GUIA DE ORIENTAÇÃO AO USUÁRIO

Elaboração: 2014	Última revisão: 02/2025	Próxima Revisão: 02/2027	Revisão: 05

DOENÇA DE FABRY
CID 10: E75.2
NORMA TÉCNICA SES/PE Nº 29/2013, DE 22 DE JANEIRO DE 2014.
PORTARIA CONJUNTA SAES/SECTICS Nº 2, DE 15 DE JANEIRO DE 2025.

Informações Gerais

Este é um guia que contém orientações sobre o medicamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF que você está recebendo gratuitamente pelo SUS. Seguindo orientações, você terá mais chance de se beneficiar com o tratamento.

Medicamentos CEAF

***Alfagalsidase: solução injetável de 1 mg/mL;**
***Beta-agalsidase: pó para solução injetável de 35 mg.**

***medicamentos por infusão**

Documentos Pessoais a serem apresentados (original e cópia)

( ) Carteira de identidade com foto (RG)
( ) Cadastro de Pessoa Física (CPF)
( ) Comprovante de residência com CEP (conta de água, luz, telefone ou declaração de residência)
( ) Cartão Nacional de Saúde (CNS)
( ) Declaração Autorizadora, caso deseje credenciar representante para receber os medicamentos

Documentos a serem emitidos pelo Médico (original e cópia)

✓ Solicitação inicial	✓ Renovação a cada 6 (seis) meses
( ) **LME** - Laudo para Solicitação/Avaliação e Autorização de Medicamentos do CEAF (no campo anamnese, preencher com a história clínica do (a) paciente e se o espaço não for suficiente utilizar laudo complementar); ( ) **Receita Médica**, com posologia para 6 (seis) meses de tratamento; ( ) **Laudo médico para Doença de Fabry (Anexo I)**, descrevendo histórico clínico do paciente e diagnóstico. ( ) **Termo de Esclarescimento e Responsabilidade (Anexo II)**	( ) **LME** - Laudo para Solicitação/Avaliação e Autorização de Medicamentos do CEAF (em qualquer mudança na terapêutica informar no campo (anamnese) e se o espaço não for suficiente utilizar laudo complementar); ( ) **Receita Médica**, com posologia para 6 (seis) meses de tratamento.

Exames (cópias)

✓ **Solicitação inicial**	✓ **Renovação a cada 6 (seis) meses.**
( ) Cópia de exame genético que apresente mutação patogênica do gene que codifica a enzima αGAL-A; ( ) Creatinina sérica; ( ) Relação albumina/creatinina **ou** relação proteína/creatinina em urina; ( ) Taxa de Filtração Glomerular (TFG).	( ) Creatinina sérica; ( ) Relação albumina/creatinina **ou** proteína/creatinina.

O resultado dos exames garante uma avaliação precisa sobre o efeito do medicamento no organismo. Em alguns casos, pode ser necessário ajustar a dose ou até interromper o tratamento. Quando houver resultados fora dos parâmetros estabelecidos ou a ausência de algum exame, o médico deverá justificar a situação para que seja devidamente analisada. Dependendo da condição clínica do paciente, exames ou documentos adicionais poderão ser solicitados pelo avaliador técnico, conforme o Protocolo Clínico e as Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde.

Serviços de Referência

Unidades de Saúde do SUS que atendam **Doenças Raras**, regularizadas no CNES – Cadastro Nacional de Estabelecimentos de Saúde.

Para receber os medicamentos

O paciente ou seu representante deverá ser atendido em um serviço especializado em **Doenças Raras**, que providenciará toda a documentação necessária e encaminhará à Farmácia de Pernambuco, a qual realizará a dispensação do medicamento para unidade em que o paciente é acompanhado

Observações

- A resposta à Solicitação será emitida em até 30 (trinta) dias;
- Os documentos para renovação do tratamento devem ser apresentados com antecedência de 30 (trinta) dias;
- Em caso de dúvidas que não estejam esclarecidas neste guia, antes de tomar qualquer atitude, procure orientação com o médico ou farmacêutico.
- Para o remédio em casa, o paciente receberá a ligação e deverá concordar em receber o medicamento. Nesse caso ele deve permanecer no programa no mínimo 6 meses e aguardar o medicamento no período acordado (manhã ou tarde).
- Para acesso a Portaria integral acesse: http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes
- Para acesso a Normas Técnicas Estaduais acesse: http://www.farmacia.pe.gov.br/normas-tecnicas

Termo de Consentimento para tratamento de dados pessoais - Lei LGPD nº 13.709, de 14 de agosto de 2018

Este documento visa registrar a manifestação livre, informada e inequívoca pela qual o proprietário dos dados concorda com o tratamento de seus dados pessoais para finalidade específica, em conformidade com a Lei nº 13.709/2018 – Lei Geral de Proteção de Dados Pessoais (LGPD).

Ao aceitar o presente termo, o proprietário dos dados consente e concorda que seus dados serão usados pela Secretária Estadual de Saúde de Pernambuco para alimentar o Sistema Hórus do Ministério da Saúde para ter acesso ao seu tratamento.

_____

Assinatura do paciente ou responsável legal

ANEXO I

LAUDO MÉDICO PARA DOENÇA DE FABRY

1. Nome do Paciente_____

2. Idade: _____ Sexo: ( ) F ( ) M

3. História familiar com diagnóstico confirmado de Doença de Fabry? ( ) Sim ( ) Não.

Se sim qual grau de parentesco? _____

4. Diagnóstico da Doença de Fabry na forma? ( ) Clássica ( ) Tardia

5. Histórico clínico

a) Análise do DNA que demonstra mutação patogênica do gene que codifica a enzima αGAL-A? ( ) Sim ( ) Não ( ) Não avaliado
b) Atividade da enzima αGAL-A inferior a 5% dos valores normais? ( ) Sim ( ) Não ( ) Não determinado
c) Aumento na excreção urinária de GL-3? ( ) Sim ( ) Não ( ) Não determinado
d) Evidência histológica de acúmulo de GL-3? ( ) Sim ( ) Não ( ) Não determinado
e) Angioqueratoma confirmado por biópsia? ( ) Sim ( ) Não ( ) Não determinado
f) Córnea verticilata? ( ) Sim ( ) Não ( ) Não determinado
g) Albuminúria ou proteinúria? ( ) Sim ( ) Não ( ) Não determinado
h) Alteração histológica renal (apagamento dos pedicelos ou sinais moderados ou graves de inclusões de GL-3 e sinais de glomeruloesclerose no tecido renal)? ( ) Sim ( ) Não ( ) Não determinado
i) Lesão podocitária em biópsia renal? ( ) Sim ( ) Não ( ) Não determinado
j) Doença renal crônica (DRC) estágios 4 ou 5? ( ) Sim ( ) Não ( ) Não avaliado
k) Insuficiência Cardiaca? ( ) Sim ( ) Não ( ) Não avaliado. Se sim qual classe NYHA? ( ) I ( ) II ( ) III ( ) IV
l) Declínio cognitivo grave? ( ) Sim ( ) Não

6. Outras manifestações clínicas, sinais e sintomas apresentados pelo paciente:

_____
_____
_____
_____
_____
_____
_____

Data: _____

Médico Solicitante:_____CRM:_____

Assinatura e Carimbo

ANEXO II

TERMO DE ESCLARECIMENTO E RESPONSABILIDADE

Eu, _____ , declaro ter sido informado(a) sobre benefícios, riscos, contraindicações e principais eventos adversos relacionados ao uso de alfagalsidase e beta-agalsidase, indicada para o tratamento de Doença de Fabry. Os termos médicos foram explicados e todas as dúvidas foram esclarecidas pelo(a) médico(a) _____. Assim, declaro que fui claramente informado (a) de que o medicamento que passo a receber pode trazer os seguintes benefícios:

- Evitar, reduzir ou estabilizar a perda da função dos rins;

- Evitar, reduzir ou estabilizar as disfunções do coração (alterações da massa do ventrículo esquerdo, arritmias).

Fui também claramente informado (a) a respeito das seguintes contraindicações, potenciais eventos adversos e riscos: Os medicamentos alfagalsidase e beta-agalsidase são classificados na gestação como categoria B (não há estudos adequados em mulheres e em experimentos com animais não foram encontrados riscos).

Os eventos adversos mais comuns dos medicamentos são: cefaleia, náusea, fadiga, diarreia, tosse, vômitos, tontura, artralgia, dor nas costas, pirexia, nasofaringite, parestesia, dor abdominal, dispneia, dor nos membros, dor no peito, palpitações, dor, mialgia, hipoestesia, faringite, astenia, calafrios, dor neuropática, erupção cutânea, edema periférico, zumbidos e tremores.

Esses medicamentos podem levar os pacientes a desenvolverem anticorpos contra a proteína que o compõe. Consultas e exames durante o tratamento são necessários. Todos esses medicamentos são contraindicados em casos de hipersensibilidade (alergia) aos fármacos ou aos componentes da fórmula.

Estou ciente de que este medicamento somente pode ser utilizado por mim, comprometendo-me a devolvê-lo caso não queira ou não possa utilizá-lo ou se o tratamento for interrompido. Sei também que continuarei a ser atendido (a), inclusive em caso de desistência do uso do medicamento.

Autorizo o Ministério da Saúde e as Secretarias de Saúde a fazerem uso de informações relativas ao meu tratamento, desde que assegurado o anonimato. ( ) Sim ( ) Não

Meu tratamento constará do seguinte medicamento: ( ) Alfagalsidase ( ) Beta-agalsidase

Local:	Data:
Nome do Paciente:	
Cartão Nacional de Saúde:	
Nome do responsável legal:	
Documento de identificação do responsável legal:	
_____ **Assinatura do pacienteou responsável legal**	
NomedoMédico: UF:	CRM:
_____ **Assinatura e carimbo médico** Data:	

Este termo é obrigatório ao se solicitar o fornecimento de medicamento do componente especializado da Assistência Farmacêutica e deverá ser preenchido em duas vias: uma ficará arquivada na farmácia e a outra será entregue ao usuário ou a seu responsável legal.

Sistema Único de Saúde
Ministério da Saúde
Secretaria de Estado da Saúde

COMPONENTE ESPECIALIZADO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA

LAUDO DE SOLICITAÇÃO, AVALIAÇÃO E AUTORIZAÇÃO DE MEDICAMENTO(S)

SOLICITAÇÃO DE MEDICAMENTO(S)

CAMPOS DE PREENCHIMENTO EXCLUSIVO PELO MÉDICO SOLICITANTE

1- Número do CNES*

2- Nome do estabelecimento de saúde solicitante

3- Nome completo do Paciente*

4- Nome da Mãe do Paciente*

5-Peso do paciente* ☐☐☐ kg

6-Altura do paciente* ☐☐☐ cm

	7- Medicamento(s)*	8- Quantidade solicitada*					
		1º mês	2º mês	3º mês	4º mês	5º mês	6º mês
1							
2							
3							
4							
5							
6							

9- CID-10*

10- Diagnóstico

11- Anamnese*

12- Paciente realizou tratamento prévio ou está em tratamento da doença?*

☐ SIM. Relatar:

☐ NÃO

13- **Atestado de capacidade***

A solicitação do medicamento deverá ser realizada pelo paciente. Entretanto, fica dispensada a obrigatoriedade da presença física do paciente considerado incapaz de acordo comos artigos 3º e 4º do Código Civil. O paciente é considerado incapaz?

☐ NÃO ☐ SIM. Indicar o nome do responsável pelo paciente, o qual poderá realizar a solicitação do medicamento _____

Nome do responsável

14-- Nome do médico solicitante*

15- Número do Cartão Nacional de Saúde (CNS) do médico solicitante*

16- Data da solicitação*

17- Assinatura e carimbo do médico*

18 - **CAMPOS ABAIXO PREENCHIDOS POR*:** ☐ Paciente ☐ Mãe do paciente ☐ Responsável (descrito no item 13) ☐ Médico solicitante

☐ Outro, informar nome: _____ e CPF ☐☐☐☐☐☐☐☐☐☐☐

19- Raça/Cor/Etnia informado pelo paciente ou responsável*

☐ Branca ☐ Amarela

☐ Preta ☐ Indígena. Informar Etnia: _____

☐ Parda ☐ Sem informação

20- Telefone(s) para contato do paciente

21- Número do documento do paciente

☐ CPF ou ☐ CNS

22- Correio eletrônico do paciente

23- Assinatura do responsável pelo preenchimento*

*** CAMPOS DE PREENCHIMENTO OBRIGATÓRIO**

DIRETORIA GERAL DE ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA
SECRETARIA EXECUTIVA DE ATENÇÃO À SAÚDE

Secretaria de Saúde PERNAMBUCO

DECLARAÇÃO AUTORIZADORA

(Portaria de Consolidação n° 2, de 28 de setembro de 2017)

Nome Paciente: _____ **CNS:** _____

Autorizo os representantes abaixo relacionados a me representarem na Farmácia de Medicamentos Especializados da Secretaria de Saúde do Estado de Pernambuco para formalização da solicitação de medicamentos, renovação da continuidade de tratamento e recebimento de medicamentos.

REPRESENTANTE 1*			
Nome Completo:			
Nº Doc. de Identidade (RG):	**UF:**	**Órgão Emissor:**	
Nº CPF:			
Parentesco:			
Logradouro:	**Nº**	**Complemento:**	
Bairro:	**UF:**	**Município:**	**CEP:**
Telefones para contato:			
Email:			
REPRESENTANTE 2*			
Nome Completo:			
Nº Doc. De Identidade (RG):	**UF:**	**Órgão Emissor:**	
Nº CPF:			
Parentesco:			
Logradouro:	**Nº**	**Complemento:**	
Bairro:	**UF:**	**Município:**	**CEP:**
Telefones para contato:			
Email:			
REPRESENTANTE 3*			
Nome Completo:			
Nº Doc. de Identidade (RG):	**UF:**	**Órgão Emissor:**	
Nº CPF:			
Parentesco:			
Logradouro:	**Nº**	**Complemento:**	
Bairro:	**UF:**	**Município:**	**CEP:**
Telefones para contato:			
Email:			

*Anexar cópia do RG dos representantes autorizados.

Data: __/__/20__ **Assinatura do paciente:** _____

Campo para digital