



GOVERNO DO ESTADO DA BAHIA

Secretaria da Saúde do Estado da Bahia - SESAB

Superintendência de Assistência Farmacêutica, Ciência e Tecnologia em Saúde - SAFTEC

Diretoria de Assistência Farmacêutica – DASF

Coordenação de Assistência Farmacêutica na Atenção Especializada - COAFE

FICHA DE MONITORAMENTO PARA MPS VII

De acordo com a Portaria Conjunta SAES/SCTIE/MS nº 8-21/05/2021, durante o acompanhamento do paciente com TRE, os parâmetros de resposta terapêutica deverão ser avaliados periodicamente e discutidos com os pais, paciente ou responsáveis.

1. Informar valor do GAG urinários anterior (ou o primeiro antes de iniciar o tratamento) e o atual (o último exame)

GAG anterior: _____

GAG atual: _____

2. Paciente apresentou melhora clínica relevante após 6 meses de tratamento em qual dos parâmetros:
() Melhora em pelo menos 1 de 4 domínios da escala IMRC modificada (retirados os domínios do instrumento BOT-2. Se sim em qual domínio?

- () Redução da hepatomegalia ou da esplenomegalia (por quaisquer dos métodos utilizados para aferição dessa condição: exame físico, ecografia abdominal ou ressonância abdominal). Qual o método foi utilizado?

- () Melhora do escore do PedsQL-Fadiga. Detalhar

3. Pacientes que desenvolveu condição irreversível que implique em morte iminente, cujo prognóstico não se alterará devido ao uso da TRE, como resultado da MPS VII ou de outra doença associada, em acordo entre mais de um especialista:

() SIM () Não

4. Paciente aderiu pelo menos a 50% das infusões previstas em um ano e compareceu as consultas /avaliações previstas com o médico responsável.*

() SIM () Não

*No caso de interrupção por falha de adesão, o paciente e parentes deverão ser inseridos em programa educativo de incentivo à adesão, e o paciente poderá retornar ao tratamento, caso haja comprometimento explícito de seguimento das recomendações médicas.



GOVERNO DO ESTADO DA BAHIA

Secretaria da Saúde do Estado da Bahia - SESAB

Superintendência de Assistência Farmacêutica, Ciência e Tecnologia em Saúde - SAFTEC

Diretoria de Assistência Farmacêutica – DASF

Coordenação de Assistência Farmacêutica na Atenção Especializada - COAFE

ÍNDICE MULTIDOMÍNIOS DE RESPONDEDOR CLÍNICO (IMRC) PARA SEGUIMENTO CLÍNICO DOS PACIENTES COM MPS VII SOB TRE²

Tabela 1 - Parâmetros que compõem o IMRC e diferenças clínicas relevantes

Domínio	Diferença clínica minimamente relevante
Teste de Caminhada de 6 minutos	23 metros E um aumento de 10% em relação à linha de base
Capacidade vital forçada (%)	Aumento de 10% em relação à linha de base
Amplitude de flexão do ombro	Aumento de 20° na amplitude de flexão
Acuidade visual	Melhora de 3 linhas (com correção, ambos os olhos)
PedsQL-Fadiga	+1 para aumento ≥10 pontos em fadiga/ -1 para diminuição ≥10 pontos Modificações fora desses parâmetros recebem escore 0.

Essas diferenças clínicas minimamente relevantes foram estabelecidas de acordo com dados de literatura e informações clínicas provenientes dos resultados de tratamentos com TRE em outras MPS², adaptadas para a realidade brasileira.

O **Teste de Caminhada de 6 Minutos** tem como objetivo avaliar as respostas globais e integradas de todos os sistemas corporais envolvidos durante o exercício. Ele consiste na mensuração da distância máxima percorrida por um período de seis minutos. Para sua aplicação, é necessária uma superfície plana, com um percurso de 30 metros, devendo haver uma marcação a cada três metros e ao início e final do trajeto, além de paredes próximas para apoio. Caso sejam utilizadas curvas no percurso, estas devem ser sinalizadas. Deve ser orientado ao indivíduo que ele permaneça dez minutos sentado, próximo ao local do teste, descansando. Ao se levantar, devem ser avaliados sinais de fadiga ou falta de ar. Imediatamente antes de iniciar o percurso, deve-se dar a orientação de que o uso de aparelho de auxílio à deambulação já utilizado pelo indivíduo pode ser feito durante o teste. Reduções na velocidade ou pausas podem ser feitas, com retorno à caminhada assim que possível; curvas devem ser feitas rapidamente e sem hesitação. O avaliador poderá explicar o teste mostrando ao paciente como deve ser feito, mas treinos não podem ser aplicados. Deverão ser contabilizados o número de voltas e a distância percorridas no período de seis minutos com auxílio de um cronômetro^{2,4}. A interpretação dos resultados deverá ser feita considerando-se os parâmetros citados na Tabela 1 deste Apêndice 2.

A **avaliação da Capacidade Vital Forçada (CVF)** representa o volume máximo de ar exalado com esforço máximo, a partir do ponto de máxima inspiração. Sua avaliação pode ser feita por meio do teste de espirometria, que avalia o volume de ar que um indivíduo inala e exala como uma função de tempo. Este teste pressupõe compreensão e colaboração do indivíduo avaliado. A CVF é medida solicitando que a pessoa, após a inspiração máxima (até a capacidade pulmonar total), expire do modo mais rápido e intenso possível em um espirômetro de fluxo ou de volume. Os resultados do teste são então computados e disponibilizados por programas de computador^{5,6}. A interpretação dos resultados deverá ser feita considerando-se os parâmetros citados na Tabela 1 deste Apêndice 2.

A **amplitude de flexão do ombro** deve ser avaliada com auxílio de um goniômetro em um teste de amplitude de movimento ativo. Deve-se solicitar que o indivíduo flexione cada ombro por três vezes. A melhor medida de cada lado deve ser utilizada para compor o valor médio^{2,7,8}. A interpretação dos resultados deverá ser feita considerando-se os parâmetros citados na Tabela 1 deste Apêndice 2.

A **acuidade visual** pode ser avaliada por meio de tabelas específicas, que contêm fileiras de letras, em diferentes tamanhos, resoluções e contrastes⁹. A uma distância de seis metros, o indivíduo tem cada olho avaliado independentemente com auxílio de refratores oftalmológicos. Deve-se solicitar que cada linha seja lida, da esquerda para a direita e de cima para baixo. A menor linha lida representa a acuidade visual. Para esta avaliação, pode ser mantido o uso de óculos ou lentes de correção¹⁰. A interpretação dos resultados deverá ser feita considerando-se os parâmetros citados na Tabela 1 deste Apêndice 2.

**GOVERNO DO ESTADO DA BAHIA**

Secretaria da Saúde do Estado da Bahia - SESAB

Superintendência de Assistência Farmacêutica, Ciência e Tecnologia em Saúde - SAFTEC

Diretoria de Assistência Farmacêutica – DASF

Coordenação de Assistência Farmacêutica na Atenção Especializada - COAFE

AVALIAÇÕES MÍNIMAS PARA O SEGUIMENTO CLÍNICO DOS PACIENTES COM MPS VII INDEPENDENTEMENTE DO USO DE TRE

Avaliações ^{1,2,3}	Avaliação inicial	A cada 6 meses	A cada 12 meses
Atividade enzimática	X		
GAG urinários [#]	X		X**
História médica	X	X	
Aconselhamento Genético	X		
Revisão do número de infusões realizadas no período**		X	
Determinação da adesão ao acompanhamento/tratamento**	X	X	
Peso/altura	X	X	
Pressão arterial	X	X	
Hepatimetria e medida de tamanho do baço (exame físico)	X	X	
PedsQL-Fadiga (a partir de 8 anos)	X		X**
AVALIAÇÃO NEUROLÓGICA			
- Exame neurológico clínico	X		
AVALIAÇÃO OFTALMOLÓGICA (acuidade visual, retina, córnea)	X	X**	
- TC6M** (a partir de 3 anos)	X	X	
- CVF/VEF1 (espirometria; a partir de 6 anos)	X	X**	X
AVALIAÇÃO DA MOBILIDADE ARTICULAR (incluir flexão do ombro)	X	X**	

[#]Avaliação recomendada: ao diagnóstico, após 3 meses de tratamento e, após, anualmente. ^{**}Para pacientes que estão em terapia de reposição enzimática, quando capazes de realizar a avaliação. As demais avaliações, incluindo as avaliações indicadas somente no período basal (iniciais), devem ser realizadas em períodos determinados pelo médico assistente. Espirometria deve ser realizada anualmente em pacientes que não estiverem em TRE. GAG = glicosaminoglicanos; PedsQL-Fadiga = Inventário de Qualidade de Vida Pediátrico - Módulo Multidimensional de Fadiga; TC6M = teste de caminhada de 6 minutos; CVF = capacidade vital forçada; VEF1 = volume expiratório forçado no primeiro segundo.

Fontes: Elaborado a partir de Giugliani R et al. (2007)¹ e adaptado à MPS VII a partir dos estudos Harmatz et al., 2018² e Montañó et al., 2016³.