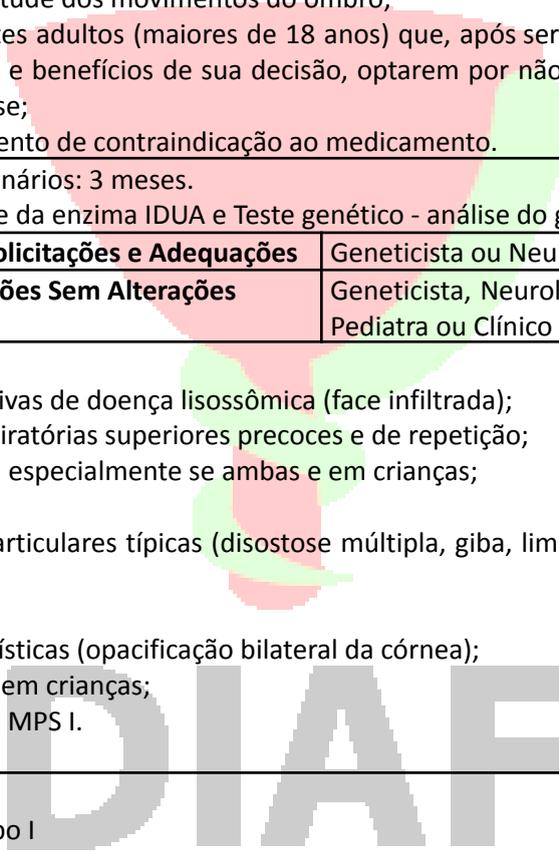


<b>MUCOPOLISSACARIDOSE DO TIPO I</b>	
<b>Portaria Conjunta SAS/SECTICS/MS nº 6 – 06/06/2025</b>	
<b>Medicamento</b>	<b>LARONIDASE</b>
<b>CID 10</b>	<b>E 76.0</b>
<b>Apresentação</b>	0,58 mg/mL (frasco 5 mL)
<b>Inclusão</b>	<p><b>1) Apresentar pelo menos um dos sinais ou sintomas*</b> E</p> <p><b>2) Ter diagnóstico de MPS I confirmado de acordo com um dos critérios abaixo:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Atividade da enzima IDUA &lt; 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; <b>OU</b></li> <li>• Atividade da enzima IDUA &lt; 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>.</li> </ul>
<b>Anexos Obrigatórios</b>	<p>- Laudo médico detalhado informando sinal(is) e sintoma(s) do item 1 dos critérios de inclusão, informar se já usa Laronidase.</p> <p>- 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>.</p>
<b>Administração</b>	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.
<b>Prescrição Máxima Mensal</b>	100 frascos
<b>Monitoramento</b>	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.
<b>Exclusão</b>	<p>Serão excluídos do uso de TRE com laronidase, os pacientes que apresentarem pelo menos uma das condições abaixo:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- condição irreversível que implique em sobrevida provavelmente &lt; 6 meses como resultado da MPS I ou de outra doença associada, em acordo entre mais de um especialista;</li> <li>- contraindicação, hipersensibilidade ou toxicidade ao medicamento;</li> <li>- idade &gt; 18 anos, que após devidamente informado sobre potenciais riscos e benefícios associados ao tratamento com Laronidase, recusar-se a ser tratado.</li> </ul>

<b>Tempo de Tratamento</b>	<p>A TRE deve ser interrompida caso o paciente apresente, pelo menos, uma das seguintes situações:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- Adesão inadequada ao tratamento, definida por falta em mais de 50% das sessões de infusão do medicamento;</li> <li>- Redução grave na qualidade de vida e no estado funcional, apesar do tratamento específico para a doença, definidas por condição clínica que se associe a uma expectativa de vida menor que 1 ano;</li> <li>- Ausência de melhora, após 6 meses de tratamento, nas manifestações clínicas que comprovadamente respondem à TRE: hepatomegalia, verificada por quaisquer métodos, como exame físico, ecografia abdominal ou ressonância abdominal; redução de pelo menos 50% dos níveis basais de GAGs urinários; redução de pelo menos 10° na restrição da amplitude dos movimentos do ombro;</li> <li>- Pacientes adultos (maiores de 18 anos) que, após serem devidamente informados sobre os riscos e benefícios de sua decisão, optarem por não mais se submeterem à TRE IV com laronidase;</li> <li>- Surgimento de contraindicação ao medicamento.</li> </ul>	
<b>Validade dos Exames</b>	<p>GAGs urinários: 3 meses.          Atividade da enzima IDUA e Teste genético - análise do gene <i>IDUA</i>: Indeterminada.</p>	
<b>Especialidade Médica</b>	<b>Novas Solicitações e Adequações</b>	Geneticista ou Neurologista
	<b>Renovações Sem Alterações</b>	Geneticista, Neurologista, médico da saúde da família, Pediatra ou Clínico (pacientes adultos).
<p><b>*Sinais e sintomas:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>● Características faciais sugestivas de doença lisossômica (face infiltrada);</li> <li>● Otite média e infecções respiratórias superiores precoces e de repetição;</li> <li>● Hérnia inguinal ou umbilical, especialmente se ambas e em crianças;</li> <li>● Hepatoesplenomegalia;</li> <li>● Alterações esqueléticas ou articulares típicas (disostose múltipla, giba, limitação da amplitude de movimento das articulações);</li> <li>● Mãos em garra;</li> <li>● Alterações oculares características (opacificação bilateral da córnea);</li> <li>● Síndrome do túnel do carpo em crianças;</li> <li>● Irmão de qualquer sexo com MPS I.</li> </ul>		
<p><b>CID-10:</b>  <b>E76.0</b> Mucopolissacaridose do tipo I</p>		


  
**DIAF**  
 Diretoria de Assistência  
 Farmacêutica