



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!



Cold Spring Harbor Laboratory



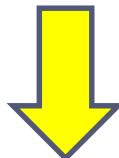
Doença assassina,
droga
milagrosa

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.

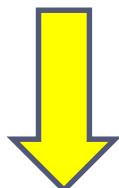
Direito a saúde e a vida!

- 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.

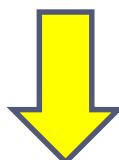
Spinraza, único tratamento medicamentoso para AME disponível no Mundo atualmente!



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 QUE ESTE MEDICAMENTO É INDICADO?

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

 [RSS](http://portal.anvisa.gov.br/noticias/-/asset_publisher/FXrpx9qY7FbU/rss?p_p_cacheability=cacheLevelFull) (http://portal.anvisa.gov.br/noticias/-/asset_publisher/FXrpx9qY7FbU/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



Chega ao mercado brasileiro uma esperança para pessoas acometidas pela Atrofia Muscular Espinal Sq (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 Pathone 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 dossier 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 Spipraza® (nusinersen).

A Biogen se sensibiliza com as necessidades da comunidade global de pacientes, familiares e especialistas da AME, compreendendo seu interesse pelo Spinraza® (nusinersen) 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-elettronico1>. Esta indicação foi aprovada pela ANVISA e conforme descrito em bula, Spinraza® (nusinersena) é indicado para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5G (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 cromossom 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 sobrevida do neurônio motor (SMN). O Spinraza® (nusinersen) age estimulando um aumento na produção da proteína SMN, independente do tipo de AME ou da idade de início da doença.

A aprovação regulatória da ANVISA baseou-se principalmente em resultados de dois estudos pivotais multicentriscos, controlados: ENDEAR (pacientes com inicio dos sintomas de AME 5q até seis meses de idade compatível com tipo 1) e uma análise interina do estudo CHERISH (pacientes com inicio 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® (nusinersen). 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 pré-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.



Reforçamos que Spiraiza® (nusinersen) 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 Spiraiza® (nusinersen) são hipersensibilidade à substância ativa ou a qualquer excipiente da composição, além de gestação. Fatores como uso de ventilação, traqueostomia, escliose 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 do Biogen pelo canal de informações médicas (medicinfo@biogen.com).

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

Movimento cooperativo contatto

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

Comunicação exclusivamente reativa para uso em caso de questionamento sobre o medicamento Spinraza® (nusinersena).

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 got his first injection of #spinraza. They told us to expect anything for a year. Things we have noticed this year... William now taps his fingers on cue and in a control manner and is riding a power chair. William can wiggle his toes and hold his legs up as well as push against pressure. He has regained the ability to swallow and make slight movements in his tongue and mouth. He can wiggle his head and is tolerating the Passy-Muir (the first step in talking). He also has begun to regain his smile on both sides. AND we had to turn his ventilator down quite a bit and put him in a spontaneous timed mode where he controls when he breathes. The most important thing is each new thing we see on the outside, no matter how small, is a reminder that he is getting stronger each day. #soproud #soblessed #miracleboy #nevergiveup

Foi há um ano que o **William Moore** teve a sua primeira injecção 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 tolerar 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 injecções spinraza apesar da minha fusão espinhal. Hoje recebi a minha primeira injecção!!!!!! sou retratado aqui com o neurocirurgião que fez a cirurgia e está a fazer as injecções.

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.



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!



Portador de Atrofia Muscular Espinal(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



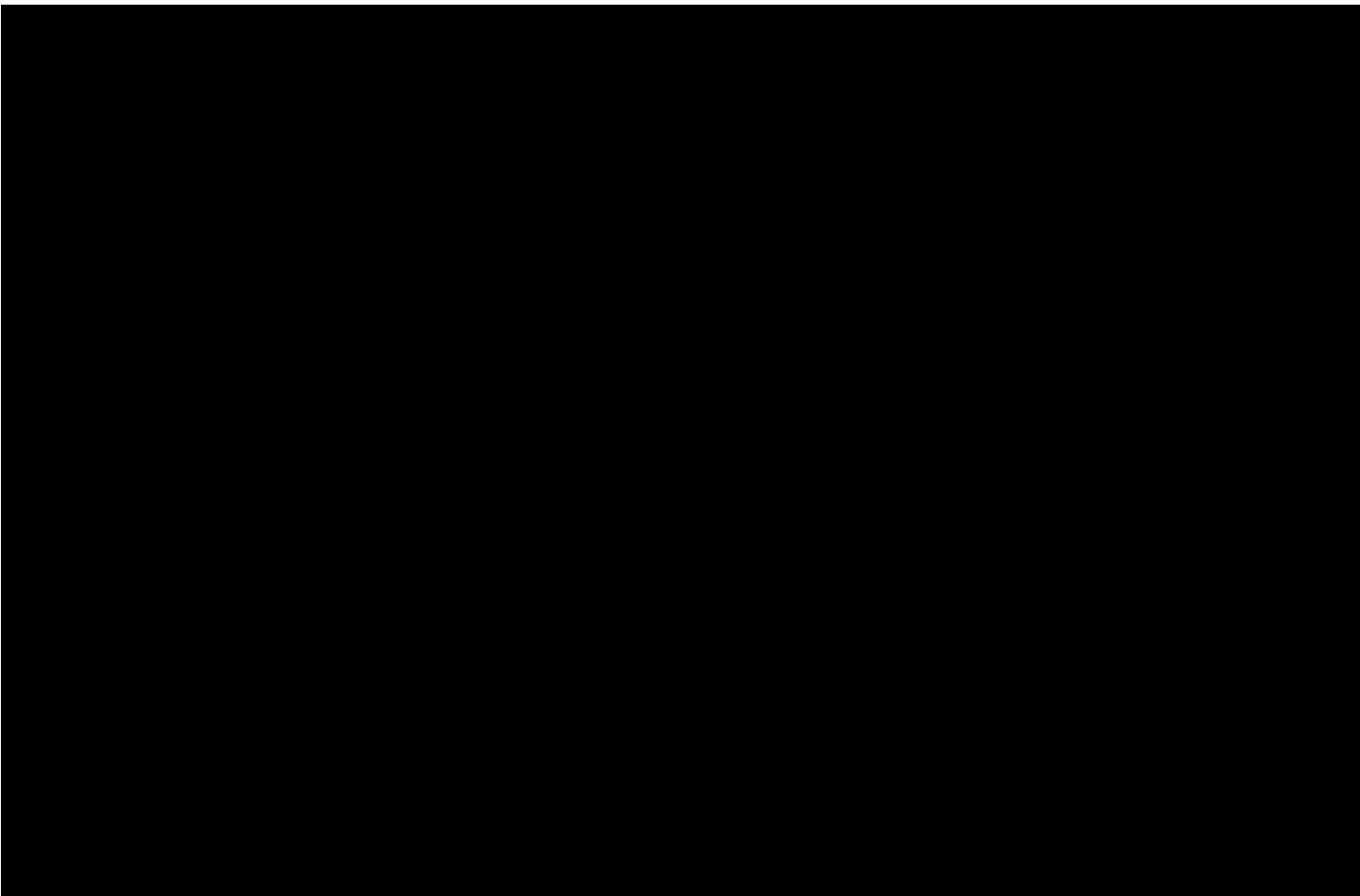
Gianlucca 6 anos de idade, 5 meses de tratamento



Gianlucca 6 anos de idade AME

Made with
VideoShow

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))

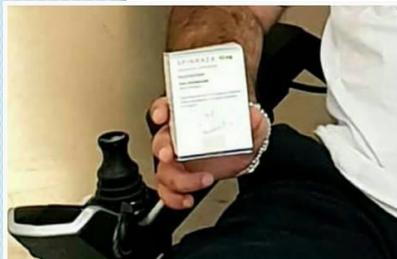
<http://portal.anvisa.gov.br>

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

www.facebook.com/spinrazaevoluçãodepacientesbrasileiros

ART. 196 DA CF DE 1988

• A SAÚDE
DIREITO DE
TODOS E DEVER
DO ESTADO



Mariano Iusi
Qui às 19:06 •

I had my first infusion.

I live in Italy, I'm 35 and I have a SMA 3.

After following and reading, it seemed right to share my beginning.

Come on



**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.**



f Unidos Pela Cura da AME
@associacaounidospelacuradaame

"A MAIOR REDE SOCIAL DE AME DO MUNDO"