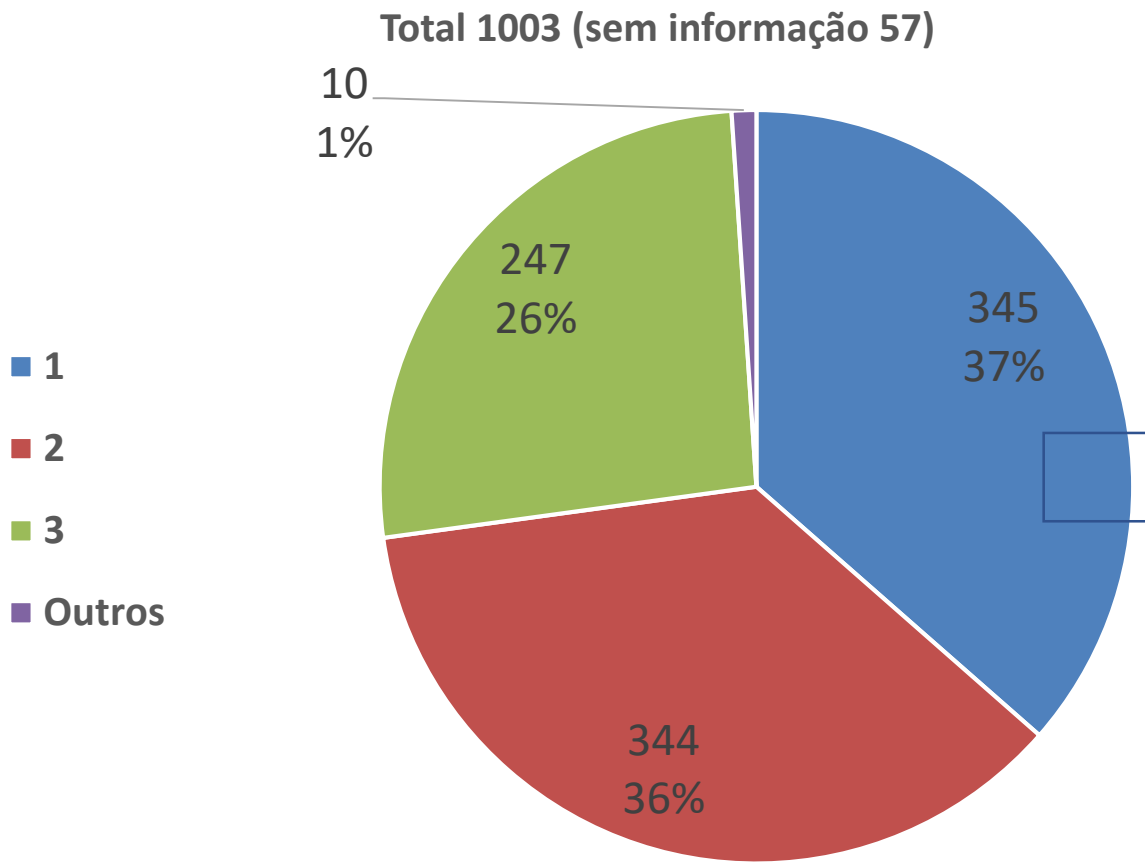
> Busca de tratamento e cuidados adequados para **todos** os pacientes com AME no Brasil;

> 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

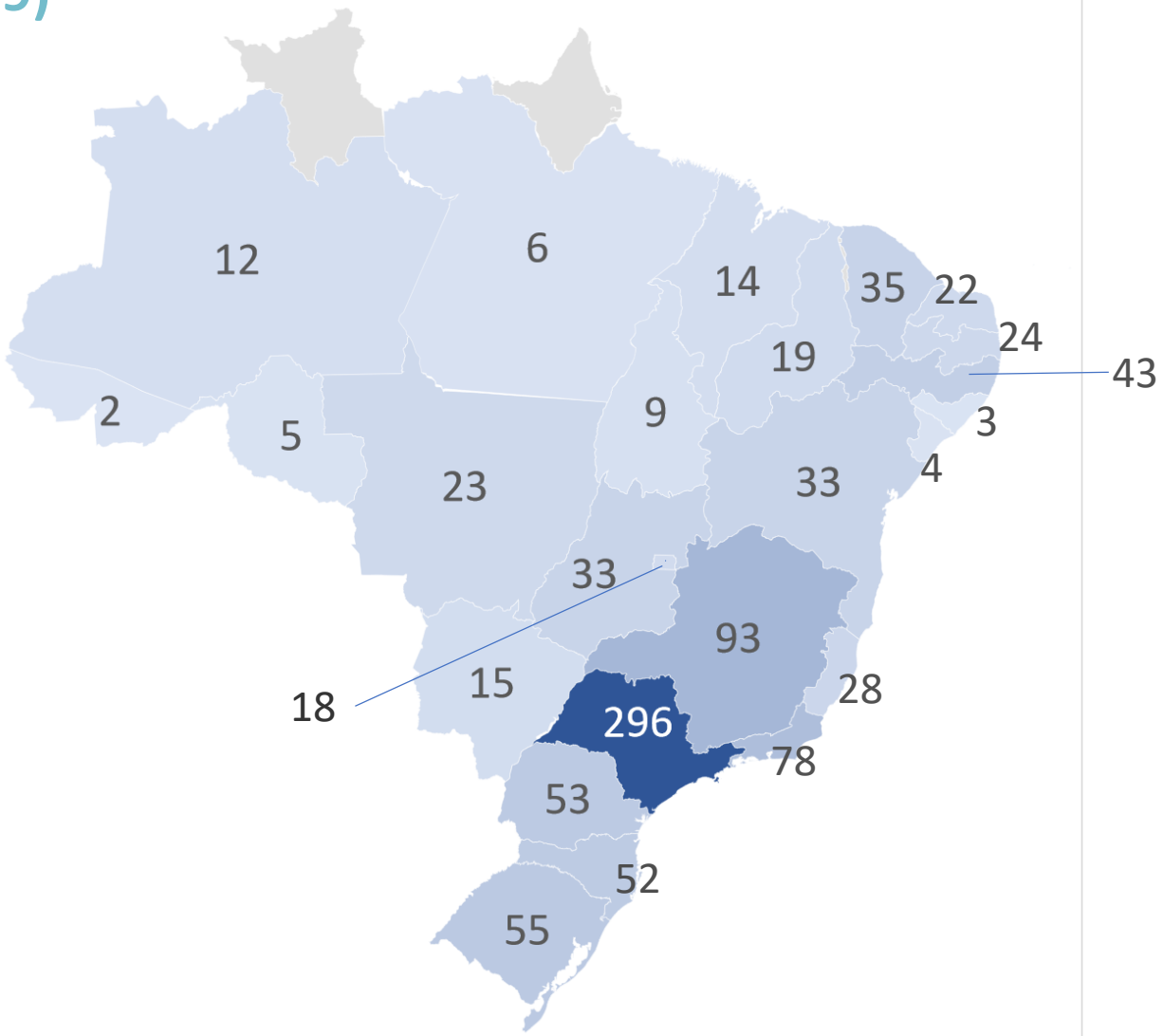
Cenário dos Pacientes AME no Brasil (01/11/2019): 1.003 pactes



Do total de pacientes Tipo 1, quase 20% vivem em hospitais

Distribuição Geográfica dos Pacientes AME

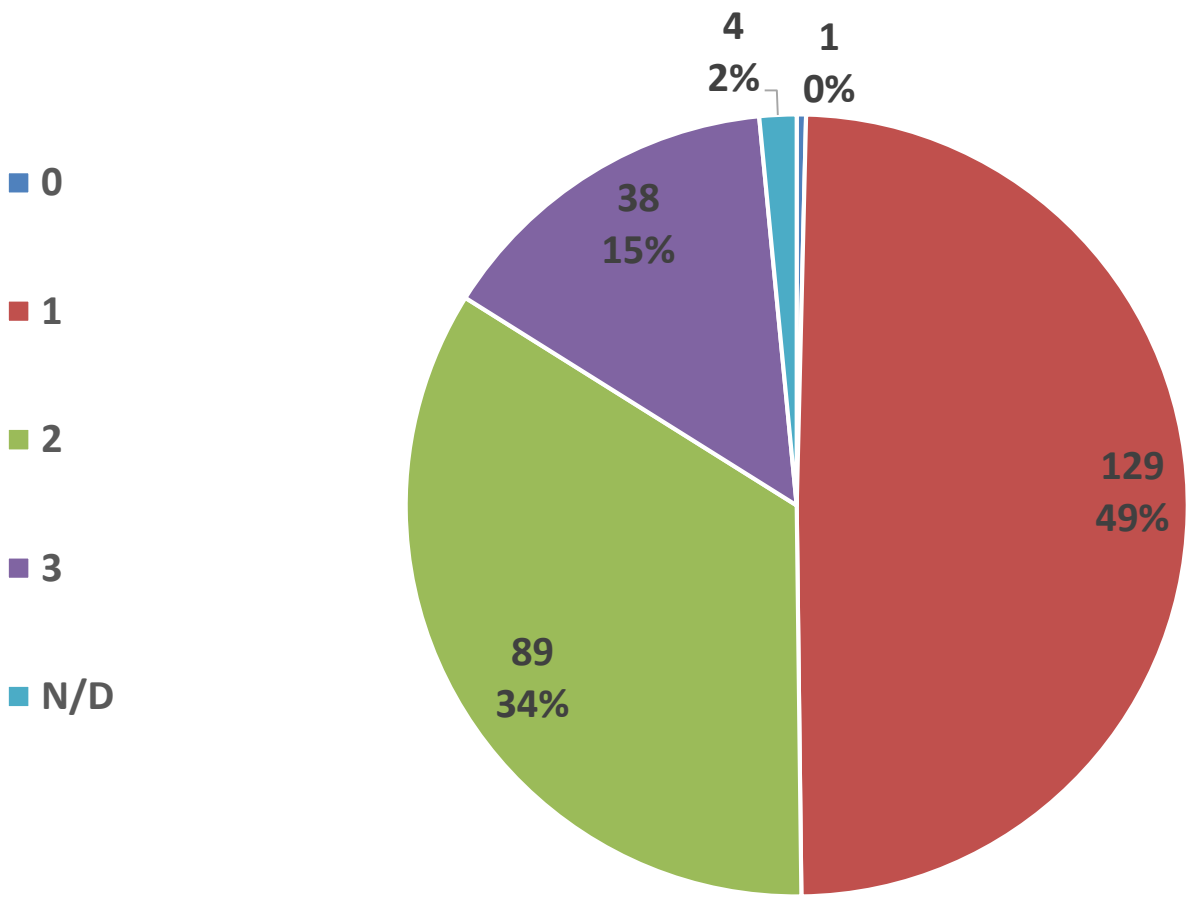
(Total 1.003, 01/11/2019)



Sem informação: 28

Pacientes em Tratamento com Spinraza

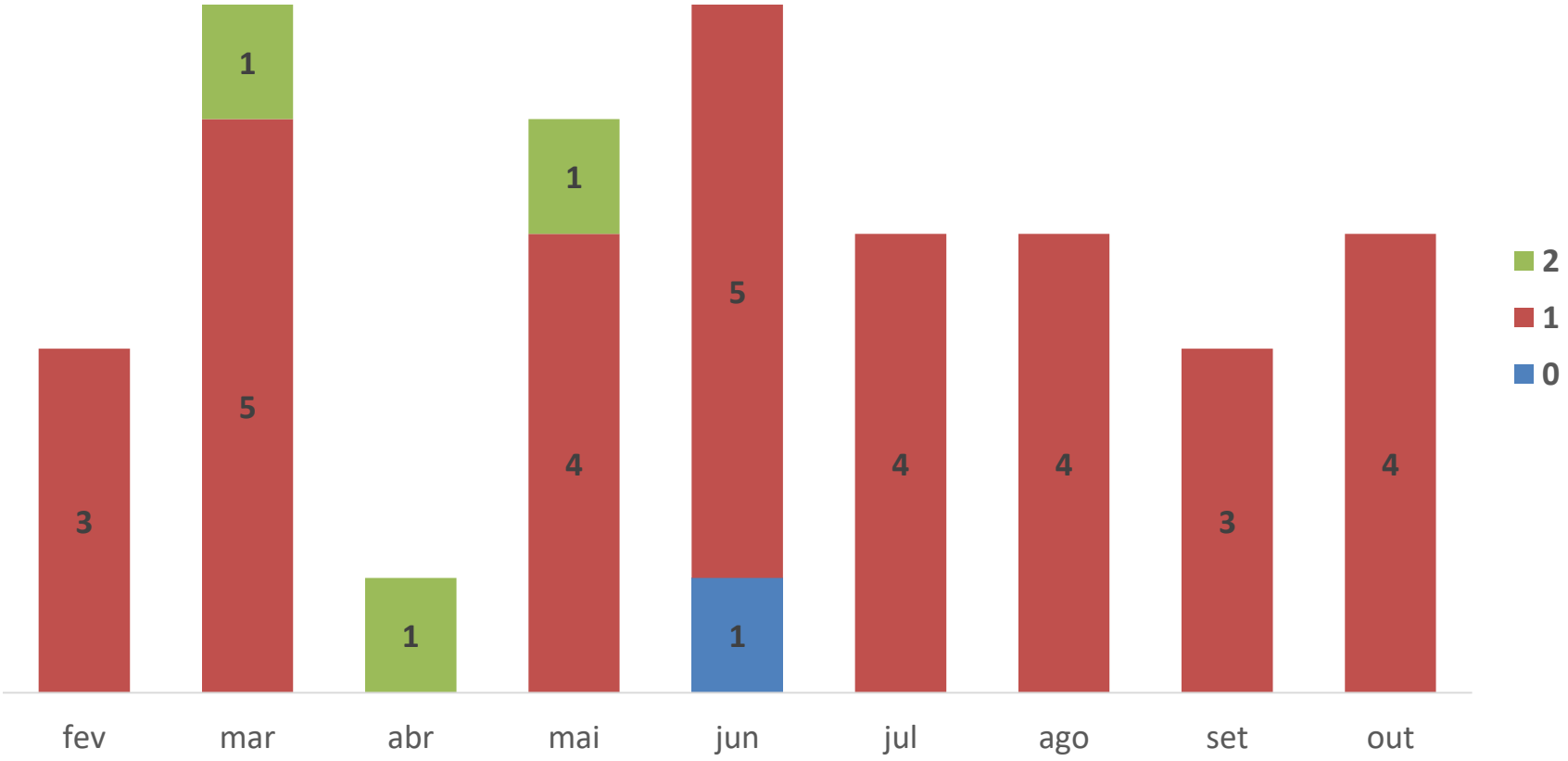
Por Tipo: total 261 (01/11/2019)



Estimativa total: 390

Óbitos Janeiro a 01/novembro/2019

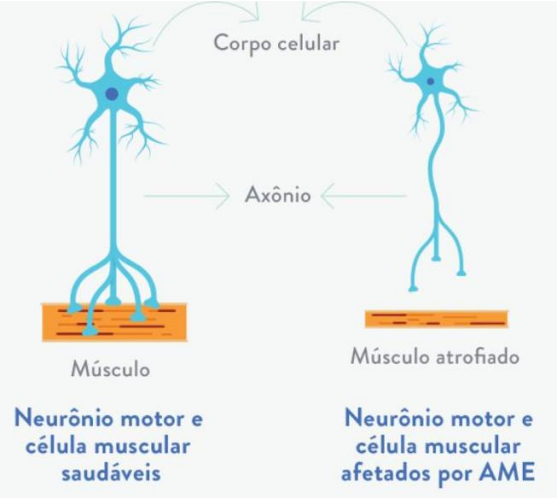
Total: 36



A Atrofia Muscular Espinhal

INAME
Instituto Nacional da 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

INAME
Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal

> 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

INAME
Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal

- 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 resursos investidos pelo Poder Público no tratamento.

Triagem Neonatal para AME

INAME
Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal

- 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

INAME
Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal

> 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 milhoes 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

INAME
Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal

MUITO OBRIGADA!