



Associação
Unidos Pela Cura
da

AME

Atrofia Muscular Espinhal

United by Cure of SMA

A Unidos nasceu para lutar por estes guerreiros e todos os outros!



**Para combater a MORTE, é preciso
buscar tratamento!**



**Pois nos últimos 7 dias 4 crianças
perderam a luta contra a AME!**

**E no dia 23 de dezembro de 2016
a história da doença começou a
mudar!**

**BREAKING
NEWS!**

**FDA has Approved
Spinraza for SMA**



Cold Spring Harbor Laboratory



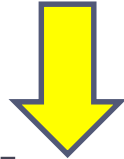
Doença assassina, droga milagrosa

A história da doença de uma criança, a busca de um cientista e as circunstâncias que tornaram possível o desenvolvimento bem-sucedido de um tratamento que salva vidas, uma droga milagrosa.

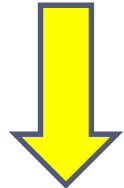
Direito a saúde e a vida!

- Art. 196, a **Constituição Federal** de 1988 reconhece a **saúde** como **direito** de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem a redução do risco de doença e de outros agravos.
- Antes de proteger qualquer outro direito é dever do Estado se preocupar com aquele que é o mais importante: o direito à vida humana, que sem este, todos os demais ficam sem fundamento.

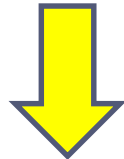
**Spinraza, único tratamento
medicamentoso para AME
disponível no Mundo atualmente!**



**Único meio de acesso no
momento**



Via Judicial



**Segundo o Ministério da Saúde
pacientes com traqueostomia, escoliose e com mais de 7
meses de idade não podem receber o Spinraza, será?**

Spinraza tem restrições alegadas em Bula?

1) PARA QUE ESTE MEDICAMENTO É INDICADO?

SPINRAZA™ (nusinersena) é indicado para o tratamento de pacientes com Atrofia Muscular Espinhal (AME) com deleção ou mutação no gene *SMN1* localizado no cromossomo 5q.

RSS (http://portal.anvisa.gov.br/noticias/-/asset_publisher/FXrpx9cY7FbU/rss?p_p_cacheability=cacheLevelFull)
Imprimir

ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL

Anvisa concede registro ao medicamento Spinraza

Indicado para pacientes com doença caracterizada pela degeneração de neurônios motores da coluna vertebral e sem opções terapêuticas disponíveis no Brasil.

Publicado: 25/08/2017 14:54
Última Modificação: 01/09/2017 15:30

Tweetar

Compartilhar



Chega ao mercado brasileiro uma esperança para pessoas acometidas pela Atrofia Muscular Espinhal 5q (AME), doença que ataca o sistema nervoso até o ponto de o paciente não conseguir se mover ou mesmo respirar e que atinge um em cada dez mil bebês nascidos. A Anvisa publicará na segunda-feira (28/8) o registro do medicamento novo SPINRAZA® (nusinersena), na forma farmacêutica solução injetável e concentração de 2,4 mg/mL. Dessa forma, o Spinraza poderá ser comercializado no Brasil. A decisão será publicada no Diário Oficial da União (DOU).

O medicamento é indicado para o tratamento de pacientes com AME, doença rara neuromuscular autossômica recessiva de prognóstico adverso, caracterizada pela degeneração de neurônios motores da coluna vertebral e sem opções terapêuticas disponíveis no Brasil. O Spinraza é fabricado pelas empresas Vetter Pharma - Fertigung GmbH & Co. KG (Alemanha) e Patheon Itália S.P.A (Itália). A detentora do registro do medicamento no Brasil é a empresa Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda.

O processo de registro do medicamento recebeu prioridade de análise assim que foi protocolado junto à Anvisa, com o imediato início da avaliação tanto da documentação referente à comprovação de segurança e eficácia, quanto do dossiê de tecnologia farmacêutica. "É um medicamento que muda a história da AME, dando uma possibilidade concreta de melhora significativa na qualidade de vida dos portadores dessa doença", ressalta o diretor-presidente da Anvisa, Jarbas Barbosa.

Como se trata de uma substância inédita no país, foi um processo mais complexo, envolvendo a avaliação crítica de informações legais e técnicas. Mesmo assim, dado o caráter prioritário que a Anvisa impôs, a análise foi feita de maneira célere, com o registro sendo concedido em cinco meses desde sua solicitação junto à Agência. Menos tempo do que levou o processo no Canadá, por exemplo, onde o registro do Spinraza saiu após cerca de seis meses.

O diretor de Autorização e Registro Sanitário da Anvisa, Fernando Mendes, ressalta a importância da concessão desse medicamento, registrado com os devidos parâmetros de segurança, qualidade e eficácia. Mendes trata o tema como prioritário: "A Agência está em vias de concluir a regulamentação que objetiva facilitar e também



São Paulo, 02 de março de 2018

Prezados Gestores de Associações de Pacientes de Atrofia Muscular Espinhal,

Agradecemos seu contato referente ao medicamento Spinraza® (nusinersena).

A Biogen se sensibiliza com as necessidades da comunidade global de pacientes, familiares e especialistas c AME, compreende seu interesse pelo Spinraza® (nusinersena) e agradece por seu contato.

Visando esclarecer os questionamentos recebidos referentes à indicação do medicamento Spinraza (nusinersena), esclarecemos que a indicação e as contraindicações do medicamento encontram-se disponíveis na bula do produto, que pode ser acessada via <http://portal.anvisa.gov.br/bulario-eletronico1>. Esta indicação é aprovada pela ANVISA e conforme descrito em bula, Spinraza® (nusinersena) é indicado para o tratamento c Atrofia Muscular Espinhal 5q (AME).

O termo Atrofia Muscular Espinhal (AME) define uma doença genética que causa a morte de neurônios motores espinhais. A Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q é a forma mais comum de AME: corresponde a 95% dos casos e é subdividida nos tipos 0, 1, 2, 3 e 4. Todos os tipos de AME 5q são causados por uma condição autossômica de herança recessiva que resulta da deleção ou outras mutações do gene *SMN1*, localizado no cromossomo 5q13.

Deste modo, embora a doença seja classificada em diferentes subtipos, a fisiopatologia da AME é a mesma para todos os pacientes, independentemente do subtipo. O desenvolvimento de sinais e sintomas da doença são baseados na deficiência de proteína de sobrevivência do neurônio motor (SMN). O Spinraza® (nusinersena) age estimulando um aumento na produção da proteína SMN, independente do tipo de AME ou da idade de início c doença.

A aprovação regulatória da ANVISA baseou-se principalmente em resultados de dois estudos pivotais multicêntricos, controlados: ENDEAR (pacientes com início dos sintomas de AME 5q até seis meses de idade compatível com tipo 1) e uma análise interina do estudo CHERISH (pacientes com início dos sintomas de AME 5q após os seis meses de idade, compatível com AME tipo 2 e 3). Esses estudos demonstraram eficácia clinicamente relevante e estatisticamente significativa, além de perfil de segurança favorável para SPINRAZA® (nusinersena). A aprovação também foi apoiada por dados de estudos abertos em indivíduos sintomáticos, com AME tipo 1, e 3.

O processo de desenvolvimento clínico de um medicamento requer estudos para atestar a eficácia e a segurança. Tais estudos devem incluir pacientes selecionados criteriosamente, com critérios de inclusão e exclusão previamente definidos, para que os resultados sejam válidos. É importante salientar que um critério de exclusão não significa uma contra-indicação, mas significa que uma condição clínica específica não foi avaliada em dado estudo.

Comunicação exclusivamente reativa para uso em caso de questionamento sobre o medicamento Spinraza® (nusinersena).
Não tem objetivo e caráter promocional.



Reforçamos que Spinraza® (nusinersena) tem uso indicado em todos os tipos de AME 5q, e os critérios de exclusão de pacientes utilizados no contexto de seu desenvolvimento clínico não se refletem em contraindicações registradas em bula. As únicas contraindicações de uso do Spinraza® (nusinersena) são hipersensibilidade à substância ativa ou a qualquer excipiente da composição, além de gestação. Fatores como uso de ventilação, traqueostomia, escoliose ou outras comorbidades não são consideradas contraindicações, conforme bula aprovada pela ANVISA. Reforçamos que o uso da medicação deve ser realizado exclusivamente com prescrição e sob orientação médica.

Trabalhamos continuamente para entender e atender as principais necessidades e preocupações de todas as partes interessadas de forma ética e transparente. No Brasil, temos um programa de comunicação e apoio para o paciente com atrofia muscular espinhal, o Programa AME Mais.

Todas as famílias de portadores de atrofia muscular espinhal podem entrar em contato com o Programa AME Mais por meio do telefone 0800 200 0550.

Recomendamos que as famílias continuem a discutir com profissional de saúde que assiste o paciente sobre o melhor tratamento possível neste momento. Caso este profissional de saúde precise de qualquer informação, ele pode contatar a divisão médica da Biogen pelo canal de informações médicas (medinfobrazil@biogen.com).

Ressaltamos que estas são as informações disponíveis no momento relacionadas ao seu questionamento.

Novamente, agradecemos seu contato e nos colocamos à disposição para demais esclarecimentos.

Atenciosamente,

Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda.

Comunicação exclusivamente reativa para uso em caso de questionamento sobre o medicamento Spinraza® (nusinersena).
Não tem objetivo e caráter promocional.

Willian AME tipo 1 iniciou o tratamento com mais de 5 anos de idade.



Beth Chandler Moore está com Mark Moore.

16 h •

was one year ago today that **William Moore** ot his first injection of **#spinraza**. They told ot to expect anything for a year. Things we ave notice this year... William now taps his ngers on cue and in a control manner and is riving a power chair. William can wiggle his es and hold his legs up as well as push gainst pressure. He has regained the ability wallow and and slight movements in his ongue and mouth. He can wiggle his head and is tolerating the Passy-Muir (the first step 1 talking). He also has begin to regain his mile on both sides. AND we had to turn his entillator down quite a bit and put him in a pontaneous timed mode where he controls wn breathes. The most important thing is ach new thing we see on the outside, no matter how small, is a reminder that he is etting stronger each day. **#soproud soblessed #miracleboy #nevergiveup**

Foi há um ano que o **William Moore** teve a sua primeira injeção de **#spinraza**. Disseram-nos para não esperar nada durante um ano. As coisas que temos notado este ano... O William agora toca os dedos em sinal e de forma controlada e conduz uma cadeira de poder. O William pode mexer os dedos dos pés e segurar as pernas e empurrar contra a pressão. Ele recuperou a capacidade de engolir e de movimentos leves na língua e na boca. Ele pode mexer a cabeça e tolera o passy-Muir (o primeiro passo em falar). Ele também começou a recuperar seu sorriso em ambos os lados. E tivemos de desligar o ventilador e colocá-lo num modo espontâneo, onde ele controla a sua própria respiração. O mais importante é cada coisa nova que vemos no exterior, não importa quão pequeno, é um lembrete de que ele está ficando mais forte a cada dia. **#Muitoorgulhoso #tãoabençoada #miracleboy #nuncadesista**

Os irmãos Green com 19 e 24 anos e com traqueostomia são uma realidade e recebem o tratamento!



Heather Trojacek Green está com ...
Scott Green e outras 2 pessoas.

22 de mar às 11:23 • 

Both of the boys got their first loading dose of Spinraza yesterday!!! 😊😊



António 22 anos e com traqueostomia recebe Spinraza na Espanha!



Merchi Alvarez Fernandez ► **SPINRAZA**
Information for Spinal Muscular Atrophy (SMA)

...

6 h ·

Hoje Antonio recebeu sua primeira dose de spinraza em seus 22 anos tipo 1 na Galiza Espanha o melhor presente dos reis que poderia vir para ele

⚙ · [Classifique essa tradução](#)



Julie Jones 44 anos de idade, AME tipo 2, com traqueostomia e escoliose, recebe Spinraza e não é uma miragem!



Julie Marie Jones ► **SPINRAZA**
Information for Spinal Muscular
Atrophy (SMA)

Ter às 22:43 • 📷

NO DIA 3 de maio, tive uma cirurgia para instalar um porto na minha coluna cervical (basicamente a área do pescoço) para que eu possa seguir em frente com injeções spinraza apesar da minha fusão espinhal. Hoje recebi a minha primeira injeção!!!! 🎉

🍷🎆💖😍 sou retratado aqui com o neurocirurgião que fez a cirurgia e está a fazer as injeções.

Tenho 44 anos, ventilador dependente e um tipo fraco 2. Tenho 3 cópias de smn2. meu seguro é medicare e caloptima (também por medicaid no sul da Califórnia). O hospital está a tratar-me. O hospital de Joseph em Orange, Califórnia.



• Classifique essa tradução



Escoliose é impedimento para receber Spinraza? É notório a escoliose acentuada de Christiane, AME tipo 2, a mesma faz o tratamento com o medicamento.



Christine Anderson

3 de abr às 02:33 • 



Loading doses are complete!



Scott Canfield 49 anos de idade!



Scott Canfield



31 de mai de 2017 às 15:28 • 2

4th Spinraza injection done!!! We'll see what happens between now and September!!! So far so good 😊😊😊😊



Portador de Atrofia Muscular Espinhal(AME)do tipo 3 contradizendo o que o Ministério da Saúde afirma não ter estudos para este tipo da doença.

Cameron 4 anos de idade e AME tipo 1, é a prova viva da eficácia do tratamento a longo prazo



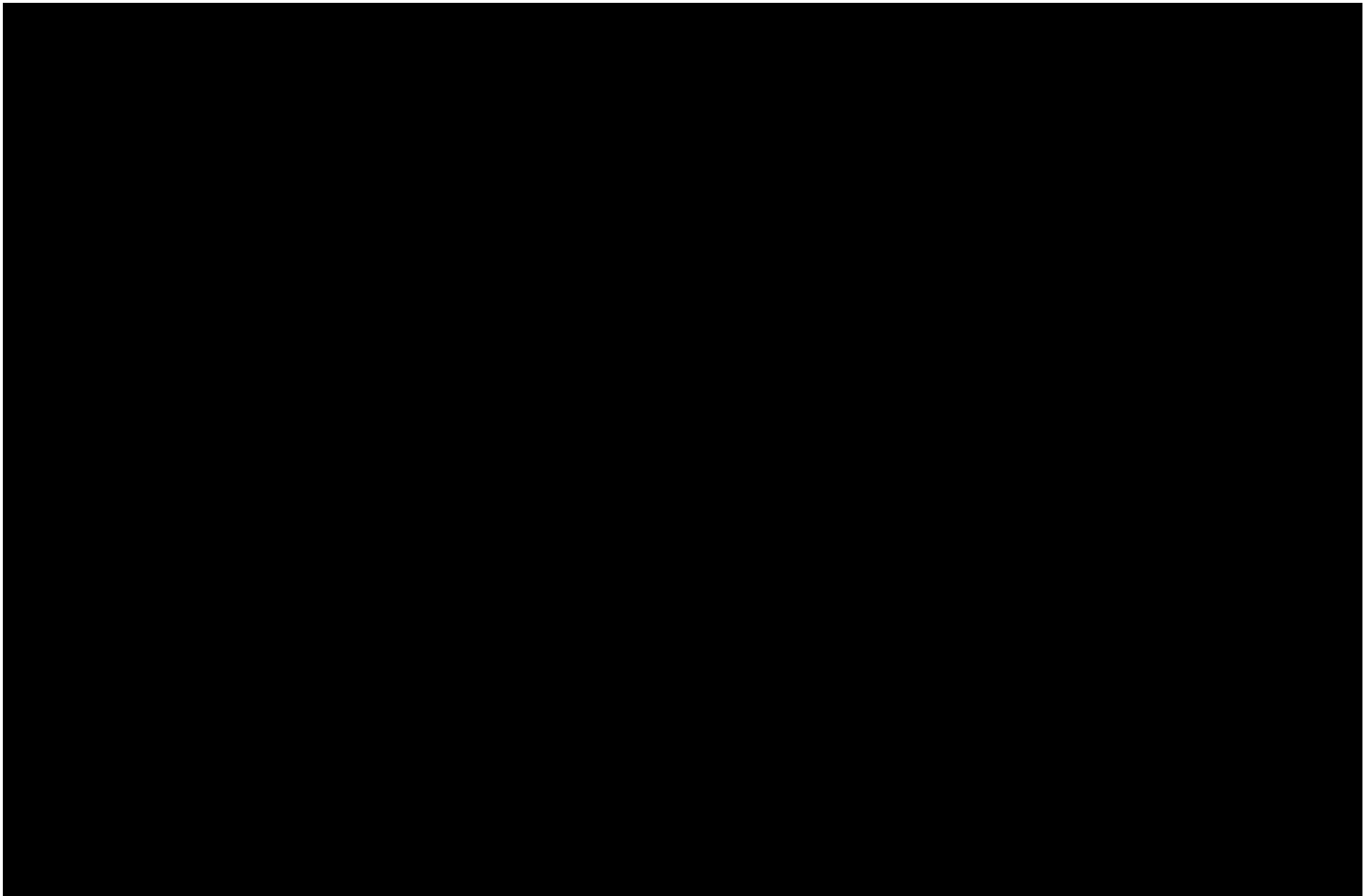
Ren 7 anos de idade, AME tipo
2 iniciou o tratamento com 2
anos e 6 meses



Gianluca 6 anos de idade, 5 meses de tratamento



Doutora Ana Lucia Langer
Pediatra especialista em
doenças neuromusculares há 25
anos





Conitec e Ministério da Saúde,
está em suas mãos resolver a
situação das ações judiciais
incorporando o medicamento para
todos como diz a BULA aprovada
pela ANVISA e como acompanhamos
fora do Brasil, na qual reduzirá os
valores do mesmo e salvando vidas,
fazendo História com os portadores
da doença.

[www.facebook.com/spinrazainformationforspinalmuscularatrophy\(SMA\)](http://www.facebook.com/spinrazainformationforspinalmuscularatrophy(SMA))

<http://portal.anvisa.gov.br>

<https://www.cshl.edu/> www.curesma.org

www.facebook.com/spinrazaaevoluçãodepacientesbrasileiros

ART. 196 DA CF DE 1988



● A SAÚDE DIREITO DE TODOS E DEVER DO ESTADO



**Assim como é na Itália
e deveria ser no Brasil,
onde o Governo
fornece o tratamento
para os portadores de
todos os tipos de AME
de todas as idades,
como acontece com
Mariano Mussi, AME
tipo 3, com 35 anos de
idade.**



Unidos Pela Cura da AME



associacaounidospelacuradaame

“A MAIOR REDE SOCIAL DE AME DO MUNDO”