

A condição integra o grupo de doenças neuromusculares com herança ligada ao cromossomo X

Uma condição rara e sem terapia específica incorporada ao SUS foi tema de mais um Monitoramento do Horizonte Tecnológico publicado pelo Ministério da Saúde (MS). O documento identificou quatro tecnologias recém registradas na agência sanitária americana Food and Drug Administration para a distrofia muscular de Duchenne (DMD), todas do tipo oligonucleotídeo antisense. A DMD faz parte do espectro das distrofinopatias, grupo de doenças neuromusculares com herança ligada ao cromossomo X, causadas por mutações no gene que codifica a distrofina (DMD), uma proteína estrutural das células musculares. O quadro clínico é caracterizado por atraso no desempenho motor grosso, anormalidades na marcha, hipertrofia da panturrilha, dificuldade de se levantar da posição deitada ou sentada e quedas frequentes.

O material foi elaborado pelo Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde da UNIFESP-Diadema, com base nas evidências disponíveis, com a finalidade de informar quanto aos potenciais impactos de tecnologias emergentes (em estágio de desenvolvimento) para o tratamento da DMD.

Os sinais da doença não estão presentes no nascimento, no entanto, ainda na primeira infância, os pacientes começam a apresentar fraqueza muscular. A DMD progride rapidamente e é comum que as crianças necessitem de cadeira de rodas em torno dos 10 anos de idade. Simultaneamente ou em seguida surgem complicações respiratórias e cardíacas, que incluem cardiomiopatia dilatada, arritmias, insuficiência cardíaca e insuficiência respiratória.

Acesse [aqui](#) o documento.

Atualmente, a terapia padrão geralmente é baseada em corticosteroides, medicamentos capazes de retardar o declínio da força e da função muscular, proporcionando uma redução do risco de escoliose e estabilização da função pulmonar. Abordagens para o tratamento específico da DMD também estão sendo exploradas, tornando o panorama terapêutico para crianças mais promissor.

Para que ocorra a oferta de medicamentos no SUS, é necessária a análise pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec). Os relatórios de recomendação da Comissão levam em consideração as evidências científicas sobre eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, e, também, a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas e o impacto da incorporação da tecnologia no SUS.