

MUCOPOLISSACARIDOSE DO TIPO I	
Portaria Conjunta SAS/SCTIE/MS nº 12 – 11/04/2018	
Medicamento	LARONIDASE
CID 10	E 76.0
Apresentação	0,58 mg/mL (frasco 5 mL)
Inclusão	<p>1) Apresentar pelo menos um dos sinais ou sintomas* E</p> <p>2) Ter diagnóstico de MPS I confirmado de acordo com um dos critérios abaixo:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Atividade da enzima IDUA < 10% do limite inferior dos valores de referência em plasma, fibroblastos ou leucócitos, com atividade da enzima de referência, avaliada na mesma amostra e pelo mesmo método, apresentando valores normais E presença de níveis aumentados de GAGs totais na urina ou de excreção aumentada de sulfatos de heparan e dermatan; • Atividade da enzima IDUA < 10% do limite inferior dos valores de referência em plasma, fibroblastos, leucócitos, ou em papel-filtro, com atividade da enzima de referência, avaliada na mesma amostra e pelo mesmo método, apresentando valores normais E presença de mutações patogênicas em homozigose ou heterozigose composta no gene <i>IDUA</i>. <p>Observação: Pacientes que já estiverem em uso de Laronidase deverão ser reavaliados quanto aos critérios de inclusão. Caso não preencham critérios, a reposição da enzima deve ser imediatamente suspensa.</p>
Anexos Obrigatórios	<ul style="list-style-type: none"> - Laudo médico detalhado informando sinal(is) e sintoma(s) do item 1 dos critérios de inclusão, informar se já usa Laronidase. - Exames: Atividade da enzima IDUA (realizado nas condições do item 2 dos critérios de inclusão) E pesquisa de GAGs urinário (sulfatos de heparan e dermatan) E/OU teste genético - avaliação do gene <i>IDUA</i>.
Administração	A dose recomendada é de 0,58 mg/kg de peso corporal, uma vez por semana por infusão IV. Recomenda-se pré-tratamento com antipiréticos ou anti-histamínico 60 min antes da infusão. Infusão em ambiente hospitalar ou ambulatorial, ao longo de 3 a 4 horas. Pacientes com 20 kg ou menos: volume total de infusão de 100mL. Mais de 20 kg: volume total de 250mL. Taxa inicial de infusão de 10 mcg/kg/h, aumentada a cada 15 min durante a 1ª hora, conforme tolerância, até vel. máx. de infusão de 200mcg/kg/h, mantida para o restante da infusão.
Prescrição Máxima Mensal	100 frascos
Monitoramento	A cada 6 meses: GAG urinário, História médica, Pressão arterial, Hepametria (exame físico), Exame neurológico, Avaliação da mobilidade articular, Revisão do número de infusões realizadas no período, Determinação da adesão ao acompanhamento/tratamento, peso/altura. Avaliação médica conforme PCDT/MS, periodicidade a critério do médico assistente (pediatra ou clínico).
Exclusão	Serão excluídos os pacientes que apresentarem pelo menos uma das condições abaixo: <ul style="list-style-type: none"> - condição irreversível que implique em sobrevida provavelmente < 6 meses como resultado da MPS I ou de outra doença associada, em acordo entre mais de um especialista; - hipersensibilidade ao medicamento; - idade > 18 anos, que após devidamente informado sobre potenciais riscos e benefícios associados ao tratamento com Laronidase, recusar-se a ser tratado; - paciente com histórico de falha de adesão: mesmo após o programa específico para melhora de adesão não comparecer a pelo menos 50 % do nº de consultas ou avaliações previstas em 1 ano.

Tempo de Tratamento	Deve-se interromper tratamento se: <ul style="list-style-type: none"> - após 6 meses de tratamento não apresentar melhora em: hepatomegalia, níveis basais de GAGs urinários, restrição da amplitude dos movimentos do ombro; - condição irreversível que implique em morte iminente, cujo prognóstico não se altera devido uso de TER, em acordo entre mais de um especialista; - hipersensibilidade ou reação adversa grave ao uso de Laronidase; - idade > 18 anos que, após devidamente informado sobre riscos e benefícios de sua decisão, optar por não mais se submeter à terapia de reposição com Laronidase; - paciente que não comparecer a pelo menos 50 % do nº de infusões, consultas ou avaliações previstas em 1 ano (poderá retornar ao tratamento caso haja comprometimento explícito de seguimento das recomendações médicas). 	
Validade dos Exames	GAGs urinários: 3 meses. Atividade da enzima IDUA e Teste genético - análise do gene IDUA: Indeterminada.	
Especialidade Médica	Novas Solicitações e Adequações	Geneticista ou Neurologista
	Renovações Sem Alterações	Geneticista, Neurologista, médico da saúde da família, Pediatra ou Clínico (pacientes adultos).
*Sinais e sintomas: <ul style="list-style-type: none"> • Características faciais sugestivas de doença lisossômica (face de “depósito”); • Otite média e infecções respiratórias superiores precoces e de repetição, excluídas outras causas mais frequentes; • Hérnia inguinal ou umbilical, especialmente se ambas e em crianças, excluídas outras causas mais frequentes; • 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); • Síndrome do túnel do carpo em crianças; • Irmão de qualquer sexo com MPS I. 		
CID-10: E76.0 Mucopolissacaridose do tipo I		



DIAF
 Diretoria de Assistência
 Farmacêutica