

Contribuições da Consulta Pública - Formulário ATS - Onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q em pacientes 2 anos - Conitec

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Creio que deve ser incorporado, porém que o acesso seja amplificado para crianças de 2 anos e/ou 21 kilos, conforme a bula do medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zongesma, Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhora muito a qualidade de vida do paciente	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zoogesma , Positivo e facilidades: Melhora acentuada nos ganhos motores , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É obrigação do Estado prover saúde e qualidade de vida, e é isso que a Zolgensma proporciona aos pacientes de AME tipo 1.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Aumento de força, possibilidade de andar, não uso de aparelhos invasivos para respiração, qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Não percebi nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: Começou a ganhar força, Negativo: Ganho de força bem inferior se comparado após o uso do Zolgensma	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é incrível, e permitiu que ela ganhasse marcos motores	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Desenvolvimento motor que antes não havia, Negativo e dificuldades: Demora, e a necessidade de ter que entrar com processo judicial, mesmo tendo todos os documentos necessários.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O filho de uma colega de trabalho foi medicado com esta medicação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Este é um medicamento de alto valor para o paciente, ficando inviável a despesa do mesmo para o familiar.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgesma, Positivo e facilidades: Retardar perda da força muscular , qualidade de vida, esperança aos pais e familiares, Negativo e dificuldades: Não detectei ainda	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Meu filho recebeu o zolgensma com 1 ano e 7 meses e foi a melhor coisa que poderia ter acontecido	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Evolução muito rápida, com 1 mês rolava e chegou a sentar, Negativo e dificuldades: Dificuldade do acesso ao medicamento	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplam , Positivo: Melhora dos sintomas , Negativo: Poucos ganhos em muitos meses, dificuldade com a medicação	4ª - Meu filho é outra criança pós zolgensma, ativo, disposto e forte	5ª - A longo prazo o zolgensma se torna barato, por ser dose única. O ganho em terapias, e sem internações hospitalares desde o zolgensma
Profissional de saúde 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O direito a uma vida digna está garantido nos direitos humanos, sendo que a base legal brasileira é a Constituição Federal, que em seu artigo 5º consagra o direito à vida e ao princípio da dignidade da pessoa humana. E tratando-se de criança tem o amparo legal que reforça esse compromisso com a vida da criança e do adolescente. Dessa forma, acredito que todas as crianças com AME precisam ter acesso a essa medicação e ter o direito garantido de ser criança e ter saúde., Acredito também que o custo do medicamento torna-se pequeno quando avaliamos a necessidade do tratamento tardio, terapias, estimulação, demais medicamentos tratamentos necessários.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "Acompanho o desenvolvimento de uma criança que fez uso dessa medicação. Hoje ela tem 05 anos e já dá os ""primeiros passos"" de balé na escola. Em contrapartida, Acompanho um rapaz de 23 anos que não teve a oportunidade de fazer uso dessa medicação e ele vive em estado vegetativo, apesar dos esforços da sua mãe. "	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Infelizmente, o diagnóstico precoce não ocorre no Brasil. O teste do Pezinho com AME não está implementado em todas cidades. Aplicar o medicamento aos maiores de 6 meses até os 24 meses, é a garantia de uma melhor qualidade de vida aos pacientes. Além disso, o medicamentofoi testado até os 27 kilos ou 24 meses, mostrando sua segurança	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento garante o direito a vida e a vida de qualidade, seus efeitos são capazes de mudar a vida de crianças. Sem contar que outros medicamentos dessa doença são muito mais onerosos a longo prazo quando considerado o prazo de vida da maioria dessas crianças. Recomendo também incluir no sus o teste para identificar a doença junto ao teste do pezinho.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgesma, Positivo e facilidades: Está vivo e começando á andar. A evolução é surpreendente e gratificante, cada dia ele está mais independente, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Spinrza e Zolgensma, Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, é urgente e de extrema importância a distribuição no tempo certo e sem custo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que zolgensma deve ser aplicado em qualquer idade.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Melhora na função motora, Negativo e dificuldades: Demora para receber a medicação mesmo se encaixando em todos os critérios	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Risdiplam , Positivo: Um pouco de evolução motora, Negativo: Evolução lenta	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Se a bula do remédio estende o tratamento para crianças menores de dois anos, porque não incorporar ao sus, atenderia mais crianças uma vez que dá mais tempo para o diagnóstico, levando em conta que poucos estados tem AME no teste do pezinho	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Nusinersena, Positivo: Estabilização da doença , Negativo: Reações adversas descritas em bula	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como o próprio site explica é uma doença rara, degenerativa, passada de pais para filhos e que interfere na capacidade do corpo de produzir uma proteína essencial para a sobrevivência dos neurônios motores, responsáveis pelos gestos voluntários vitais simples do corpo, como respirar, engolir e se mover. Ver seu filho tento todos esses sintomas, sabendo que existe a possibilidade de receber o medicamento e você não consegue comprar, pois o mesmo é muito caro, é desesperador. O Brasil, Recolhe tantos impostos que pode aumentar a verba da saúde para adquirir esse medicamento o qual é fundamental para os pacientes com, AME recebam logo para que tenham uma qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acho um extremo absurdo esses medicamentos ainda não terem sido implantado no SUS, já é comprovado cientificamente as melhores que eles fornecem para os pacientes, desde já esse e os outros medicamentos devem ser incorporados no sus para todos os tipos de AME	2ª - Sim, como paciente, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Esse medicamento é capaz de salvar vidas dos pacientes com AME, apresenta a melhora logo após tomar e da a oportunidade do paciente continuar respirando, já que a AME vai acabar com a vida do paciente aos poucos, principalmente através da respiração., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como paciente, Qual: Risdiplam /spinraza , Positivo: Esse medicamento mudou minha vida no pouco tempo que tive acesso, tendo mais facilidade pra andar, tendo mais disposição, mais força, mais equilíbrio, mais resistência nos músculos, etc.. não tenho palavras pra descrever a importância desse medicamento para os pacientes., Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: A paciente apresentou aquisição de habilidades motoras, conseguiu melhorar as complicações respiratórias e desenvolver a fala., Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgesma, Positivo e facilidades: Ganhos motores, Negativo e dificuldades: Não teve	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O onasemnogeno abeparveque é uma terapia revolucionária para os pacientes com AME, e de fato somos prova viva que ele faz o efeito esperado. , A vida do meu filho é outra após a infusão com o onasemnogeno abeparveque, é uma criança viva que quer explorar o mundo e quer testar todos seus limites motores.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Meu filho fez uso do onasemnogeno abeparveque. , Positivo e facilidades: Meu filho tomou onasemnogeno abeparveque com 1 ano e 5 meses, e após a infusão ele mudou completamente, só pontos positivos. Está cada dia mais vivo e forte. Possui mais movimentos motores, e com as sessões de fisioterapia tem tido um ganho muscular. , Negativo e dificuldades: O único ponto negativa que tenho a este medicamento é o acesso à ele. Meu filho teve o diagnóstico com 8 meses, e só recebeu cm 1 ano e 5 meses por via judicial.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Assim quando meu filho teve o diagnóstico com 8 meses, iniciou o uso de Nusinersena. , Positivo: Graças ao Nusinersena os sinais da AME foram paralisados, e pudemos ver pouca evolução motora dele. A evolução motora que teve foi mais lenta, mesmo com os estímulos da fisioterapia diária. Após o uso onasemnogeno abeparveque, observamos a evolução motora muito rapidamente, nas primeiras semanas ele já estava mais ágil e com o tronco mais firme. , Negativo: Infelizmente a dose intratecal é uma situação bem incomoda, e o fato de ter que tomar a cada 4 meses, acaba tornando a vida do paciente como uma contagem regressiva.	4ª - Idem as respostas anteriores acerca da minha experiência como familiar de um paciente com AME, que recebeu a infusão do onasemnogeno abeparveque.	5ª - Não.
Interessado no tema 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A SES GO se manifesta favorável à ampliação de uso do onasemnogeno abeparveque para o tratamento de Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q em pacientes menores de dois anos de idade, uma vez que dentro do sistema público a janela de 6 meses para fechamento diagnóstico é muito pequena.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparveque, Positivo e facilidades: Melhora na sobrevida global sem necessidade de ventilação invasiva, , Aquisição de marcos motores relevantes, incluindo sentar-se e, em alguns casos, deambulação, , Benefício clínico mais pronunciado quando administrado precocemente, antes da perda irreversível de neurônios motores, Negativo e dificuldades: A dificuldade de acesso ao medicamento e instituições devidamente capacitadas para aplicação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e Risdiplam, Positivo: Retardamento dos efeitos degenerativos da AME., Negativo: Não se aplica	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - não	5ª - não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os ganhos são grandes, pois cria independência para as crianças no futuro, garantindo também que os pais possam voltar ao trabalho, pois seus filhos não dependem mais 100% deles.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acompanhando casos próximos, presenciei crianças sendo curadas e, realmente, tendo melhora no quadro, impedindo e, até mesmo, causando regressão do avanço da doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Liberação do medicamento conforme idade indicada pelo fabricante	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplan e aguardando a infusão do onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Melhoras superiores aos outros medicamentos e facilidade de ser única dose, Negativo e dificuldades: Dificil acesso a população	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplan, Positivo: Paciente assintomático em uso da medicação. Diagnóstico no teste do pezinho , Negativo: Atraso na entrega do medicamento e uso diário da medicação	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 04/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Transformar a vida das crianças que nascem com AME no Brasil, é uma dívida antiga do MS com toda comunidade AME	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Nusinersena , Positivo e facilidades: Meu filho nasceu com AME I, e desde o início do seu tratamento com nusinersena, sua estabilidade clínica é surpreendente. , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pelos relatos dos familiares e cuidadores dos pacientes que receberam o tratamernto, é extremamente gratificante ver a esperança que eles tem com a criança podendo crescer com maior qualidade de vida e podendo fazer coisas “normais”. A felicidade de ver uma criança podendo falar, se mexer, brincar, comer sem ajuda de aparelho e até mesmo bater palma ao cantar parabéns... tudo isso não tem como não acreditar que o medicamento trará benefícios aos pacientes. , Além disso, com o avnaço dessas crianças de forma saudável, podem se tornar adultos contribuintes para o sistema. Com os atuais tratametos, além da crianças estar desabilitada, uma mão ou pai terão que abandonar o trabalho para cuidar da criança com baixa expectativa de vida. Com o medicamento podem ter uma vida normal e	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para aumento dos tratamentos ofericidos pelo governo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - não	5ª - não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 07/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Spinraza, Positivo e facilidades: O paciente teve melhora nos parâmetros ventilatórios já depois da segunda dose. , Negativo e dificuldades: Não teve	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito ser muito importante a disponibilização pelo SUS, pois é muito caro para ser comprado individualmente, os impostos que são pagos são para essa finalidade, ajudar os necessitados, para caso nós precisarmos de ajuda, podermos contar com auxílio dos órgãos públicos, além disso, para que todos tenham a possibilidade de acesso	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, não administrei dose, mas estive presente durante consultas médicas e o tratamento de paciente que era meu familiar , Positivo e facilidades: Evolução notória na força do paciente, poder se levantar, coordenação motora, disposição, melhoramento visível na questão da caminhada, com a criança conseguindo finalmente dar seus primeiros passos. , Negativo e dificuldades: não percebi resultado negativo no paciente	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é muito importante para as nossas crianças, ele é necessário para que a criança tenha a chance de poder viver uma vida mais leve, ele pode não curar totalmente mais ele muda a vida msm assim.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Esse medicamento salva e muda a vida dos pacientes, começando pela respiração, Ajudando o paciente a poder ter uma vida mais fácil, as pessoas com AME já passam por dificuldade DMS, o mínimo que podem fazer é ajudar a facilitar pelo menos um pouco o acesso ao remédio , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplam e spiranza , Positivo: Facilidade pra andar, mais equilíbrio, mais força, menos dores, mais disposição, dormir melhor, se alimentar melhor,etc..., Negativo: O único ponto negativo é a dificuldade para ter acesso ao medicamento	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ainda que seja de alto dispêndio público o custeio destes medicamentos, cabe, principalmente ao Estado, a cobertura medicamentosa para o tratamento destas patologias em comento, posto que, em sua maioria, ocorrem no âmago de famílias carentes aqui no Brasil (mesmo que não fossem, o alto valor do tratamento constitui-se impeditivo à saúde das crianças diagnosticadas)., Digo isto, pois tenho uma amiga, que mais considero como irmã, que aos seis anos de idade descobriu que tinha AME tipo III e, por sua família alcançar apoio do Governo Federal no custeio do tratamento, ela hoje se desenvolveu de forma quase plena, sendo ela estudante de Direito, atleta da Seleção Brasileira Paralímpica, modelo, ativista PcD, dentre outras atividades, (ela é @LaíssaGuerreira)., Dessa forma, diante de uma prova viva como a tal, oferecer uma chance de vida a crianças diagnosticadas com esse tipo de AME é uma urgência a ser atendida, por isso acho devido e necessário a avaliação desse medicamento para que sejam adotadas as medidas de praxe.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: Desenvolvimento corpóreo, desenvolvimento da atividade sensorial e das funções cognitivas., Negativo e dificuldades: Leve queda na pressão arterial sazonalmente	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 08/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O produto em avaliação é uma ferramenta muito importante para tratar os pacientes que tem uma doença severa como a AME e a indicação para até 2 anos de idade está em conformidade com a bula aprovada do medicamento pela ANVISA. , Os estudos do medicamento demonstraram eficácia e segurança, além de proporcionar o benefício de uma terapia gênica com apenas uma infusão e trazendo esperança e qualidade de vida para essas crianças., O benefício para o paciente, cuidadores e para o sistema de saúde é muito grande., Esse medicamento está disponível em diversos países, e as crianças do Brasil também merecem receber esse tratamento quando são diagnosticadas até os seus 2 anos de idade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 09/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, AME é uma doença progressiva grave. Zolgensma é uma excelente opção terapêutica de dose única	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Medicamento eficaz para tratamento de AME, com bons resultados nos estudos piloto e nos estudos de vida real. Efeitos colaterais controláveis. Dose única, Negativo e dificuldades: Nenhuma.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena, Risdipnam, Positivo: Medicamentos eficazes para tratamento de AME, com bons resultados nos estudos piloto e nos estudos de vida real. Efeitos colaterais controláveis. Uso contínuo, Negativo: Nenhum	4ª - Estudos piloto e estudos de vida real	5ª - Não.

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 09/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Necessário ao tratamento da doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 09/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa medicação é muito importante para essas crianças, convivo diariamente com uma pessoa que tem AME e sei o quão é importante para essas pessoas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 10/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu SOU A FAVOR DA AMPLIAÇÃO, pois conheço um bebê que recebeu com 1 ano e 7 meses e teve sua vida m�, para muito melhor por conta do medicamento!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 13/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 13/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "¿Os artigos mostram que a eficácia do tratamento para Atrofia Muscular Espinhal (AME) é muito melhor e mais rápida quando a terapia gênica (Onasemnogene Abeparvovec) é aplicada em crianças de até 2 anos. Os estudos provam que, se a criança for tratada antes dos dois anos, ela tem um ganho motor significativo (como o aumento na escala CHOP-INTEND) em apenas 3 meses, o que é crucial para o desenvolvimento. O estudo brasileiro, inclusive, confirma esses ganhos na função motora e respiratória, além de mostrar que adiar o tratamento, ou seja, tratar depois dos 2 anos, exige muito mais tempo de uso de corticoides, que são remédios fortes para controlar os efeitos colaterais., ¿A questão da segurança também fica mais tranquila se o tratamento for feito cedo. O principal problema da terapia gênica é a toxicidade no fígado (elevação das transaminases), e os dados científicos mostram claramente que quanto maior o peso da criança (acima de 8,5 text{ kg} ou 13,5 text{ kg}), maior é o risco desse problema e mais difícil fica para os médicos controlarem, sendo necessário usar os corticoides por períodos bem mais longos. Por isso, a recomendação é clara: a incorporação no SUS deve ser priorizada para crianças de até 2 anos, pois essa é a ""janela"" onde a gente garante o máximo de benefício com o menor risco de complicações."	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogene abeparvovec, Positivo e facilidades: Acompanho uma paciente em específico que recebeu a medicação com idade próxima aos 2 anos de idade (ela tem AME tipo 2). Atualmente ela está com 4 anos, segue sem perdas motoras, sem uso de suporte respiratório e vem apresentando discretos ganhos com fisioterapia. Sem a medicação, ela provavelmente já estaria com degradação motora e em uso de suporte ventilatório. , Negativo e dificuldades: Não verifiquei efeitos colaterais nessa paciente em si.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e risdiplan, Positivo: Também ajudaram na estabilização da doença., Negativo: São de uso contínuo, enquanto que o medicamento em questão é de aplicação única.	4ª - "A recomendação é clara: a incorporação no SUS deve ser priorizada para crianças de até 2 anos, pois essa é a ""janela"" onde a gente garante o máximo de benefício com o menor risco de complicações., Existem diversos artigos científicos que mostram essas afirmações, como por exemplo: , D', Silva AM, Holland S, Kariyawasam D, Herbert K, Barclay P, Cairns A, MacLennan SC, Ryan MM, Sampaio H, Smith N, Woodcock IR, Yiu EM, Alexander IE, Farrar MA. Onasemnogene abeparvovec in spinal muscular atrophy: an Australian experience of safety and efficacy. Ann Clin Transl Neurol. 2022 Mar, 9(3):339-350. doi: 10.1002/acn3.51519. Epub 2022 Feb 16. PMID: 35170254, PMCID: PMC8935277"	5ª - Pelo fato de o medicamento promover estabilização da doença, estima-se que os gastos a longo prazo com internações por complicações da doença sejam minimizados.
Interessado no tema 13/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O direito ao medicamento é essencial para criança até 2 anos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 14/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O perfil de segurança para essa população de até 2 anos, com indicação em bula, permanece consistente com os estudos de desenvolvimento clínico, com relato de eventos adversos já conhecidos e manejáveis dentro de um plano adequado de monitoramento. Visto que trata-se de administração única e as outras alternativas são tratamento de uso contínuo, a longo prazo, torna-se financeiramente viável. Além disso, o tempo entra a suspeita diagnóstica e a sua confirmação supera os 6 meses de vida na maioria dos casos.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Houve melhora motora, com ganhos nas escalas de avaliação e melhora na qualidade de vida da paciente, Negativo e dificuldades: Não tive experiência com resultados negativos	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena, Ridisplan, Positivo: Houve melhora motora, com ganhos nas escalas de avaliação e melhora na qualidade de vida da paciente, Negativo: O paciente com ridisplan evoluiu para traqueostomia.	4ª - Os estudos mostram melhorias significativas em diversos aspectos clínicos, tanto em pacientes tratados pela primeira vez (NAIVE) quanto naqueles que migraram de outras terapias para o onasemnogeno abeparvoveque (após terapia PONTE ou SWITCH). Foram observados incrementos nos desfechos de funcionalidade, com aumento na pontuação de escalas (CHOP-INTEND, HFMSE e RULM), aquisição de novos marcos motores, melhora nos parâmetros ventilatórios (redução no tempo de ventilação não-invasiva e independência de ventilação) e também na função bulbar (melhora na deglutição e independência de suporte nutricional).	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 14/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Considero que a ampliação da terapia gênica com Onasemnogeno Abeparvoveque para pacientes com AME 5q de até dois anos de idade é clinicamente mandatória, superando a incerteza gerada pelos elevados custos e pela baixa certeza da evidência em faixas etárias mais avançadas. O medicamento, por ser uma terapia de dose única que insere uma cópia funcional do gene SMN1, tem um potencial modificador de fenótipo superior e mais prático que as terapias crônicas. Os estudos pivots como START, STR1VE-US e STR1VE-EU estabeleceram a eficácia em sobrevida e ganho motor para a faixa de --6 meses. Contudo, a evidência se estende a crianças mais velhas, com dados dos estudos SPR1NT, Alves et al. (2024) e Mendonça et al. (2024) confirmando que a sobrevida global é mantida (>95%) e que o alcance de marcos motores — como sentar sem apoio e marcha assistida — é significativo mesmo no grupo de 6-24 meses, frequentemente após o uso prévio de Nusinersena ou Risdiplam. O risco de eventos adversos (EA), como a hepatotoxicidade e a trombocitopenia, é previsível e gerenciável, devendo ser balanceado pela eliminação do ônus de tratamentos intratecais repetidos (como no caso da nusinersena). A urgência clínica e a experiência real demonstram que a ampliação do acesso é vital, oferecendo a chance de recuperação funcional máxima em pacientes com AME.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Melhora nos ganhos motores, dose única de aplicação, endovenoso., Negativo e dificuldades: Dificuldades apenas logísticas para fornecimento e aplicação da medicação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e EVRYSDI, Positivo: Boa eficácia dos medicamentos supracitados na aquisição motora dos pacientes com AME., Negativo: Via de administração que muitas vezes impossibilita (como no caso da intratecal em pacientes com escoliose grave na nusinersena) ou frequência elevada (uso oral diário do evrysdi), que a longo prazo aumentam muito o custo.	4ª - Reitero o potencial transformador do Onasemnogeno Abeparvoveque, uma terapia gênica de dose única que aborda a raiz da doença: a deleção do gene SMN1. Minha opinião técnica é favorável à ampliação da cobertura no SUS. O Relatório CONITEC já atesta a superioridade estatística do medicamento em pacientes de 0-6 meses para sobrevida livre de eventos. Contudo, a evidência se expandiu, dados do SPR1NT e estudos brasileiros demonstram benefício além dos 6 meses. O grupo de 6-24 meses alcançou sentar-se sem apoio em até 92% dos casos e marcha independente em 37%. A primeira impressão, a estatística da marcha pode parecer limitante, porém para uma doença com caráter de extrema morbimortalidade e perda de autonomia, o tratamento melhora substancialmente a sua qualidade de vida, expectativa de vida e ganho de função. Estudos como Mendonça et al. (2024) e a coorte brasileira (Alves et al., 2024) confirmam ganhos motores mais expressivos com a terapia gênica, mesmo em pacientes previamente tratados com Nusinersena, indicando um benefício adicional., O perfil de segurança é previsível, incluindo possibilidade de hepatotoxicidade e trombocitopenia. Todavia, são efeitos controláveis sob protocolo de corticosteroide. Além disso, são riscos conhecidos, porém com um benefício incomparável de oferecer uma solução de dose	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				única. , , Concluo refletindo que a restrição etária gera iniquidade. Tenho pacientes diagnosticados tardiamente que teriam se beneficiado enormemente se a terapia estivesse disponível. O diagnóstico precoce (Triagem Neonatal) está em expansão e a janela terapêutica deve acompanhá-lo. Apesar do elevado Custo-Efetividade Incremental, o potencial de modificar o curso da doença para a vida toda justifica o investimento, sobretudo via Acordos de Compartilhamento de Risco (ACR) aprimorados.	
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 14/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Meu filho recebeu o zolgensma após os 6 meses de idade e apresentou melhora em seu forca, começando a sentar sem apoio, controle de tronco e pescoço, melhora na voz e fala, retirada da traqueostomia devido a melhora na parte respiratória, entre outros , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza , Positivo: Controle da doença , Negativo: Aplicação periódica em centro cirúrgico	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 15/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Entendo que o medicamento em questão foi e é revolucionario e vem salvando vidas, e a extensão da faixa etaria, só salvaria mais e mais vidas, alem de trazer novamente a qualidade de vidas para essas crianças e familiares.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 15/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É de grande relevância para as crianças do Brasil terem acesso ao medicamento, mesmo que de forma tardia. Visto que no Brasil muitos dos diagnósticos são feitos após os 6 meses ou até mais tarde. Levando a criança a ser desqualificada a receber o medicamento tão onerosos pelo SUS. A prorrogação até dois anos dará maiores chances aos diagnóstico tardios, que são vidas que merecem todo o suporte necessário para viver.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado ao SUS para crianças de até 2 anos de idade, conforme consta na Bula do proprio medicamento, para que a política pública seja eficaz, haja vista que muitas crianças que sofrem de AME são diagnosticadas apenas após completarem 6 meses de idade, o que as faz perderem a oportunidade de usufruir do medicamento da maneira como ele é disponibilizado agora (até 6 meses de vida).	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acompanho colegas que trabalham com AME no hospital e acompanho a dificuldade que existe para conseguirem acesso para os pequenos, visto que é uma doença diagnosticada na infância, porém o acesso ainda é restrito. Isso causa muita angustia para nós profissionais e ainda mais para os familiares que sabem que o Zolgesma é um life change e que quanto antes se inicia o tratamento, maiores são as chances de cura, de viverem como crianças normais, sem sequelas que impactam diretamente a vida dos pequenos e dos pais, principalmente as mães, que precisam abandonar o trabalho e se vêem em pouco tempo em vulnerabilidade econômica, porque além de tudo, existem diversos gastos invisíveis decorrentes da doença. Além de desumano, chega a ser inépcia das autoridades governamentais ainda não entenderem que o investimento em saúde e prevenção, reduz gastos a longo prazo. Pensem que não é apenas uma criança e uma mãe/pai, são pelo menos duas vidas, duas mãos de obras laborais que farão girar a economia, dois contribuintes pagadores de impostos e não dependentes de auxílio do governo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que por ser uma medicação de altíssimo custo, porém com um impacto clínico muito significativo, além da incorporação da medicação ao SUS para pacientes antes dos 6 meses de idade, é de suma importância a incorporação da testagem molecular para AME na triagem neonatal básica o quanto antes, uma vez que os melhores desfechos serão obtidos quando a aplicação for realizada em pacientes pré-sintomáticos ou sintomáticos precoces.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: DNPM normal aos dois anos de idade em pacientes que realizaram a terapia gênica pré-sintomáticos e ganho de marcos de DNPM ou estabilização da doença em pacientes sintomáticos precoces. Independência de suporte ventilatório aos 6 anos de idade em pacientes que realizaram a terapia gênica pré-sintomáticos e/ou sintomáticos precoces. Diminuição da morbimortalidade (quando comparado com a história natural da doença), com consequente melhora da expectativa e/ou qualidade de vida em pacientes que realizaram a terapia gênica em pacientes que realizaram a terapia gênica em fase pré-necessidade de suporte ventilatório contínuo. , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersen (oligonucleótido antisense) e Risdiplam (modificador do splicing), Positivo: Resultados similares ao da terapia gênica, Negativo: Nenhum	4ª - Mendell JR, Al-Zaidy SA, Lehman KJ, McColly M, Lowes LP, Alfano LN, et al., Five-Year Extension Results of the Phase 1 START Trial of Onasemnogene, Abeparvovec in Spinal Muscular Atrophy. JAMA Neurol. 2021, 78(7):834–41.	5ª - Não
Interessado no tema 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tratar a AME nos anos iniciais de vida é primordial para que estes pacientes apresentam grandes chances de locomoção, qualidade de vida e independência. Se eu tivesse utilizado a medicação há 32 anos atrás (caso ela existisse) sem dúvidas minha vida seria completamente diferente hoje.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Nusinersena , Positivo: Estabilização da doença, ganho de pontuação em força e escala motora. Grande ganho na qualidade de vida!, Negativo: Nenhum.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhora a qualidade de vida das crianças e permitem que elas tenham uma vida muito mais funcional. Dependendo de menos medicamentos e menos terapias ao longo da vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muitas crianças morrem por falta de acesso ao medicamento, acho que ele deve ser disponibilizado no SUS para que as famílias tenham direito e ajuda necessária para salvar seus filhos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O produto claramente apresenta maior efetividade que os concorrentes. A empresa ofertou um acordo de compartilhamento de risco, que pode ajudar a endereçar as incertezas clínicas assim como ofereceu um parcelamento no pagamento da tecnologia, amenizando o impacto orçamentário. Claramente a CONITEC não considerou o preço ofertado pela empresa, uma vez que na tabela 2 (pagina 49/50) do relatório preliminar, o custo considerado para o medicamento foi de R\$ 12.438.713,42 (aparentemente foi considerado o dobro do preço ofertado), assim como não considerou o parcelamento em 5 anos, pois ao se analisar os dados de impacto orçamentario a CONITEC considerou o valor integral do medicamento em parcela única. Por ser de dose única o medicamento pode apresentar maior previsão orçamentária para o Ministério.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: A melhora clinica dos pacientes acima de 7 meses é inquestionável. É possível notar ganhos tanto na função respiratória quanto na parte motora. Pacientes que possuíram acesso ao Zolgensma tiveram uma ótima resposta e desenvolvimento. , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso ao medicamento junto ao governo.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Risdiplam (Evrysdi) e Spinraza (Nusinersena), Positivo: Inicialmente a doença parece se estabilizar., Negativo: pacientes apresentam perda motora e respiratória ao longo da utilização.	4ª - Chega a ser injusto comparar o Zolgensma com Risdiplam (Evrysdi) e Spinraza (Nusinersena), principalmente com o Spinraza (Nusinersena), pois o Zolgensma claramente traz benefícios e ganhos clínicos, possuindo uma taxa de sobrevida quase que de 100%, enquanto o Nusinersena possui uma taxa muito alta de mortalidade. Ora, se o paciente em utilização Spinraza (Nusinersena), infelizmente, vem à óbito muito cedo, é claro que os gastos do Ministério com Spinraza (Nusinersena) serão baixos. Novamente, uma comparação que não é justa.	5ª - Claramente a CONITEC não considerou o preço ofertado pela empresa, uma vez que na tabela 2 (pagina 49/50) do relatório preliminar, o custo considerado para o medicamento foi de R\$ 12.438.713,42 (aparentemente foi considerado o dobro do preço ofertado), assim como não considerou o parcelamento em 5 anos, pois ao se analisar os dados de impacto orçamentario a CONITEC considerou o valor integral do medicamento em parcela única. Por ser de dose única o medicamento pode apresentar maior previsão orçamentária para o Ministério.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A ampliação do acesso é essencial para garantir equidade e justiça no tratamento das crianças com AME no Brasil. Atualmente, a limitação do uso apenas para bebês de até 6 meses exclui muitas crianças que não foram diagnosticadas a tempo, seja pela falta de triagem neonatal ou por atrasos no sistema público de saúde., Essas crianças também têm direito à vida e à oportunidade de tratamento eficaz. A AME é uma doença devastadora, mas hoje há esperança., O tratamento precoce e adequado salva vidas e reduz a necessidade de ventilação mecânica e internações constantes, o que também traz impacto positivo nos custos de longo prazo ao SUS., , Negar o tratamento a uma criança por alguns meses de diferença de idade é uma injustiça e uma perda irreparável., A vida de uma criança não pode ser medida apenas por planilhas financeiras.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Estudos e relatos internacionais mostram que o Zolgensma é capaz de interromper a progressão da AME e melhorar o desenvolvimento motor mesmo em crianças com mais de 6 meses, desde que tratadas precocemente dentro da janela de eficácia (até 2 anos)., Portanto, ampliar o uso até 2 anos é uma medida respaldada por evidências e pela própria bula aprovada pela Anvisa.	5ª - Não
Paciente 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado, pois para as pessoas que tiveram acesso ao medicamento as melhorias na qualidade de vida são extremamente significativas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Mais chance das crianças terem uma vida mais normal possível,com menor limitações	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplan, Positivo: Mais força movimento, Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Este medicamento pode salvar vidas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A ampliação do fornecimento do Zolgensma no SUS salvaria muitas crianças, pois a grande maioria não é diagnosticada até os 6 meses de vida. E recebendo a medicação até os 2 anos, posso afirmar com toda certeza que faz toda diferença, a minha filha é prova viva disso.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Minha filha tomou a medicação com quase 2 anos de idade e teve muitas evoluções, passou a ter controle de cabeça e tronco, movimentos nos braços e pernas, pega de objetos, fala, enfim, foram muitas., Negativo e dificuldades: Dificuldade na aquisição, preço absurdo, fora da realidade, já que tivemos que pagar os absurdamente 9 milhões de reais.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza e Risdiplan, Positivo: No início, quando foi diagnosticada, só existia o Spinraza, que apenas não deixa a doença evoluir. Já o Risdiplan, alem de não deixar a doença evoluir, percebe-se um aumento de força e melhora da parte oral, também é muito mais facil de administrar, já que é via oral., Negativo: Spinraza por ser via intratecal judia da criança, além disso aqui em Santa Catarina a aplicação pelo SUS é realizada apenas em Florianópolis, o que dificulta mais, pois o paciente fica o dia todo fora e em jejum aguardando ser chamado para a aplicação no Centro cirúrgico. Risdiplan não foi resultado, mas sim o acesso, já que este foi negado para a minha filha pelo SUS.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é essencial para vida dessas crianças pode mudar a vida delas,evita percas e internações e trás muitos benefícios para vida delas	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: Melhora de movimentos e evolução , Negativo: Nenhum resultado negativo	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que tem que ser liberado independente da idade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Trata-se de um tratamento seguro com eficácia comprovada em estudos clínicos, que melhora a função motora dos pacientes, preserva a função respiratória e aumenta sua sobrevida.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, nusinersena e risdiplam., Positivo e facilidades: Onasemnogeno é um tratamento que aumenta a sobrevida dos pacientes, melhorando a função motora e preservando a função respiratória., Negativo e dificuldades: Não observei resultados negativos.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e risdiplam., Positivo: Esses medicamentos também melhoram a função motora, mas os resultados em pesquisas clínicas são inferiores ao Onasemnogeno abeparvoveque., Negativo: Não observei resultados negativos.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É de extrema importância o SUS fornecer essa medicação o mais rápido possível bem como diz na constituição A SAÚDE É UM DIREITO DE TODOS !	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgesma , Positivo e facilidades: Depois da medição as meninas tiveram uma evolução muita satisfatória, e cada dia passa tem uma evolução nova, acreditando se a medicação fosse aplicada antes dos anos, seria muito maior . , Negativo e dificuldades: Não teve nenhuma, graças a Deus ! Só resultado positivo.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: nusinersena, Positivo: Essa medicação dava uma leve melhor mas com o passar do tempo ele não dá resultado significado, mas ajudou até a aplicação do zolgesma , Negativo: Com o passar do tempo parecia que ele perdia o efeito	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgesma , Positivo e facilidades: melhora física significativa , Negativo e dificuldades: nenhuma	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento tem um valor muito alto e é inacessível para a maioria das famílias com integrantes com AME. O medicamento é fundamental para a melhora no desenvolvimento e uma esperança para que as crianças possam tem os direitos de todas as crianças, de brincar, dançar, se alimentarem sozinhas, ter melhores condições respiratórias...	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Toda criança com ame tem direito a vida e esse medicamento estendido a aplicação até dois anos da a chance de mais crianças serem salvas e terem qualidade de vida.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Spiranza , Positivo e facilidades: Grandes melhoras na função motora, respiratória, o paciente passou a sustentar o tronco e cabeça , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fisioterapia, Fonodiologa l carnitina , Positivo: Ganho de massa, tonus muscular , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A doença AME é uma doença progressiva, é muito importante que o medicamento seja utilizado o quanto antes para que o paciente tenha uma vida melhor .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A terapia gênica para atrofia muscular espinhal apresenta perfil robusto de resposta clínica, com efeitos adversos bem conhecidos na população até 2 anos de idade. A incorporação garante equidade de tratamento aos pacientes e flexibilidade de opções em alguns cenários (como tratamento com medicação de dose única em paciente que residem distante de grandes centros)	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Estabilização de doença e ganhos significativos em função motora e qualidade de vida. Medicação de dose única, Negativo e dificuldades: Necessidade de uso de cortiterapia no período de infusão e pós-infusão. Necessidade de infusão em ambiente certificado	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Risdiplam e Nusinersena, Positivo: Risdiplam - ganho e estabilização das funções motoras, uso oral, possibilidade de início rápido de tratamento. Nusinersena - ganho e estabilização das funções motoras,uso a cada 4 meses após o período de indução, , Negativo: Risdiplam - necessidade condicionamento adequado (geladeira). Nusinersena - necessidade de estrutra para aplicação intratecal, dificuldade de aplicação em pacientes com escoliose	4ª - Experiência brasileira de tratamento de pacientes nessa faixa etária com terapia gênica, , Mendonça RH, Ortega AB, Matsui C Jr, van der Linden V, Kerstenetzky M, Grossklauss LF, Silveira-Lucas EL, Polido GJ, Zanoteli E. Gene replacement therapy for spinal muscular atrophy: safety and preliminary efficacy in a Brazilian cohort. Gene Ther. 2024 Jul, 31(7-8):391-399. doi: 10.1038/s41434-024-00456-y. Epub 2024 Jun 5. PMID: 38839888., ,	5ª - Estudo de custo efetividade no Brasil, , Fernandes BD, D', Athayde Rodrigues F, Cardoso Cirilo HN, Borges SS, Krug BC, Probst LF, Zimmermann I. Cost-Effectiveness of Onasemnogene Abeparvovec Compared With Nusinersen and Risdiplam in Patients With Spinal Muscular Atrophy Type 1 in Brazil: Custo-Efetividade do Onasemnogeno Abeparvoveque (AVXS-101) em Comparação ao Nusinersena e Risdiplam em Pacientes com Atrofia Muscular Espinhal Tipo 1 no Brasil. Value Health Reg Issues. 2024 Mar, 40:108-117. doi: 10.1016/j.vhri.2023.11.004. Epub 2024 Jan 5. PMID: 38181723.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 17/10/2025	1ª - Não tenho opinião formada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Só quem recebe um diagnóstico de AME sabe as incertezas que vive. Sabendo que existe um medicamento que pode ajudar essas crianças é uma luta que precisa ser vencida, são vidas em desenvolvimento e crescimento que serão alcançadas. ,	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

|

|

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: Ganhos motores e respiração, Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A importância do , , Zolgensma no SUS reside em oferecer uma terapia gênica inovadora para crianças com Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo 1, representando um avanço significativo para doenças raras. Ele democratiza o acesso a um tratamento de alto custo (mais de , R\$7cap R \$ 7 R\$7 milhões por dose) e melhora a qualidade de vida, permitindo que crianças atinjam marcos motores essenciais.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Aumento da sobrevida e redução da necessidade de suporte ventilatório, Desenvolvimento motor, redução do estresse e dos custos associados a terapias contínuas., Negativo e dificuldades: N/A	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que deve ser incorporado com máxima urgência	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Ridisplan , Positivo: Melhoria na condenação motora, Negativo: nenhum	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação da terapia gênica com onasemnogeno abeparvoveque ao SUS é medida necessária, fundamentada em evidência científica consistente e em experiência clínica positiva. Estudos clínicos de fase avançada e dados de mundo real, inclusive brasileiros, mostram que o tratamento modifica de forma significativa o curso natural da Atrofia Muscular Espinhal (AME), especialmente quando administrado até os 2 anos de idade. Observa-se melhora relevante da função motora, aquisição de marcos antes inalcançáveis, estabilização respiratória e redução da dependência de suporte ventilatório e nutricional., , Na prática clínica, esses resultados são evidentes. Crianças que antes evoluíam para perda funcional grave mantêm estabilidade, desenvolvem controle cefálico, sentam-se de forma independente ou até mesmo chegam a deambular, apresentando melhor qualidade de vida. Trata-se de uma intervenção única, com segurança adequada dentro de protocolos bem estruturados de corticoterapia e monitorização laboratorial., , Além disso, o tratamento gera impacto econômico positivo: ao prevenir complicações graves como escoliose, insuficiência respiratória e dependência total de cuidados, evita custos anuais elevados que, somados ao longo da vida, superam o investimento inicial. Assim, o uso precoce é não apenas clinicamente eficaz, mas também racional do ponto de vista de gestão pública., , A terapia gênica representa um avanço transformador no cuidado da AME, oferecendo sobrevida funcional, autonomia e melhor qualidade de vida. Sua incorporação ao SUS é uma decisão ética, técnica e socialmente necessária, garantindo equidade e acesso oportuno a uma tecnologia que redefine o prognóstico de uma doença rara e devastadora.	2ª - , Sim., como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Melhora significativa da função motora (observada inclusive por meio de escalas motoras), aquisição de marcos motores que não seriam observados em contexto de história natural da doença (ou seja, sem tratamento medicamentoso), melhora ventilatória e bulbar, reduzindo a necessidade de suporte respiratório e nutricional. Além disso, o fato de ser uma terapia de dose única traz uma importante facilidade para os pacientes, comparando-se com alternativas que exijam uso diário de medicação ou infusões intratecais recorrentes (estes precisam ser utilizados de forma persistente, por toda a vida do paciente, com maior risco de má adesão, além da sobrecarga emocional)., Negativo e dificuldades: Monitoramento e manejo de eventos adversos, sendo a maioria deles previsíveis e manejáveis. Demora e dificuldade de acesso à medicação, que ainda ocorre na realidade atual.,	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Risdiplam e Nusinersen, Positivo: Ganho ou estabilização de função motora, melhora ventilatória e bulbar., Negativo: Alguns casos com resposta insuficiente e dificuldade de adesão por se tratarem de terapia de uso crônico.	4ª - As evidências clínicas atuais demonstram de forma consistente que a terapia gênica com onasemnogeno abeparvoveque é eficaz e segura para o tratamento da AME em crianças de até 2 anos. O conjunto dos estudos clínicos e de mundo real confirma benefícios motores, bulbares e respiratórios significativos, especialmente quando a terapia é administrada precocemente., , O estudo fase 3 SMART (McMillan et al., 2024) demonstrou segurança e melhora funcional mesmo em crianças acima do peso inicialmente estudado, reforçando a aplicabilidade ampliada da terapia. O registro internacional RESTORE (Servais et al., 2024) evidenciou que pacientes tratados precocemente atingem mais rapidamente marcos motores e apresentam melhores escores finais de CHOP-INTEND., , As evidências de mundo real reforçam esses achados. A coorte multicêntrica europeia de Weiß et al. (2024) confirmou ganhos motores sustentados até 24 meses e redução da dependência ventilatória, particularmente quando o tratamento ocorreu antes dos dois anos. O estudo italiano de Pane et al. (2023) demonstrou benefícios consistentes tanto em pacientes virgens de tratamento quanto naqueles que migraram de outras terapias, com melhora nas funções motora e bulbar e perfil de segurança comparável. No Brasil, Mendonça et al. (2024) observou aumento médio expressivo (+13 pontos) na	5ª - As análises econômicas disponíveis reforçam que a terapia gênica com onasemnogeno abeparvoveque, embora apresente custo inicial elevado, é uma intervenção custo-efetiva quando considerados os desfechos clínicos alcançados e os custos evitados pela prevenção da progressão da AME. Os estudos internacionais e modelagens de impacto orçamentário demonstram que o investimento inicial é compensado pela expressiva redução de despesas médicas e sociais em médio e longo prazo., , Estudos como o de Zuluaga-Sanchez et al. (2022) evidenciaram que o custo anual de suporte não farmacológico para pacientes com AME avançada pode ultrapassar €100.000 por paciente/ano, considerando cuidadores, internações, adaptações domiciliares e perda de produtividade familiar. A prevenção dessa evolução clínica por meio da terapia gênica reduz substancialmente tais despesas cumulativas., , De forma semelhante, Malone et al. (2021) demonstraram, em análise de custo-utilidade nos Estados Unidos, que o onasemnogeno abeparvoveque apresenta razão de custo-efetividade incremental aceitável, especialmente quando utilizado em crianças tratadas

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				escala CHOP-INTEND em seis meses, melhora na autonomia respiratória e motora e segurança compatível com os achados globais., , De forma convergente, esses resultados comprovam que a terapia gênica altera o curso natural da AME, estabilizando ou revertendo perdas funcionais. As evidências são consistentes entre diferentes desenhos de estudo, populações e sistemas de saúde, sustentando de forma inequívoca a incorporação dessa tecnologia no SUS para crianças com AME até 2 anos de idade.	precocemente e com preservação da marcha. Os ganhos em qualidade de vida (QALYs) e redução de custos indiretos justificam o investimento inicial., , Além da evidência internacional, a realidade clínica brasileira corrobora o impacto econômico positivo da intervenção: ao evitar ventilação prolongada, cirurgias ortopédicas e cuidados domiciliares permanentes, há significativa desoneração do sistema público de saúde. Assim, a incorporação da terapia gênica representa uma decisão economicamente racional e socialmente justa, compatível com os princípios de integralidade e eficiência do SUS.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pelo alto custo, apenas o sus consegue manter o tratamento	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo e facilidades: Melhora a qualidade motora, melhora a vida do paciente. Tenho um filho que faz o tratamento e a qualidade de vida, é nítida a melhora , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: Melhora a qualidade de vida nos aspectos motores, Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, E a esperança de uma vida digna ,com independência motora para pacientes que antes não teriam grandes perspectivas de vida , E com essa oportunidade a esperança se restabelece de forma grandiosa .	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: Evolução nos movimentos ,equilíbrio e força ., Negativo: A forma de aplicação, por ser em dose de 4 em 4 meses por toda vida ., É um procedimento sofrido pro paciente e para os familiares. Enquanto o zolgesma é dose única .	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por mais que o zolgensma seja muito custoso, a médio e longo prazo este se paga, pois vai diminuir muito futuras internações, não precisando depois de ventilação mecânica, qualidade de vida de todos será cada vez melhor, não precisará mais tomar spinraza ou ridisplan (o que em alguns anos já pagaria o zolgensma).	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, spinraza , Positivo e facilidades: Meu filho voltou a ficar de pé 1 mês após, e depois de poucos meses começou a andar, com ajuda de andador., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza , Positivo: Ele voltou a segurar a cabeça e tronco, mas não conseguia ficar de pé. , Negativo: Tirando a dor da injeção, tudo positivo.	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgesma,Risdisplan,nusinersena, Positivo e facilidades: Ganho de Marcos motores,diminuição de intercorrências respiratórias, autonomia ventilatoria e não progressão da patologia , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Ridisplan e spiranza, Positivo: Acesso mais rápido aos pacientes com isso diminuição da progressão da doença, Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Meu filho tomou a medicação aos 1 ano e 6 meses e já evoluiu muito, o medicação faz efeito mesmo após os 6 meses.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Ele evoluiu muito,começou a estabilizar o tronco ., Negativo e dificuldades: Até o momento nenhuma	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Ridisplan , Positivo: Estabilizou a doença , Negativo: Não teve evolução	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Importante dar o acesso acima dos 6 meses, quando ocorre mais de 90% dos diagnósticos.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Melhora global em todos os aspectos motores, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tema: Ampliação de uso do onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q em pacientes menores de 2 anos com mutações bialélicas no gene SMN1 e até 3 cópias do gene SMN2. Estudos clínicos demonstram que o tratamento precoce, antes da perda irreversível dos neurônios motores, está associado a desfechos significativamente melhores em termos de ganho motor e sobrevida livre de ventilação., A dose usual é única, por infusão intravenosa, e a segurança requer monitoramento cuidadoso da função hepática e da presença de anticorpos contra o vetor viral., A literatura científica e os guias internacionais ressaltam que o número de cópias do gene SMN2, a idade e o estado funcional do paciente são determinantes do benefício terapêutico.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Estudos clínicos demonstram que o tratamento precoce, antes da perda irreversível dos neurônios motores, está associado a desfechos significativamente melhores em termos de ganho motor e sobrevida livre de ventilação., A dose usual é única, por infusão intravenosa, e a segurança requer monitoramento cuidadoso da função hepática e da presença de anticorpos contra o vetor viral., A literatura científica e os guias internacionais ressaltam que o número de cópias do gene SMN2, a idade e o estado funcional do paciente são determinantes do benefício terapêutico.	5ª - Argumentos para ampliação da cobertura no SUS, Tratamento etiológico: A terapia atua diretamente na mutação genética causadora da AME, diferenciando-se de abordagens meramente paliativas., Janela terapêutica curta: A eficácia máxima ocorre quando o tratamento é administrado precocemente, justificando o acesso rápido e abrangente para pacientes menores de 2 anos., Equidade de acesso: A ausência de cobertura pública amplia desigualdades, uma vez que o custo inviabiliza o acesso para a maioria das famílias., Redução de custos futuros: Apesar do investimento inicial elevado, há potencial de redução de gastos a longo prazo com hospitalizações, suporte ventilatório, fisioterapia intensiva e cuidados prolongados., , Convergência com padrões internacionais: A ampliação da indicação segue práticas já adotadas em diversos países e recomendações de sociedades científicas especializadas., , Recomendações para implementação, , Definir critérios de elegibilidade claros, incluindo confirmação genética de mutação bialélica no gene SMN1 e até 3 cópias do SMN2., , Estabelecer protocolos para avaliação pré-tratamento, como titulação de anticorpos anti-AAV9 e

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
					monitoramento laboratorial., , Criar programas de seguimento pós-infusão para avaliar segurança e eficácia em longo prazo., , Implementar um registro nacional de pacientes com AME para coleta de dados de vida real e análise de resultados no contexto brasileiro., , Estimular centros de referência integrados com equipes multidisciplinares (neurologia, genética, reabilitação, fisioterapia, enfermagem) para garantir a segurança e efetividade do tratamento., Avaliar o custo-efetividade em horizonte temporal ampliado (10 a 20 anos), considerando benefícios clínicos, econômicos e sociais., Garantir que a administração ocorra de forma única e dentro da janela terapêutica, conforme protocolos internacionais.
Profissional de saúde 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O valor do medicamento é extremamente alto, e ele se faz de alta importância para a qualidade de vida dos pacientes com AME	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: ZOLGENSMA , Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida dos pacientes , Negativo e dificuldades: Valor do medicamento e burocracia para aquisição via SUS	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "O acesso à medicação deveria ser um direito básico dos pacientes com indicação. Ele permite a chance desses pacientes terem uma vida mais próxima ao ""normal"", com qualidade de vida. Além de reduzir o custo com internações frequentes, necessidade de ventiladores mecânicos, home care."	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Estabilização da doença, ganho de força muscular, equilíbrio, coordenação motora, mudanças transposturais e transferências, ganho e melhora da marcha, ganho e/ou melhora na independência nas atividades de vida diária, melhora do padrão respiratório. Redução no número de internações e no tempo de internação. , Negativo e dificuldades: A dificuldade é o acesso ao medicamento, além da idade máxima.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Spinraza, Positivo: Redução na evolução da doença. , Negativo: A necessidade de replicação da medicação, e o acesso.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa medicação é extremamente cara, mais de 2 milhões de reais. Não são todos os pais que tem condições financeiras de arcar em até 2 anos de idade da criança com esse medicamento. É uma luta contra o tempo contando com ajuda de terceiros e a vida de uma criança em risco. Sem contar os gastos diários com medicações, fisioterapia, CPAP, adaptações como quarto hospitalar em casa até conseguir a medicação. Com essa medicação no SUS salvaremos MUITAS vidas de crianças que tem toda vida brilhante pela frente!!!!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Zolgensma deve ser incorporado ao SUS não apenas pelos resultados clínicos impressionantes, mas também pelos benefícios econômicos a longo prazo. Por ser uma aplicação única, ele reduz drasticamente os custos contínuos com medicamentos de uso diário, internações frequentes, terapias intensivas e acompanhamento especializado constante. Além disso, diminui a necessidade de logística mensal de fornecimento, transporte e armazenamento de outros medicamentos, como o Risdiplan, e reduz a sobrecarga dos serviços de saúde e dos profissionais envolvidos. A incorporação do Zolgensma representa, portanto, um investimento único com retorno duradouro — tanto em qualidade de vida para as famílias quanto em economia para os cofres públicos.,	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Meu bebê recebeu o Zolgensma com 8 meses e 15 dias e, mesmo com apenas 21 dias após a aplicação, já observamos resultados muito positivos. Notamos melhora perceptível na força motora, com mais firmeza nos movimentos e maior capacidade de sustentar e controlar o corpo. Essas mudanças trouxeram esperança e alegria para toda a família, mostrando o impacto real e rápido do medicamento. A aplicação única também foi uma grande facilidade, por evitar a rotina de doses contínuas e proporcionar mais conforto ao bebê. Estamos confiantes de que os benefícios continuarão evoluindo com o tempo, reforçando a importância desse tratamento inovador e acessível pelo SUS., Negativo e dificuldades: No nosso caso, o Gabriel recebeu o Zolgensma pelo convênio, pois o tempo de espera pelo SUS não foi suficiente. O processo público é extremamente burocrático e lento, o que dificulta o acesso dentro da faixa etária indicada. Por isso, é fundamental que o medicamento esteja disponível pelo SUS até os 2 anos de idade, garantindo que todas as crianças elegíveis tenham a chance de receber o tratamento no momento adequado e com equidade, sem depender de ações judiciais ou demoras administrativas.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplan , Positivo: O uso do Risdiplan desde o nascimento trouxe resultados muito positivos para o Gabriel. Observamos boa evolução motora, manutenção da força muscular e estabilidade clínica, sem regressões significativas. O medicamento contribuiu para um desenvolvimento mais próximo do esperado, prevenindo complicações respiratórias e hospitalizações. Além disso, por ser de uso oral, facilitou o tratamento em casa, garantindo adesão diária e melhor qualidade de vida para o bebê e para toda a família., Negativo: Apesar dos resultados positivos, o uso do Risdiplan traz desafios importantes. O alto custo do medicamento torna inviável a aquisição particular, o que gera grande dependência do fornecimento público. Há insegurança quanto à continuidade da entrega, com medo de atrasos ou interrupções. Além disso, a necessidade de buscar a medicação mensalmente no centro de distribuição, muitas vezes distante, representa uma dificuldade logística e emocional para as famílias, que já enfrentam uma rotina de cuidados intensos.	4ª - Com base na experiência prática, é possível perceber que as evidências clínicas sobre o Zolgensma se confirmam na realidade. O medicamento demonstra melhora rápida e progressiva da força muscular e das funções motoras, especialmente quando administrado precocemente. Mesmo em poucas semanas, há ganhos visíveis no controle postural e na estabilidade respiratória. Esses resultados reforçam os estudos já publicados, que comprovam que a aplicação única do Zolgensma promove benefícios duradouros, sustentando sua eficácia e segurança clínica.	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O remédio não pode ser destinado ate os 6 meses de idade quando sua aplicação pelo fabricante é até os 2 anos de idade. Negar o acesso a essa medicação é negar acesso a vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Temos muitos casos de diagnósticos tardios e muitas famílias sem condições.... É melhor utilizar o remédio como prevenção do que ter q tratar os sintomas pós	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, E de extrema importância que o Sus disponibilize tratamento para todos as crianças acometidas por essa doença tão cruel.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O direito à vida previsto na constituição já indica claramente que se existe medicamento que protege o bem estar e a vida ele precisa estar disponível	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgesma , Positivo e facilidades: O medicamento é essencial para corrigir o defeito genético e evitar progressão da doença , Negativo e dificuldades: Não há resultado negativo quando se sabe que não usar o medicamento leva lentamente a perder os movimentos e a morte não há ponto negativo que supere a morte	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgesma , Positivo e facilidades: Mais qualidade de vida , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É de extrema importância esse medicamento ser de fácil acesso às crianças diagnosticadas com AME	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

6

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É inadmissível um medicamento estratosféricamente caro ser o único tratamento para uma doença tão agressiva e mortal ainda não ser subsidiada a TODOS que necessitam dela.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: voltou a ter movimentos motores do corpo todo , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que seja de suma importância a disponibilização do medicamento no SUS para crianças com AME até 2 anos, considerando que na maioria dos casos a doença somente é descoberta após os 6 meses de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser dado a oportunidade para essa medicação se estenda até 2 anos, pois é de alto custo e as famílias necessitam dela para ter êxito no tratamento aliado aos profissionais da equipe multidisciplinar	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Evolução do quadro depois do uso da medicação a paciente tem mais sustentabilidade e controle de tronco., Positivo: Resultados mais rápidos e eficazes , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho importante os medicamos serem testados e ver os resultados	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento deveria indiscutivelmente ser incorporado ao SUS, juntamente com o aumento da disseminação de informações sobre a doença e sobre como identificar precocemente os sintomas em bebês, quanto antes a descoberta e a infusão do medicamento mais eficaz é o tratamento, esse medicamento deve ser incorporado ao SUS sem dúvida alguma, visto que é de vital importância para a manutenção e qualidade de vida das crianças com essa condição rara e devido ao alto custo as famílias dificilmente conseguem arcar sozinha com a compra, pagamos altos impostos justamente para ter toda a assistência médica e social necessária. Digo ainda que planos de saúde e convênio deveriam também disponibilizar o medicamento a seus clientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Zolgensma deve ser disponibilizado no SUS para crianças com AME sem restrição de idade. Vivemos em país democrático. Não pode haver distinção de crianças com 6 meses ou 2 anos. São crianças iguais com doenças iguais. Ambos precisam do medicamento. Anvisa já aprovou. Prova que funciona e deve ser para todos .	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Resultado imediato. Gerando qualidade de vida para crianças que conseguiram tomar o Zolgensma. , Negativo e dificuldades: Em que pese o SUS disponibilizar este medicamento, até 6 meses de idade não é possível observar o diagnóstico. Que quase sempre acontece após 1 a 2 anos de idade. Faz-se necessário ampliação do prazo do Zolgensma após 2 anos de crianças com AME. Medicamento já comprovou eficácia.	3ª - Não	4ª - Relatos visíveis e evidentes que Zolgensma trás qualidade de vida para portadores de AME. Não pode ter preconceito com a idade dos Raros. São crianças iguais perante a lei e a todos.	5ª - Sim. Após aplicação do Zolgensma, o Estado terá ganhos significativos com redução de tratamentos. Zolgensma irá reduzir custos de uma vida longa com sofrimento e custos para os cofres públicos. Custo do Zolgensma pode ser alto agora. Porém reduz despesas diluídas por décadas de vida com qualidade e saúde.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa medição é muito importante para as crianças com ame Zolgensma salva vidas!	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Após a terapia gênica minha neta, senta, rola, fala, vai a escola, usa vni só pra dormir., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Nusinersena , Positivo: Doença estacionou até a realização da terapia genica, Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O custo deste remédio é inviável e a maioria das crianças tem o diagnóstico posterior. Aumentar a faixa de idade dará possibilidade de tratamento a mais crianças . Terão a possibilidade de uma vida digna com saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao
Interessado no tema 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É de suma importância sua implementação ao SUS, haja vista que tal medicação se faz uso para crianças acima dos 6 meses (Tempo ao qual geralmente se tem o prognóstico de 90% dos casos de AME.)	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Que ele salva vidas, aumenta qualidade de vida, e quanto mais cedo for iniciado o tratamento melhor será. Ainda assim, não pode existir a limitação de ser usado somente até os 6 meses, pois muitos diagnósticos são fechados depois disso	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Mais de 90% dos casos da doença são diagnosticados após 6 meses de idade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser liberado até os 24 meses, pois geralmente o diagnóstico demora um pouco na realidade .	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Paciente AME I está se desenvolvendo bem, mesmo tendo utilizado o Zolgensma após os 6 meses, sustentando cabeça , tronco e até caminhando com suporte , Negativo e dificuldades: Não percebido .	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Risdiplam. Spiranza, Positivo: Os pacientes tendem a estabilização e/ou ganhos motores., Negativo: Não percebido .	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É importante que crianças acima de 6 meses recebam a medicação, pois mais de 90% dos casos são diagnosticados após essa idade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento salva vida se aplicado precocemente	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é de extrema necessidade de ter incorporação no SUS, além do alto custo para as famílias caso ele não tenha até os 2 anos, a maior parte destas famílias não tem condição de fornecer quando for cortado!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como médica Neurologista Pediátrica, especialista em Neurogenética e atuante em Centro de Referência em Doenças Raras que atende pacientes com AME, é nítido benefício do tratamento com a Terapia Gênica (OA). A AME é uma doença invariavelmente progressiva e incapacitante e, em suas formas mais graves, com expectativa de vida reduzida, além de dependência de medidas invasivas, como gastrostomia e ventilação mecânica invasiva. A terapia entrega uma cópia funcional do gene SMN1, que está deletado ou mutado nos pacientes com AME, restituindo a produção de proteína SMN, fundamental para a viabilidade dos motoneurônios no corno anterior da medula e bulbares. Os estudos clínicos demonstram claro benefício em impedir a progressão da doença, além de ganhos motores, preservação da via oral e uso de ventilação não invasiva nos pacientes tratados. Numa condição em que a criança jamais conseguiria sentar sem apoio (AME tipo 1), diversas crianças tratadas atingiram esse marco, demonstrando que além de impedir a progressão, houve ganho motor. Além disso, pacientes tratados precocemente, em estágio considerado pré-sintomático, podem ter evolução motora normal. Portanto, a incorporação dessa terapia, considerada altamente eficaz e modificadora de desfecho evolutivo, é importante ao SUS. Pois gera impactos positivos, tanto a nível individual para os pacientes e famílias, como a nível coletivo e sócio-econômico, reduzindo impactos sobre o sistema de saúde, diminuindo custos em reabilitação, estadia prolongada em UTI, procedimentos e medidas invasivas.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogene abeparvovec (OA) - Zolgensma, , Positivo e facilidades: O OA é uma terapia gênica mediada por vetor viral (adenovírus - AAV9) utilizada para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) que vem sendo utilizada desde 2019. Ela entrega uma cópia funcional do gene SMN1, o qual está ausente (deleção em homozigose) ou mutado nos pacientes com a doença. Sem tratamento, a AME é uma doença invariavelmente progressiva, independente de seu subtipo clínico. Todos os estudos publicados, tanto os pivotais, como estudos após a fase de comercialização, evidenciam benefício sustentado na produção de proteína SMN e preservação da função motora, bulbar e ventilatória nos pacientes. Os melhores desfechos ocorrem nos pacientes que realizam de forma pré-sintomática e com melhor status motor ao início do tratamento. Porém, mesmo em cenários mais desfavoráveis, como pacientes com diagnóstico mais tardio e mais gravemente acometidos, o benefício é nítido em estacionar a progressão da doença, preservando o status motor, bulbar e ventilatório. Os resultados positivos são inúmeros, nunca antes almejados pelo curso progressivo da história natural da AME, tais quais: preservação da função motora, bulbar e ventilatória, aumento da sobrevida com qualidade de vida, maior funcionalidade motora, independência ou menor dependência do uso de via alimentar alternativa (sonda/gastrostomia) e uso de ventilação mecânica invasiva, menor impacto em custos sobre reabilitação e cuidados crônicos, aplicação em dose única endovenosa, devolvendo uma cópia funcional do gene mutado e restabelecendo a produção de proteína SMN, menor impacto sobre cuidadores, saúde mental individual e coletiva., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo. Porém, demanda acompanhamento clínico-laboratorial frequente após a aplicação, para monitorização, demandando acompanhamento especializado em centro de referência. O custo é outra barreira que impede o acesso de mais pessoas à terapia, de forma que a incorporação ao SUS se faz importante, a fim de fornecer o acesso universal e equânime à população, como versa um dos princípios básicos do SUS. , Outra dificuldade encontrada não diz respeito à medicação em si, mas ao atraso diagnóstico enfrentado no Brasil. Os melhores desfechos ocorrem em pacientes tratados precocemente, de forma que é fundamental que haja triagem neonatal sistematizada em todos os estados federativos, com processamento rápido do teste, busca ativa efetiva e acesso célere a equipe especializada para avaliação e confirmação diagnóstica. Dessa forma, maiores benefícios serão observados nos pacientes tratados.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e Risdiplam., , Positivo: Ambos são terapias que restabelecem a produção de proteína SMN através de estímulo via gene SMN2, um gene parálogo. Ambos são efetivos em preservar a função e evitar a progressão de doença, também com melhores resultados em pacientes tratados precocemente. , Negativo: Ambos demandam uso por toda a vida, uma vez que se o uso é interrompido, a doença volta a progredir, já que ambos não restabelecem o defeito genético que é a falta do gene SMN1. Como ambos atuam estimulando a produção de proteína SMN através do SMN2, melhores desfechos são observados nos pacientes com maior número de cópias do SMN2. Pacientes com as formas mais graves de AME, como no tipo 1, há menor quantidade de SMN2, pois a maioria tem 2 cópias de SMN2. Ambos demandam cuidados no armazenamento e aplicação: A Nusinersena demanda aparato hospitalar para aplicação intratecal, com médico com expertise em punção lombar. São necessárias 4 aplicações num período dentro de 2 meses para a fase de ataque e, posteriormente, a manutenção com 3 aplicações por ano. Com o passar dos anos, boa parte dos pacientes evoluem com complicações esqueléticas, sendo a escoliose uma delas, o que gera dificuldades para manutenção dessa terapia. Já o Risdiplam é uma medicação via oral, em forma líquida, que demanda uso diário contínuo e ajustes para o peso, além de necessidade de refrigeração para o armazenamento e transporte, além de cuidados no preparo e diluição da solução. Pacientes pouco aderentes ao uso diário podem não ter a eficácia esperada, pois demanda uso diário rigoroso.	4ª - 1. McMillan, Hugh J et al. "Safety and Efficacy of IV Onasemnogene Abeparvovec for Pediatric Patients With Spinal Muscular Atrophy: The Phase 3b SMART Study." Neurology vol. 104,2 (2025): e210268. doi:10.1212/WNL.0000000000210268, , 2. Mendonça, Rodrigo Holanda et al. "Gene replacement therapy for spinal muscular atrophy: safety and preliminary efficacy in a Brazilian cohort." Gene therapy vol. 31,7-8 (2024): 391-399. doi:10.1038/s41434-024-00456-y, , 3. Servais, Laurent et al. "Real-World Outcomes in Patients with Spinal Muscular Atrophy Treated with Onasemnogene Abeparvovec Monotherapy: Findings from the RESTORE Registry." Journal of neuromuscular diseases vol. 11,2 (2024): 425-442. doi:10.3233/JND-230122, , 4. Weiß, Claudia et al. "Efficacy and safety of gene therapy with onasemnogene abeparvovec in children with spinal muscular atrophy in the D-A-CH-region: a population-based observational study." The Lancet regional health. Europe vol. 47 101092. 7 Oct. 2024, doi:10.1016/j.lanep.2024.101092, , 5. Chongmelaxme, Bunchai et al. "Gene-based therapy for the treatment of spinal muscular atrophy types 1 and 2 : a systematic review and meta-analysis." Gene therapy vol. 32,4 (2025): 301-330. doi:10.1038/s41434-024-00503-8	5ª - 1. Fernandes, Brígida Dias et al. "Cost-Effectiveness of Onasemnogene Abeparvovec Compared With Nusinersen and Risdiplam in Patients With Spinal Muscular Atrophy Type 1 in Brazil: Custo-Efetividade do Onasemnogeno Abeparvoveque (AVXS-101) em Comparação ao Nusinersena e Risdiplam em Pacientes com Atrofia Muscular Espinhal Tipo 1 no Brasil." Value in health regional issues vol. 40 (2024): 108-117. doi:10.1016/j.vhri.2023.11.004, , 2. Dangouloff, Tamara et al. "Systematic literature review of the economic burden of spinal muscular atrophy and economic evaluations of treatments." Orphanet journal of rare diseases vol. 16,1 47. 23 Jan. 2021, doi:10.1186/s13023-021-01695-7

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do medicamento onasemnogeno abeparvoveque é de extrema importância na atualidade visto que a frequência de diagnóstico de bebês pré sintomático ou paucisintomáticos através do newborn screening está cada vez mais crescente. Visto a história natural da doença, e a minha experiência clínica e científica há mais de 15 anos em pacientes com AME, a incorporação para esse perfil de pacientes trará benefícios extremamente positivos para a possibilidade de ganhos motores cada vez mais precoces e duradouros, com a possibilidade de marcos motores antes inimagináveis como a deambulação (marcha), fato observado em alguns pacientes por mim atendidos e infundidos com o medicamento onasemnogeno abeparvoveque	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Atendo e avalio semanalmente pacientes que já fizeram uso do medicamento onasemnogeno abeparvoveque, e também outros medicamentos modificadores da doença como Nusinersena e Ridisplam, Positivo e facilidades: Todos os pacientes que atendo semanalmente no meu consultório particular e acompanhamento nos atendimentos do Ambulatório de Doenças Neuromusculares da Unicamp a qual sou a fisioterapeuta responsável pela avaliação e aplicação das escalas em todos os pacientes com Atrofia Muscular Espinhal apresentam melhora e/ou manutenção na pontuação das escalas motoras em todos os pacientes com AME. Existem um ganho crescente de pontos motores com resultado evidente e positivo de ganhos motores ao longo do tempo (alguns pacientes em acompanhamento pós uso de medicamento há mais de dois anos, continuam em constante ganhos motores e aumento de pontos nas escalas)., Negativo e dificuldades: Pontos Positivos: aumento de pontos nas escalas motores que refletem na aquisição de marcos motores antes nunca atingíveis por pacientes com AME tipo 1. Esse ganho é crescente ao longo do tempo em pacientes em acompanhamento há mais de 2 anos. Ao longo do tempo o ganho de pontos é mais significativo e acelerado após a infusão e nos primeiros 6 meses, sendo um pouco menos acelerado após esse período, porém ainda em evolução com aumento de pontos e ganhos motores., , Pontos negativos: não há pontos negativos do meu ponto de vista como fisioterapeuta visto que no estudo da história natural da doença os pacientes com AME tipo não atingem marcos como sentar sozinho e perdem rapidamente esse marco motor (sentar), com consequente perda da capacidade de rolar, sustentar a cabeça e levar as mãos para frente. Desse modo, o medicamento onasemnogeno abeparvoveque possui somente efeitos positivos	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Ridisplam e Nusinersena, Positivo: Os outros medicamentos modificadores da doença também levam a aumento de pontos nas escalas motores com consequente ganhos motores, porém como os demais medicamentos também são permitidos para pacientes com outros tipos de AME (II, III e IV) e na forma adulta, muitos pacientes em acompanhamento e atendimento com os outros medicamentos apresentam estabilidade nas escalas motoras por apresentarem fenótipo mais grave com grandes perdas motoras. A estabilidade na pontuação das escalas também é considerado um resultado extremamente positivo visto que a gravidade do quadro, apresentando melhora em outros parâmetros não motores, como condição respiratória e qualidade de vida, Negativo: O único ponto negativo do medicamento Nusinersena são para os pacientes com grandes desvios da coluna vertebral que dificultam a infusão mensal do medicamento. Além desse ponto, não há pontos negativos, como descrito para o onasemnogeno abeparvoveque	4ª - Sim, estudos científicos que demonstram a diferença significativa e evidente de ganhos e dados de coortes europeias (Strauss et al, 2022, Pane et al., 2023, Gowda et al., 2023) corroboraram eficácia ampla em idades e pesos variados, com benefícios clínicos mesmo após os dois anos.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Porque mais crianças terão acesso a medicação e a uma esperança de melhoria.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza , Positivo: Teve aumento nos movimentos e bloqueio do avanço da doença., Negativo: Não obtivemos	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Minhas filhas são gêmeas naturais de Goiânia, que foram diagnosticadas com AME tipo 2 com 1 ano e 2 meses. Mariana aos 7 meses de vida iniciaram as perdas motoras como deixar de sentar sem apoio, rolar, posição de prona, não evoluiu para o engatinhar e não alcançou a posição de pé. Após inúmeras consultas, avaliações e exames, com especialistas, com 1 ano e 2 meses chegou o diagnóstico de AME tipo 2, em seguida internação em UTI devido grave comprometido respiratório. Para triagem, foi testado a irmã gemelar Marina, e infelizmente também diagnosticada com AME tipo 2, que alcançou o andar com apoio, porém com inúmeras quedas. Com 1 ano e 8 meses, as duas foram submetidas ao tratamento genético, medicação Zolgensma. Com 2 meses após infusão, iniciaram os avanços com ganhos motores como, sentar sem apoio, posição de prona com controle cervical, posição de pé com talas extensoras ou órteses rígidas e agora prestes a completar 1 anos após infusão (25/10) evolução no treino de marcha com apoio de andadores. Marina aprendeu a correr e está quase evoluindo o saltar. Então em 1 ano, foram inúmeros ganhos motores, para além de nenhuma internação hospitalar, não uso mais de ventilação com redução brusca dos adoecimentos por comprometimento respiratório, melhora na evacuação e deglutição (sem espessante para ingesta hídrica) e com redução significativa dos episódios de engasgo. Que este relato possa sensibilizar a todos os leitores, da necessidade da terapia gênica precoce para todas as pessoas diagnosticadas com AME, independente do tipo.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma - Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Mariana: avanços com ganhos motores como, sentar sem apoio, posição de prona com controle cervical, posição de pé com talas extensoras ou órteses rígidas e agora prestes a completar 1 anos após infusão (25/10) evolução no treino de marcha com apoio de andadores. Para além de nenhuma internação hospitalar, não uso mais de ventilação com redução brusca dos adoecimentos por comprometimento respiratório, melhora na evacuação e deglutição (sem espessante para ingesta hídrica) e com redução significativa dos episódios de engasgo., Marina: aprendeu a correr e está quase evoluindo o saltar. , Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: A Marina usou a Nursinesena e a Marina o Risdiplam (ambos antes do tratamento genético com o Zolgensma), Positivo: Com o uso das medicações paliativas, percebi a não progressão, uma aparente estabilização, porém nenhum ganho motor ou melhora nas questões fisiológicas como evacuação, deglutição, parte respiratória. , Negativo: No caso da Mariana, para a administração da Nursinesena era preciso ficar hospitalizada, com sedação e a medida que ia passando o tempo, no caso, quando ficava perto da próxima dose, já sentia o corpinho dela mais molinho, com menos firmeza, controle de tronco por exemplo, como se o intervalo dessa medicação tivesse que ser menor. , , Quanto a experiência da Marina com Risdiplam, o negativo era mais a parte burocrática em relação ao processo de submissão e retirada da medicação n afarmácia de alto custo. O controle da temperatura (por se tratar de uma medicação que deve ser refrigerada). Para além disso, a tensão de administrar e ela não poder rejeitar, jeito nehum como vomitar, para não perder a dose que era calculada exatamente para os dias certos, sem poder fazer reposição.	4ª - Minhas filhas são gêmeas naturais de Goiânia, que foram diagnosticadas com AME tipo 2 com 1 ano e 2 meses. Mariana aos 7 meses de vida iniciaram as perdas motoras como deixar de sentar sem apoio, rolar, posição de prona, não evoluiu para o engatinhar e não alcançou a posição de pé. Após inúmeras consultas, avaliações e exames, com especialistas, com 1 ano e 2 meses chegou o diagnóstico de AME tipo 2, em seguida internação em UTI devido grave comprometido respiratório. Para triagem, foi testado a irmã gemelar Marina, e infelizmente também diagnosticada com AME tipo 2, que alcançou o andar com apoio, porém com inúmeras quedas. Com 1 ano e 8 meses, as duas foram submetidas ao tratamento genético, medicação Zolgensma. Com 2 meses após infusão, iniciaram os avanços com ganhos motores como, sentar sem apoio, posição de prona com controle cervical, posição de pé com talas extensoras ou órteses rígidas e agora prestes a completar 1 anos após infusão (25/10) evolução no treino de marcha com apoio de andadores. Marina aprendeu a correr e está quase evoluindo o saltar. Então em 1 ano, foram inúmeros ganhos motores, para além de nenhuma internação hospitalar, não uso mais de ventilação com redução brusca dos adoecimentos por comprometimento respiratório, melhora na evacuação e deglutição (sem espessante para ingesta	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				hídrica) e com redução significativa dos episódios de engasgo. Que este relato possa sensibilizar a todos os leitores, da necessidade da terapia gênica precoce para todas as pessoas diagnosticadas com AME, independente do tipo.	
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhora na qualidade de vida, Bloqueio do avanço da AME , Melhora na deglutição, melhora nos movimentos motores	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo e facilidades: Aumento dos movimentos, bloqueio do avanço da doença, melhoria na qualidade de vida., Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acho que tanto o zolgensma como o spinraza devem ser incorporados no SUS porque salvam vidas. E ao ser incorporados no SUS o processo de estabilização da doença será mais fácil , já que no SUS as pessoas possuem mais acesso do que através de ações judiciais .	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Percebi um ganho motor , as notas das avaliações estão sempre aumentando e um atraso motor cada vez menor em relação a uma pessoa que não tem essa condição ., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Ridisplan , Positivo: Resultados inferiores há que o zolgensma dá., Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado no SUS, pois a doença não escolhe classe social, e muitos não teem condições financeiras p adquirir a medicação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Até alguns poucos anos atrás , não havia nenhuma terapêutica que promovesse a mudança na história natural da AME. Estamos vivenciando uma nova era, onde as doenças raras estão tendo a possibilidade de terapêuticas que trazem , para estes pacientes, uma nova perspectiva de vida . São incontestáveis as melhoras observadas nestes pacientes , que anteriormente , tinham uma expectativa de vida limitada , além do que muitas intercorrências associadas , necessidades de internações constantes , e baixas qualidade e expectativa de vida . Os estudos mostram que quanto mais precoce é a utilização da medicação , mais importantes e significativos são as respostas uma vez que ainda existem populações de moto neurônios viáveis , e , ao avançar da idade, está populações vão sofrendo degeneração . Portanto, é imprescindível que está medicação seja incorporada para que as pessoas com AME 5q tenham a possibilidade de serem mais funcionais , sofrerem menos intercorrências clínicas , necessitando de menos internações , e possibilitando com que possam ter uma melhor qualidade de vida , tendo em vista a mudança da história natural da doença !	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogene Abeparvovec - Zolgensma , Positivo e facilidades: Os pacientes atendidos após infusão com a medicação supracitada conseguiram adquirir melhoras da função motora e respiratória , além de adquirir Marcos motores antes inalcançáveis . O prognóstico destes pacientes era bastante reservado , e atualmente , com o advento da terapia gênica , estamos vivenciando uma modificação da história natural da doença , aumentando a expectativa de vida , diminuindo as intercorrências , possibilitando novas habilidades e melhorando qualidade de vida . Houve aumento considerável na expectativa de vida . , Negativo e dificuldades: Acessibilidade ao medicamento, por vezes, os trâmites são tão demorados , que as crianças perdem a oportunidade de utilizar o mais precoce possível, uma vez que as evidências apontam que quanto mais precoce for a infusão , melhores são os resultados obtidos .	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena, Positivo: Há uma melhora nos ganhos motores porém nada comparado aos ganhos observados na terapia gênica, sendo este ponto também evidenciado na literatura científica , Negativo: A necessidade de aplicação periódica por toda vida, ao contrário da terapia gênica que é aplicação única	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A minha opinião se baseia na minha experiência de vida real como pesquisadora de campo e profissional que trabalha em ambulatório especializado. Vejo que diagnóstico precoce faz a diferença e atendimento adequado em reabilitação com equipes devidamente treinadas.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Com todas as três tecnologias disponíveis para AME., Positivo e facilidades: Tratamento precoce e acesso à reabilitação multidisciplinar, incluindo tecnologia assistiva impacta em melhores desfechos nos diversos sistemas (respiratório, neuromusculosquelético, digestivo), Negativo e dificuldades: Acesso tardio implica em resultados limitados e ao meu ver, um recurso financeiro mal aplicado. Paralelamente, se recebe a TG e não tem suporte da equipe multidisciplinar qualificada, a jornada do paciente é comprometida.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e Risdiplam., Positivo: Vejo semelhança ao que reporteí acima para TG. Contudo, para esta terapia que está sendo avaliada nesta consulta, percebo que embora ainda com poucos anos de seguimento, pacientes tratados precocemente não dependem do uso continuado de outros fármacos. Até ressaltado, que terapia combinada não tem evidência e deve ser desencorajada. , Negativo: Semelhante ao que reporteí acima. Já atendi pacientes com grave acometimento que não tiveram qualquer melhora ou seja, garantir adequada reabilitação e tratamento precoce implica em melhores resultados.	4ª - Não.	5ª - Não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento pode salvar vidas, fornecer uma melhor qualidade de vida para as crianças portadoras	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, deve ser incorporado para que as crianças tenham mais qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa seria uma chance das crianças não passar por tanto sofrimento , com uma dose única ela teria a chance de evoluir e a oportunidade de uma vida digna	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spiranze, Positivo: Evolução e ganhos nos movimentos , Negativo: Aplicação de 4 em 4 meses	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A idade média de diagnóstico da AME tipo 1 é 6 meses. Como no Brasil poucos estados tem triagem neonatal, muitos pacientes não conseguiriam receber o tratamento se permanecer a idade limite de 6 meses. A terapia gênica para AME tem evidências de segurança e efetividade até os dois anos de idade, por ser dose única e ter eficácia duradoura (dados de até 10 anos até o momento) geralmente é a terapia escolhida pela família, após conversa sobre riscos e benefícios com a equipe médica. Ampliar a idade aumentaria o número de pacientes que se beneficiariam com esse tratamento e reduziria os altos custos de judicializações.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Já tive experiência com o tratamento com onasemnogeno abeparvoveque para pacientes com AME tipo 1, com idade variável, até 2 anos de idade., Positivo e facilidades: A terapia é bastante efetiva na função motora, respiratória e bulbar, e tem a grande facilidade de ser em dose única endovenosa., Negativo e dificuldades: Faço parte de um centro de referência de tratamento de AME, onde dispomos de todos os tratamentos e realizamos aplicação da terapia gênica. Apenas um 1/10 pacientes apresentou evento adverso grave(hepatotoxicidade), porém sem manifestação clínica e que respondeu a imunossupressão.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e risdiplam, Positivo: Nusinersena: adesão ao tratamento há que é aplicado pelo médico a cada 4 meses, extremamente seguro ., Risdiplam: facilidade da via oral, muito seguro., Negativo: Nusinersena: requer ambiente hospitalar para aplicação, como é de aplicação intratecal, a administração pode ser difícil em pacientes com AME com escoliose., Risdiplam: uso diário, médico não tem controle sob adesão ao tratamento, requer cuidados no armazenamento da medicação (geladeira).	4ª - Minha contribuição será enviada como membro do comitê científico de doenças neuromusculares da Sociedade Brasileira de Neurologia Infantil (SBNi)	5ª - Não
Profissional de saúde 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pacientes sem tratamento ficam restritos ao leito e ventilação invasiva, bem como via alternativa de alimentação	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque , Positivo e facilidades: Mudou história natural da patologia do paciente , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena, Positivo: Também mudou curso natural da doença . Com ganhos positivos , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os estudos ja mostram melhorias significativas em diversos aspectos clínicos, tanto em pacientes tratados pela primeira vez quanto naqueles que migraram de outras terapias para o Zolgesma. Observamos melhora nos desfechos de função motora (CHOP-INTEND, HFMSE e RULM), novos marcos motores, melhora nos parâmetros ventilatórios (redução no tempo de ventilação não-invasiva e independência de ventilação) e função bulbar (melhora na deglutição, sialorreia e independência de suporte nutricional). O perfil de segurança permanece consistente com estudos clínicos anteriores, apresentando eventos adversos previsíveis e manejáveis dentro de um plano adequado de monitoramento.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: NUSINERSENA, RIDISPLAM E ZOLGESMA, Positivo e facilidades: Os pacientes tem ganhos em escalas funcionais, com as 3 medicações citadas, sendo o tempo para esses pacientes muito precioso. Cada minuto perdido significa neurônios mortos. Com a medicação temos mudança na história natural da doença., Negativo e dificuldades: A dificuldade é a demora em conseguir a medicação e infelizmente a doença evolui rapidamente.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: NUSINERSENA, RIDISPLAM E ZOLGESMA, Positivo: Os pacientes tem tido ganhos nas escalas funcionais, com as 3 medicações citadas, mudando assim o fenótipo da doença. Não podemos perder tempo no inicio do tratamento, o tempo para esses pacientes é fundamental. Cada minuto perdido significa neurônios mortos. Com a medicação temos mudança na história natural da doença., Negativo: Recentemente tive paciente AME tipo III que chegou andando no hospital e por ser tipo III e não ter acesso a a medicação, hoje está na cadeira de rodas. Sabendo que existe tratamento que impede a progressão da doença.	4ª - Gene replacement therapy for spinal muscular atrophy: safety and preliminary efficacy in a Brazilian cohort, Rodrigo Holanda Mendonça 1,2,3, Adriana Banzatto Ortega 3, Ciro Matsui Jr1,2, Vanessa van der Linden4, Marcelo Kerstenetzky4,, Luis Fernando Grossklauss5, Elizabeth L. Silveira-Lucas6, Graziela Jorge Polido1 and Edmar Zanoteli1, , Safety and Efficacy of IV Onasemnogene Apeparvovec for Pediatric Patients With Spinal Muscular Atrophy, The Phase 3b SMART Study, Hugh J. McMillan,1 Giovanni Baranello,2,3 Michelle A. Farrar,4,5 Craig M. Zaidman,6 Teresa Moreno,7 Liesbeth De Waele,8,9 Yuh-Jyh Jong,10,11,12 Vincent Laugel,13 Susana Quijano-Roy,14,15 Eugenio Mercuri,16,17 Yin-Hsiu Chien,18 Volker Straub,19 Basil T. Darras,20 Julia Seibert,21 Roberto Bernardo Escudero,22 Iulian Alecu,21 Frank Freischl" ager,23 and Francesco Muntoni,2,3 for the SMART Study Group,	5ª - Não
Interessado no tema 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento tem eficácia comprovada e ajudaria a salvar a vida de muitas crianças.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou super a favor da incorporação do medicamento confiante que muitas crianças terão a chance de ter qualidade de vida	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Minha filha tomou o zolgensma com 1 ano e 6 meses e a partir daí teve firmeza de tronco,pescoço, sustentação e movimentos no corpo , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza e Risdiplan , Positivo: Ajuda a manter os bons resultados pós Zolgensma , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Zolgensma precisa ser disponibilizado de forma ampla pelo SUS. Embora já esteja no sistema, ainda é restrito a poucos pacientes. O tratamento, apesar de ter um custo inicial alto, é aplicado apenas uma vez na vida e garante melhor qualidade de vida, além de ser mais econômico a longo prazo em comparação com o Spinraza e o Risdiplam, que exigem uso contínuo e custos vitalícios.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.
Interessado no tema 19/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu defendo que o Zolgensma seja incorporado pelo SUS. Toda pessoa com AME deveria ter o direito de escolher o tratamento que acredita ser melhor pra si, independente da idade. Cada vida importa, e todo paciente merece ter a chance de melhorar, ganhar qualidade de vida e até alcançar uma possível cura.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Entendo a necessidade da disponibilização deste tipo de medicamento pelo Sistema Único de Saúde, tendo em vista os custos e o difícil acesso à esta medicação que tem enormes pontenciais de melhoria da qualidade de vida para pacientes AME. Por ser voluntária em uma ONG para crinaças com doenças raras, eu vejo o sofrimento dos cuidadores e pacientes ao não conseguirem acesso aos tratamentos que eles necessitam por não terem o poder econômico para tal.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sociedade precisa ter a possibilidade de uso.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do medicamento em questão é de suma importância para o manejo clínico e sintomatológico de pacientes com AME, uma vez que sua intervenção mais precocemente pode significar melhor prognóstico e ganho de função dos pacientes.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Não tive experiência com a utilização do medicamento em questão., Positivo e facilidades: -, Negativo e dificuldades: -	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Risdiplam e Zolgensma., Positivo: A aplicação da medicação, associada a reabilitação multiprofissional dos pacientes, promoveu melhora na função motora e respiratória. , Negativo: Acesso e disponibilidade aos pacientes, desde a medicação à realização da reabilitação, essencial para melhora efetiva da funcionalidade.	4ª - Não.	5ª - Não.

I

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "Já é a segunda vez que venho contribuir em uma consulta pública a favor da causa e acho que é bem cansativo... Apesar de todos os esforços das instituições e ONGs de apoio, a CONITEC insiste em não avaliar minuciosamente sobre os tratamentos para AME. É apontado que não há grandes evidências, mas os próprios se contradizem ao dizer que com Spinraza e Ridisplam as evidências são maiores. E olha só: Na última consulta pública para AME tipo 3, o Spinraza também foi negado pela mesma banca avaliadora. Sugiro, além da reavaliação com profissionais mais competentes, a inclusão e ampliação de todos os medicamentos que os próprios justificam como ""maior evidência"". "	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Tenho AME tipo III e faço os procedimentos fisioterapêuticos, como fisioterapia motora e hidroterapia desde meus 3 anos de idade. Infelizmente, nunca tive acesso a nenhum medicamento., Positivo: "A fisioterapias só auxiliam na mobilidade atual e manutenção da flexibilidade. Ajuda o corpo a não ""travar"" totalmente, apesar de tudo.", Negativo: Infelizmente, a fisioterapia não para a AME. Continuo perdendo minha mobilidade dia após dia.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Incorporar o Zolgensma ao SUS é um passo essencial para garantir acesso justo, reduzir desigualdades e oferecer às crianças com AME uma oportunidade real de desenvolvimento e qualidade de vida. Estudos clínicos e dados de vida real demonstram melhora significativa da sobrevida e das funções motoras, especialmente quando o tratamento é realizado de forma precoce, permitindo que crianças atinjam marcos motores antes considerados inalcançáveis.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Risdipplan, Nusinersena e Zolgensma , Positivo e facilidades: Estabilidade do quadro, ausência de progressão da doença e em casos em que as medicações são administradas mais cedo (primeiros dias/meses de vida) melhora significativa dos sintomas da doença., Negativo e dificuldades: Não vi nenhum resultado negativo diretamente ligado as medicações. As dificuldades são relacionadas à adesão dos pacientes ao tratamento multidisciplinar, que é imprescindível para um bom resultado das terapias medicamentosas.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Risdipplan e Nusinersena., Positivo: Pausa na progressão da doença ou ganhos de marcos motores., Negativo: Nenhum resultado negativo.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Extremamente importante para toda a sociedade.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza , Positivo e facilidades: Ganho de funções motoras, força nos membros como pernas e braços, maior capacidades de locomoção, Negativo e dificuldades: Nenhum. Desde que aplicado com o cuidado necessário.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por ser uma doença degenerativa que impossibilita a criança a ter seu desenvolvimento norma e pode levar a morte, e como o diagnostico demora muito para sai e vital que as crianças possa tomar a dose até aos 2 anos, para poder ter a esperança de uma melhor qualidade de vida.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Nusinersen (Spinraza), Positivo e facilidades: Melhoria na fadiga muscular, mais autonomia para fazer minhas necessidade diarias. ganho de mobilidade em alguns aspectos., Negativo e dificuldades: Não teve	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Não tenho opinião formada, Em anexo compartilhamos a contribuição de especialista do SUS sobre o item.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Em anexo compartilhamos a contribuição de especialista do SUS sobre o item., Positivo e facilidades: Em anexo compartilhamos a contribuição de especialista do SUS sobre o item., Negativo e dificuldades: Em anexo compartilhamos a contribuição de especialista do SUS sobre o item.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Em anexo compartilhamos a contribuição de especialista do SUS sobre o item., Positivo: Em anexo compartilhamos a contribuição de especialista do SUS sobre o item., Negativo: Em anexo compartilhamos a contribuição de especialista do SUS sobre o item.	4ª - Em anexo compartilhamos a contribuição de especialista do SUS sobre o item.	5ª - Em anexo compartilhamos a contribuição de especialista do SUS sobre o item.
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Possibilitar o acesso a pacientes de até 2 anos de idade (24 meses) a este medicamento é permitir a eles benefícios significativos de desenvolvimento e equidade no acesso ao tratamento. Esses pacientes não escolheram portar essa condição de saúde, bem como são diversos os fatores que não possibilitam o diagnóstico antes dos seis meses de idade - especialmente quando falamos daqueles que dependem integralmente da rede pública de saúde. Restringir o acesso ao medicamento apenas para pacientes até os seis meses de vida (critério atual) é ignorar tantos outros que poderiam ter melhoras significativas da qualidade de vida, como apontam evidências clínicas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgesma, Positivo e facilidades: Tratamento para crianças com diagnóstico tardio, Negativo e dificuldades: Valor alto e fora do Brasil	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Salva a vida e melhora qualidade de vida de muitas crianças	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que deve ser disponível pára crianças até 2 anos, como recomendado na bula do medicamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acho que deva ser incorporado para crianças até 24 meses, como diz a bula do fabricante. Tendo em vista a demora do diagnóstico pelo SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Melhora da parte motora, melhora da fala, Negativo e dificuldades: Nao vi lado negativo da medicação, somente coisas positivas. O negativo seria a dificuldade de conseguir acesso a medicação.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por ser familiar de paciente que teve acesso a medicação, desejo que outras crianças tenham a oportunidade de receber e conseguir VIVER! O Zolgensma salva vidas! A ciência demonstra a eficancia de medicação, e em tantos paizes ela é ofertada as crianças até dois anos. Aqui temos casos de sucesso (depois de muitas lutas familiares) e quantas crianças que receberam e estão conseguindo se desenvolver.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Existem muitas crianças que precisam dessa medicação e não possuem renda suficiente para adquirir no particular	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acompanho o caso da Marina Roda Moraes, participei da campanha de arrecadação de valor para que ela conseguisse o medicamento, e após a medicação, é nítida a melhora e evolução dela, acompanhando a rede social dos pais dela. Ela tomou às vésperas de completar os dois anos, então acredito que todas as crianças devem ter esse direito e possibilidade	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado até os 2 anos de idade como a bula recomenda.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento precisa ser incorporado para que salve vidas das crianças e precisa estar disponível para ser aplicado até os 2 anos de idade, conforme bula e fabricante indicam, pois só até os 6 meses de idade é muito pouco tempo para que as famílias, especialmente as mais pobres e sem convênio, possam ter um diagnóstico fechado e consigam ir atrás de toda papelada para pedir o medicamento no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zoolgesma, Positivo e facilidades: Vi crianças sem expectativa de vida e melhoras, fiquem bem e com qualidade de vida próximo a ter autonomia , Negativo e dificuldades: Não teve nada negativo, só a minha expectativa q era maior mesmo, mas o q foi alcançado é muito melhor do que poderíamos ter caso não tivesse a medicação	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O art. 227 da CF/88 estabelece o dever do Estado em assegurar à criança de todas as idades o direito à vida e à saúde. No caso de crianças com diagnóstico de AME, não há base normativa ou científica para que o medicamento de referência no tratamento seja restrito às crianças com até 6 meses de idade. Como todo medicamento, a resposta a um tratamento específico é individual e influenciada por uma série de fatores. De acordo com o fabricante do medicamento em referência, a sua eficácia está devidamente comprovada se administrada em pacientes de até os 2 anos de idade, sendo certo que não há dados suficientes apenas no Brasil para que se conclua em sentido diferente. Sendo assim, deve prevalecer o direito da criança em receber a medicação, desde que esteja apta para tanto, considerando os parâmetros estabelecidos pelo fabricante, tal como a idade máxima.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Conheço uma criança que usou zolgesma até 2 anos, E melhorou	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para que todas as crianças que necessitam da medicação sejam contempladas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É muito importante que o maior número de crianças até 2 anos possa receber o tratamento para ter os benefícios do mesmo.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Avanços motores muito notáveis., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Melhoria na parte respiratório e evolução motora, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplan, Positivo: Melhoria na função respiratório e motora, Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A criança que AME cada segunda da vida dela vai custar a perca de neurônios e assim perdendo cada vez mais seus movimentos e comprometendo estilo e qualidade de vida! Quando se coloca na justiça os casos de crianças com mais de 6 meses para fazerem o uso da medicação Zolgensma, o processo demora e muitas vezes não dá nem mais tempo. O SUS deveria sim disponibilizar essa medicação até os 2 anos (idade máxima permitida), para que muitas crianças consigam viver por mais tempo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Na minha experiência, 126 pacientes com AME, com idades diversas, vários inclusive acima dos 2 anos de idade, receberam o tratamento com Zolgensma e demonstraram benefícios, com ganhos motores. Pouquíssimos (menos de 10%) tiveram alterações mais importantes das transaminases.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma - terapia gênica para AME, Positivo e facilidades: Os pacientes tratados com terapia genica apresentam melhora de força muscular e ganhos motores, mesmo tendo idade acima dos 7 meses., Quanto a questão do custo, torna-se muito menor a longo prazo, visto que o tratamento com outro medicamento de uso contínuo vitalício., Negativo e dificuldades: Nenhum., Na minha experiência, 126 pacientes com AME, com idades diversas, vários inclusive acima dos 2 anos de idade, receberam o tratamento com Zolgensma e demonstraram benefícios, com ganhos motores. Pouquíssimos (menos de 10%) tiveram alterações mais importantes das transaminases.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Risdiplan e Nusinersena, Positivo: Todos os medicamentos modificadores da doença (AME) têm resultados positivos com ganho de força e função motora. Porém, tanto o Risdiplan quanto o Nusinersena são de uso contínuo e vitalício, sendo que a expectativa de vida desses pacientes com AME será próxima a expectativa de vida da população geral., Negativo: Uso diário do Risdiplan., Aplicação intratecal do Nusinersena, em ambiente hospitalar, a cada 4 meses.	4ª - Na minha experiência, 126 pacientes com AME, com idades diversas, vários inclusive acima dos 2 anos de idade, receberam o tratamento com Zolgensma e demonstraram benefícios, com ganhos motores. Pouquíssimos (menos de 10%) tiveram alterações mais importantes das transaminases.	5ª - Quanto a questão do custo, torna-se muito menor a longo prazo, visto que o tratamento com outro medicamento de uso contínuo vitalício. Sendo que a expectativa de vida desses pacientes com AME será próxima a expectativa de vida da população geral.,

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Já é conhecido os benefícios do Zolgensma para o paciente com AME até 2 anos. E também para toda a sociedade como um todo. Incluindo o custo para a União para tratamento multidisciplinar para essas pessoas se o diagnóstico e intervenção não ocorrer precocemente.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Ridisplan , Positivo: Melhora , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento que pode salvar a vida de uma criança., Com esse medicação até os dois anos a criança tem a possibilidade de andar, respirar sem ajuda de aparelhos, e ter uma vida igual as outras crianças.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado no sus	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Porque ele é uma chance de uma vida digna para as crianças com AME	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spiranza , Positivo: Ganho de movimento , Negativo: Tempo de aplicação	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Melhora significativa na parte respiratória e motora!, Negativo e dificuldades: Nenhum!	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou portador de Atrofia Muscular Espinhal (AME) e tenho 33 anos. Vivo diariamente os desafios que essa condição impõe. Desafios que vão muito além da limitação física. A AME afeta todas as atividades da vida: desde tarefas simples do dia a dia até a autonomia e a qualidade de vida a longo prazo., , Por isso, considero fundamental que o tratamento para AME seja disponibilizado o quanto antes para todas as crianças que possam se beneficiar dele. A oportunidade de tratar a AME precocemente, com uma medicação que pode mudar o curso natural da doença, é algo que transforma não apenas a vida da criança, mas também de toda a sua família., , Cada mês sem tratamento pode representar perda de funções motoras que dificilmente serão recuperadas. Ampliar o acesso a essa medicação para crianças de até 2 anos significa oferecer uma chance real de desenvolvimento, de independência e de uma vida muito mais próxima do que chamamos de normalidade., , A incorporação desse tratamento no SUS até os 2 anos é um passo essencial para garantir equidade, dignidade e esperança às famílias que enfrentam a AME.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Nusinersena, Positivo: Ganhos modestos de força, manutenção da capacidade de andar, manter a força física , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Só quem tem um ente querido com uma doença rara devastadora sabe a importância de uma medicação realizada no momento exato pode salvar o Amor da vida de alguém. O Zolgesma precisa ser aprovado nesta baixa etária.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A AME é uma doença grave, com grave impacto para o paciente, família e todo ecossistema de saúde. As terapias modificadoras de doença tem demonstrado resultados positivos, com a possibilidade de maior expectativa e qualidade de vida. Dentre elas, a terapia gênica, tem destaque como terapia avançada de dose única, com eficácia comprovada e mecanismo de ação duradouro. O Manejo de segurança já é bem estabelecido e se dá através de monitoramento e uso de corticosteroides. Na realidade de diagnóstico tardio do Brasil, restringir o acesso à terapia gênica apenas até 6 meses não garante igual oportunidade para todos os pacientes com indicação em bula. Todas as opções terapêuticas devem ser discutidas pela equipe médica e família, para que a decisão individual seja pensada considerando aspectos clínicos, sociais e econômicos a curto e longo prazo.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: TERAPIA GÊNICA - ONASEMNOGENO ABEPARVOVEQUE, Positivo e facilidades: Sou fisioterapeuta, com histórico de atuação em doenças neuromusculares por mais de 15 anos, pude observar na minha trajetória a progressão da doença em pacientes não tratados com AME, seja Tipo I , II, III, com comprometimento motor, respiratório e em casos mais graves, óbito. Em meu estudo de doutorado fiz a avaliação me dediquei a validar escala de avaliação da função motora dos pacientes com AME incapazes de sentar (CHOP INTEND) e pude avaliar diversos pacientes e sua evolução. Nos pacientes sintomáticos que acompanhei e fizeram uso de terapia gênica na faixa etária > 6 e < 24 meses pude observar aumento de tônus, com evolução da pontuação na ESCALA CHOP INTEND , ganho de marco motor (controle cervical, sentar independente), além de maior estabilidade respiratória, redução do uso de ventilação, de internações e possibilidade de alimentação via oral pastosa (redução do uso de via alternativa de alimentação. Houve também ganhos na comunicação com vocalização. , Negativo e dificuldades: As dificuldades foram relacionadas ao diagnóstico tardio, pouco conhecimento da família, carência de equipe multidisciplinar treinada , principalmente para pacientes do interior. Pacientes necessitaram de período de uso de corticóide e exames de monitoramento. Mas evoluíram bem , sem intercorrências.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e Risdiplan, Positivo: Observei que os dois tratamentos apresentam resposta positiva, porém efeitos mais lentos , principalmente em pacientes mais graves. , Negativo: Queixas de dor e cefaléia com infusão intratecal, havia também relato de perda de força e fadiga pelos pacientes com aumento do período entre as doses. Alguns pacientes desenvolveram medo (pânico). Esquecimento/ desabastecimento de dose diária de medicação oral.	4ª - Estudo internacional (Weiz C et al., 2024) avaliou 343 indivíduos de uma coorte europeia, todos com peso inferior a 21 kg e idade entre 0 e 90 meses (média de 14 meses), incluindo pacientes previamente tratados e não tratados. A análise de segurança os eventos adversos reportados (já conhecidos) foram controlados conforme protocolo com corticosteroides. A eficácia foi evidenciada por meio das escalas CHOP INTEND, HINE e HFMSSE, que indicaram estabilização ou melhora nas funções motoras, com manutenção dos benefícios ao longo do tempo. Dos 217 tratados (média de 18 meses), 63,3% atingiram o marco de sentar-se sem apoio. Também foi observada retirada do suporte ventilatório em pacientes sintomáticos., No Brasil, Mendonça RH et al. (2024) conduziram estudo com 41 pacientes (40 sintomáticos), dos quais 31 tinham entre 12 e 24 meses e 73% possuíam apenas duas cópias do gene SMN2. Houve aumento na sobrevivência e redução na dependência de ventilação e suporte nutricional. Entre os 18 que usavam ventilação contínua (>16h/dia), 6 (33,3%) deixaram de utilizá-la após a terapia. Além disso, 18 (46,2%) passaram a se alimentar por via oral, comparado a 15 (36,6%) antes do tratamento. Os tratados entre 12 e 24 meses apresentaram ganho médio de 10,8 pontos na CHOP INTEND (DP ± 7,5). Entre os 30 com AME tipo I, 14 (46,6%) sentaram-se e 3	5ª - "Estudos de custo efetividade devem considerar o alto burden da doença e os benefícios a longo prazo com terapia de dose única, com redução dos gastos em saúde. O estudo Brasileiro Custo-Efetividade do Onasemnogeno Abeparboveque (AVXS-101) em Comparação ao, Nusinersena e Risdiplan em Pacientes com Atrofia Muscular Espinhal Tipo 1 no Brasil, Brígida Dias Fernandes, et al. , 2024, conclui que "" No horizonte lifetime, o onasemnogeno abeparboveque se apresenta como uma opção provavelmente mais efetiva, que nusinersena e risdiplan, mas associada a um custo incremental. Tal relação deve ser ponderada nos critérios de eficiência, durante a tomada de decisão e monitoramento de resultados na perspectiva do SUS."" "

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				(10%) ficaram em pé com apoio, marcos nunca vistos na evolução natural da doença nesse tipo. O perfil de segurança foi compatível com outras coortes, com necessidade prolongada de corticosteroides em pacientes mais velhos., O estudo SMART (McMillan HJ et al., 2025), 3b, incluiu pacientes entre 8,5 e 21 kg, com idade >6 e <24 meses, além de alguns mais velhos, todos sintomáticos. O perfil de segurança permaneceu consistente, sem eventos graves relacionados à terapia. A maioria manteve estabilidade ou adquiriu novos marcos motores (Bayley/OMS). Houve progresso nas funções motoras amplas e finas (HFMSE/RULM), podendo indicar maior autonomia nas atividades.	
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Dar acesso amplo e possibilitar o tratamento a crianças cujo diagnóstico foi ou será tardio	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é de suma importância para a efetividade do tratamento e cura.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Espiraza, Positivo: Ganho de movimento , Negativo: O tempo e organização dos procedimentos para receber o medicamento	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com essa medicação as crianças tem a oportunidade de receber os benefícios de ganhos motores	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: evolução dos movimentos e cognição , Negativo: Tempo de aplicação de 4 em 4 meses	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os benefícios apresentados nas crianças que receberam o medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Quanto mais cedo iniciar o tratamento melhores as chances para os pacientes.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento salva a vida, e permite muita qualidade. É revolucionário.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Paciente passou a sentar sem apoio, se alimentar pela boca e respirar sem aparelhos., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, FAVORÁVEL à incorporação do Onasemnogeno abeparvoveque para pacientes de 6 a 24 meses, com ressalvas., Justificativa:, Equidade no Acesso: A principal razão é corrigir uma falha do próprio SUS. A ausência da triagem neonatal para AME em escala nacional causa o diagnóstico tardio da maioria das crianças, que perdem a janela de tratamento já aprovada (até 6 meses). A ampliação para 24 meses é uma medida de equidade transitória para não penalizar os pacientes por um atraso do sistema., Benefício Clínico Comprovado: Apesar da qualidade da evidência ser baixa, os dados de mundo real são consistentes e demonstram que a terapia altera drasticamente a história natural da doença nesta faixa etária, garantindo sobrevida e ganhos motores significativos que não seriam alcançados de outra forma., Vantagem do Tratamento: O regime de dose única resolve o problema da adesão a longo prazo e reduz a carga de procedimentos invasivos e hospitalizações recorrentes, melhorando a qualidade de vida do paciente e da família., Ressalvas (Condições para Aprovação):, Incorporação Condicionada: A aprovação deve ser vinculada a um Acordo de Compartilhamento de Risco com redução de preço e custeio dos exames pela indústria., Caráter Temporário: A indicação deve ser reavaliada pela CONITEC em 3 a 5 anos, prazo esperado para a implementação da triagem neonatal no país. Após isso, a indicação pode ser restringida novamente., Monitoramento Rigoroso: O uso deve ser restrito a centros de referência com capacidade para manejar os riscos de segurança.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Experiência é técnico-analítica, baseada na avaliação crítica de relatórios de ATS, como o da CONITEC para a presente Consulta Pública. Tenho familiaridade com seu elevado impacto orçamentário, as complexidades logísticas (entrega direta ao centro de infusão, isentando a gestão estadual da guarda) e os gargalos regulatórios, como a necessidade de formalização federal dos acordos de compartilhamento de risco para garantir a segurança jurídica do processo. Além disso, acompanho a dificuldade sistêmica causada pela ausência da triagem neonatal para AME, que impacta diretamente a elegibilidade para esta terapia., Positivo e facilidades: Modelo de Tratamento Inovador com Potencial de Otimização do Cuidado: O principal resultado positivo do Onasemnogeno abeparvoveque é seu regime de dose única. Do ponto de vista da gestão do sistema de saúde, isso representa uma facilidade logística e um potencial de redução da carga sobre o paciente e o sistema a longo prazo. Diferente das terapias de uso contínuo, que exigem dispensações e administrações recorrentes (sejam elas hospitalares ou domiciliares), a terapia gênica concentra o esforço assistencial em um único evento terapêutico., Redução da Carga Assistencial para o Paciente e Família: A administração em dose única elimina a necessidade de visitas hospitalares frequentes para infusões intratecais (como no caso do nusinersena) ou a gestão diária de um medicamento de uso contínuo. Isso representa uma facilidade imensa para as famílias, reduzindo o absenteísmo dos cuidadores e o estresse associado a tratamentos crônicos, melhorando a qualidade de vida para além do benefício clínico direto., Fluxo Logístico Simplificado para a Gestão Estadual: O modelo de entrega direta do medicamento pela indústria farmacêutica ao centro de infusão (HUOL, no exemplo do RN) é uma facilidade operacional significativa. Isso isenta a Secretaria Estadual de Saúde da complexa e custosa logística de recebimento, armazenamento especializado (cadeia de frio) e distribuição de um medicamento de altíssimo custo, otimizando os processos e mitigando riscos de perda ou manejo inadequado., Indução à Estruturação da Rede de Cuidado: A implementação de uma terapia de altíssima complexidade, como o Onasemnogeno abeparvoveque, atua como um catalisador para a organização da linha de cuidado para doenças raras. A necessidade de habilitar centros de referência, treinar equipes multidisciplinares e estabelecer fluxos claros de diagnóstico e tratamento fortalece a rede do SUS como um todo, um resultado positivo que beneficia não apenas os pacientes com AME, mas todo o ecossistema de doenças raras., Negativo e dificuldades: A principal dificuldade associada ao onasemnogeno abeparvoveque reside na insustentabilidade financeira e no impacto	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: A principal dificuldade associada ao onasemnogeno abeparvoveque reside na insustentabilidade financeira e no impacto desproporcional sobre o orçamento do SUS. O custo unitário extremamente elevado, aliado a uma Razão de Custo-Efetividade Incremental (RCEI) muito acima dos limiares aceitos (R\$ 1,77 milhão por QALY para o grupo de 6 a 24 meses), evidencia que a tecnologia não representa uma opção custo-efetiva para o sistema público. Além disso, o impacto orçamentário projetado, estimado em até R\$ 883 milhões em cinco anos, compromete a capacidade do SUS de financiar outras intervenções essenciais, configurando um cenário de iniquidade na alocação de recursos., Outro desafio relevante é a insegurança jurídica e operacional. A dependência de acordos de compartilhamento de risco com a indústria farmacêutica — especialmente para o custeio de testes genéticos e exames de anticorpos anti-AAV9, bem como para a logística de administração do medicamento — carece de uma norma federal que formalize responsabilidades. Essa lacuna regulatória expõe os gestores estaduais e centros de referência a vulnerabilidades administrativas e legais, podendo resultar em interrupções no tratamento e judicialização., Por fim, a baixa robustez das evidências científicas para a população de 6 a 24 meses agrava o problema, tornando difícil justificar um investimento de tal magnitude. Esse contexto gera um dilema ético e administrativo, ao colocar em tensão a pressão social e judicial por acesso ao tratamento frente à necessidade de uso racional e equitativo dos recursos públicos, sustentado em evidências clínicas de qualidade., Positivo: Experiência envolve a análise crítica aprofundada das evidências científicas e econômicas de todas as terapias modificadoras da doença para Atrofia Muscular Espinhal (AME) incorporadas ou em avaliação no SUS. Minha atuação se concentra na Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS), abrangendo os seguintes medicamentos:, Nusinersena (Spinraza): Tenho experiência na análise dos ensaios clínicos pivotais (ENDEAR, CHERISH) e seus estudos de extensão de longo prazo. Realizei a avaliação metodológica destes estudos, utilizando ferramentas como GRADE para classificar a certeza da evidência, e	4ª - "Reconheço a validade da avaliação da CONITEC ao classificar a certeza da evidência para a população de 6 a 24 meses como ""muito baixa"" segundo a metodologia GRADE. De fato, a ausência de ensaios clínicos randomizados (RCTs) com comparador ativo é a principal limitação metodológica., No entanto, a contribuição técnica que proponho é contextualizar essa limitação dentro do paradigma das doenças raras e ultrarraras, como a AME:, Inviabilidade Ética e Prática de RCTs: A realização de RCTs tradicionais nesta população é eticamente inviável (dado que existem tratamentos eficazes, impedindo o uso de placebo) e praticamente complexa. Portanto, a dependência de estudos de braço único, comparados com coortes de história natural, e de dados de mundo real (RWD) é a melhor evidência disponível e esperada para esta condição. Exigir um padrão de evidência de RCTs para tomar uma decisão seria impor um critério irrealista, que resultaria na negação sistemática de acesso a terapias inovadoras para doenças raras., Consistência e Magnitude do Efeito: Apesar da baixa qualidade metodológica, os resultados são consistentes entre os diferentes estudos e coortes. A magnitude do efeito observado — sobrevida próxima a 100% e aquisição de marcos motores como sentar-se em mais de 90% dos pacientes — é tão expressiva em comparação à história natural da doença (onde a sobrevida sem	5ª - Reconheço que, pelos modelos tradicionais, a tecnologia não é custo-efetiva. No entanto, proponho as seguintes ponderações:, Limiares de Custo-Efetividade Inadequados: Os limiares convencionais do SUS não são apropriados para avaliar terapias gênicas de dose única com benefício vitalício. Sugere-se a discussão de limiares diferenciados para doenças raras e ultrarraras, como já ocorre em outros países, para evitar a exclusão sistemática de inovações de alto impacto., Custo a Longo Prazo: A análise de impacto orçamentário deveria considerar os custos evitados a longo prazo. A dose única do Onasemnogeno abeparvoveque elimina os custos anuais e cumulativos das terapias de uso contínuo (nusinersena, risdiplam), que podem se tornar mais caros ao longo da vida do paciente., Modelos de Pagamento Inovadores: O alto custo deve ser gerenciado através de modelos de pagamento baseados em resultados (pay-for-performance), onde o pagamento é parcelado e condicionado à eficácia clínica observada no paciente. Isso mitiga o risco financeiro para o SUS e alinha o custo ao valor real entregue., Sugestão: A análise econômica não deve ser um veto, mas um ponto de partida para negociar

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
		desproporcional sobre o orçamento do SUS. O custo unitário extremamente elevado, aliado a uma Razão de Custo-Efetividade Incremental (RCEI) muito acima dos limiares aceitos (R\$ 1,77 milhão por QALY para o grupo de 6 a 24 meses), evidencia que a tecnologia não representa uma opção custo-efetiva para o sistema público. Além disso, o impacto orçamentário projetado, estimado em até R\$ 883 milhões em cinco anos, compromete a capacidade do SUS de financiar outras intervenções essenciais, configurando um cenário de iniquidade na alocação de recursos., , Outro desafio relevante é a insegurança jurídica e operacional. A dependência de acordos de compartilhamento de risco com a indústria farmacêutica — especialmente para o custeio de testes genéticos e exames de anticorpos anti-AAV9, bem como para a logística de administração do medicamento — carece de uma norma federal que formalize responsabilidades. Essa lacuna regulatória expõe os gestores estaduais e centros de referência a vulnerabilidades administrativas e legais, podendo resultar em interrupções no tratamento e judicialização., , Por fim, a baixa robustez das evidências científicas para a população de 6 a 24 meses agrava o problema, tornando difícil justificar um investimento de tal magnitude. Esse contexto gera um dilema ético e administrativo, ao colocar em tensão a pressão social e judicial por acesso ao tratamento frente à necessidade de uso racional e equitativo dos recursos públicos, sustentado em evidências clínicas de qualidade.	analisei as revisões sistemáticas e meta-análises que fundamentaram sua incorporação nos PCDTs para AME tipos I e II. Também tenho familiaridade com os modelos de custo-efetividade e as análises de impacto orçamentário apresentadas para esta tecnologia., Risdipam (Evrysdi): Similarmente, analisei os dados dos estudos FIREFISH e SUNFISH, avaliando sua eficácia e segurança em comparação com a história natural e, indiretamente, com o nusinersena. Minha experiência inclui a revisão crítica dos desfechos motores e respiratórios, a análise das comparações indiretas (como MAIC - Matching-Adjusted Indirect Comparison) e a avaliação dos estudos econômicos que subsidiaram sua incorporação como alternativa terapêutica oral no SUS., Em resumo: sintetizar e interpretar esses dados complexos para subsidiar a tomada de decisão, comparando os perfis de eficácia, segurança e custo-efetividade das três tecnologias (nusinersena, risdiplam e onasemnogene abeparvoveque) para diferentes subgrupos de pacientes, sempre com um olhar crítico sobre as limitações metodológicas, a heterogeneidade dos estudos e a incerteza associada aos dados de longo prazo e de mundo real., Negativo: As principais dificuldades com o nusinersena e o risdiplam são a carga de tratamento crônica e o custo acumulado a longo prazo para o sistema de saúde. Por exigirem uso contínuo, ambos os medicamentos geram uma dependência perpétua do paciente ao serviço de saúde., Especificamente, o nusinersena apresenta barreiras logísticas devido à necessidade de administrações intratecais recorrentes em ambiente hospitalar, o que pode ser invasivo e de difícil acesso em algumas regiões. Já com o risdiplam, a dificuldade reside na garantia da adesão diária e contínua em domicílio., Além disso, a resposta ao tratamento é variável entre os pacientes, com alguns apresentando apenas a estabilização da doença em vez de ganhos motores significativos, o que gera incerteza sobre o benefício a longo prazo frente ao alto custo contínuo.	suporte ventilatório raramente ultrapassa os dois anos e marcos motores não são adquiridos) que a incerteza sobre a eficácia da intervenção é substancialmente reduzida., Valor dos Dados de Mundo Real (RWD): Os estudos observacionais, embora sujeitos a vieses, refletem a efetividade da terapia na prática clínica real, incluindo pacientes com maior heterogeneidade e comorbidades. Os dados de coortes como a alemã (Weiß et al., 2022) confirmam os benefícios observados nos ensaios clínicos, reforçando a validade externa dos achados., "	um modelo de acesso financeiramente sustentável e inovador.

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ampliar o público de acesso é fundamental para apoiar o tratamento das crianças. Principalmente, devido a limitação atual x diagnóstico em tempo é um desafio, principalmente para as pessoas com menor acesso a um sistema de saúde capacitado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A idade máxima para seu uso deve ser ampliada. Se aos 2 anos ainda se tem excelentes resultados não há justificativas de se limitar aos 6 meses. Ainda mais por sabermos como o diagnóstico muitas vezes é lento e demorado. Deixar de usar essa medicação acarreta a fraqueza muscular, perda de movimento, limitações. Se há possibilidade de cura, melhora e regressão do quadro não há razões de não ser utilizado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento Zolgensma melhora a qualidade de vida em crianças portadores de AME. Por ser um medicamento de alto custo prescrito para indivíduos com uma doença rara como a AME deveria ser incorporado ao SUS e ministrado em crianças aptas a recebê-lo o mais breve possível.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As famílias não tem condições de arcar com os custos do medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como o SUS é direito de todos e a medicação já foi aprovada com um protocolo pré estabelecido, esta medicação deveria ser aprovada conforme a abrangência que é indicada em sua bula. Que atende outros níveis da doença.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: RISDIPLAM, Positivo: ALGUMAS MELHORAS QUANTO AO QUADRO., Negativo: AINDA É CEDO PARA AVALIAR.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Salva vidas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O zolgensma deveria ser disponível para todos os pacient3s com Ame de acordo com a bula, os resultados após a infusão é muito significativa, proporcionando uma qualidade de vida melhor, bem como seu desenvolvimento.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Meu filho tomou o zolgensma com 9 meses e após a aplicação ele apresenta evoluções motoras e respiratória significativas. A cada avaliação na escala motora, ele evolui com pontuações. Bem como a redução de internações por infecção., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo ou efeito colateral.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: Ele preservou os movimentos que meu filho tinha, e evoluiu de uma forma mais sutil., Negativo: Nenhum resultado negativo é efeitoa colaterais.	4ª - Não	5ª - Naoo
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é um ganho para tantas crianças que precisam.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medicação tem que ser urgentemente incorporada AO SUS para crianças até os dois anos de idade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pois tenho um caso de paciente vitorioso em casa. Se nao fosse o medicamento talvez meu filho nao estivesse mais vivo. E graças ao medicamento ele tem hoje uma vida com muito mais qualidade e perto da normalidade.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque Zolgensma, Positivo e facilidades: Meu filho tomou o Zolgensma aos 5 meses e 29 dias. Conseguimos identificar muito precoce devido ao fato do seu pediatra desconfiar aos 2 meses que ele estava com hipotonia no pescoço e aos 3 meses hipotonia generalizada nos membros superiores e inferiores. no mesmo dia conseguimos agendar uma neuro, que fez os testes e desconfiou 99% de que ele tinha AME TIPO 1. Apos 4 dias da infusão do Zolgensma, ele levantou e segurou o pescoço e com 12 dias após a infusão conseguiu levantar o braço esquerdo. Com 1 ano ele sentou sozinho, o que para um paciente de AME TIPO 1, nao seria possível. Hoje ele fala normalmente, come pela boca, tem excelente controle da cervical, senta, fala, canta, e tem uma vida sem dependência da VNI. , Negativo e dificuldades: A parte negativa foi que naquela epoca o medicamento nao estava disponivel no Sus, porem se ele tivesse tomado com 3 meses, com certeza ele teria muito menos sequelas do que ele tem hoje. Como e uma doença rara e muitos médicos nao tem conhecimento, reconhecer e diagnosticar a AME TIPO 1 precocemente antes dos 6 meses, e uma tarefa muito difícil, por isso que seria ideal seguir o que outros paises tem como base, o medicamento ate os 2 anos de idade. Ate porque nem todos os estados estao com a AME Homologado no teste do pezinho.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: percebemos que teve um pequeno ganho de força, porem nada comparável ao ganho apos a infusão do zolgelsma., Negativo: A aplicação intratecal, fazia com que nosso filho ficasse chorando muito durante dois a três dias após a aplicação.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medicação é indispensável é notório o ganho de funções motoras que antes eram consideradas até impossíveis, vejo a melhora da qualidade de vida e prolongamento da mesma.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgesma , Positivo e facilidades: Melhora no desenvolvimento neuropsicomotor, crianças que não tinham um bom prognóstico evoluindo ate para deambulação, melhora da qualidade de vida, melhora na força muscular global, ganho de marcos motores e redução do tempo de ventilação , Negativo e dificuldades: Tempo do diagnostico ate a medicação, em diagnóstico tardio infelizmente.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: NURSINESENA, RISDIPLAN, Positivo: Inicio da movimentação de membro superior e inferior. , Negativo: Ele infelizmente não possuem ganhos tão notórios comparado com a terapia genica.	4ª - Crianças que foram tratadas previamente, que foram diagnosticas na triagem neonatal e obtiveram acesso a terapia genica possuem desenvolvimento motor preservado, melhor qualidade de vida e prolongamento da mesma. Muitas já alcançaram ate o teto da CHOP intend com menos de 2 anos	5ª - nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Um melhor qualidade de vida para o paciente e a família.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acho que deve ser incorporado no SUS urgentemente para crianças até os 02 anos de idade e só para crianças após essa idade, que não receberam o zolgensma, deveria passar o nusinersena ou risdiplam.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Minha ÍSIS, HOJE ANDA! Ela recebeu o ZOLGENSMA com 9 meses de vida e atinge marcos motores, com evolução igual ou superior a outras crianças que receberam o medicamento até os 06 meses de vida! E eu posso provar!!! Ela não teria recebido a terapia gênica por esse parecer negando a tecnologia para crianças maiores de 06 meses! Me apavora que outras crianças, com plena possibilidade de ter essa qualidade de vida, percam essa chance! O medicamento é simplesmente revolucionário., Negativo e dificuldades: Nenhum!	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Nusinersena, Positivo: evita a perda dos marcos motores, mas no caso de Ísis, evoluiu pouco, pois ÍSIS com 09 meses não sentava sem apoio, mesmo tomando o nusinersena, mas após dois dias da infusão do zolgensma, ÍSIS sentou sem apoio por 2 minutos! A diferença foi gritante., Negativo: Ísis não ganhava tantos marcos motores e ficava mais fraquinha próximo das infusões do nusinersena.	4ª - sim, enviar ÍSIS andando sem apoio!	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Considerando o impacto clínico observado, o perfil de segurança adequado e os ganhos funcionais relevantes mesmo em pacientes tratados após os 6 meses de idade, entendo que a administração do Zolgensma no SUS não deveria ser restrita apenas a crianças com AME tipo 1 menores de 6 meses, mas estendida a todas as crianças entre 7 e 24 meses, que também demonstram potencial de benefício clínico significativo.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Melhora das escalas motoras, ganho de marcos do desenvolvimento, manutenção de via oral e não evolução para ventilação permanente com traqueostomia., Negativo e dificuldades: Não tive resultados negativos.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Risdiplam e nusinersena., Positivo: Melhora de escalas motoras, ganho de marcos do desenvolvimento., Negativo: Dificuldade de infusão do nusinersena em pacientes com coluna complexa.	4ª - Sim.	5ª - Não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muitas bebês e crianças que descobrem a ame após os 6 meses, estão pendendo tempo(neurônios) pela demora para conseguir o zolgensma,minha filha é uma delas,foi diagnosticada com quase 10 meses e não pode tomar pelo sus,entramos na justiça para conseguir e sabemos como é burocrático e demorado, Ela tomar essa medicação o mais rápido possível é vital para ela, Nos ajude para que ela tenha uma qualidade de vida boa tomando esse medicamento rápido	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: Melhora muito significativa na evolução da minha filha que tem AME tipo 2, Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser salvaguardado e garantido o direito à vida dessas crianças	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Conhecendo os benefícios da administração do medicamento em crianças com AME, e vendo o desespero e dificuldade dos pais correndo contra o tempo para obtê-lo, entendo que o medicamento deva sim ser incorporado ao SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, Não tenho opinião formada.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não tenho opinião formada	5ª - Não tenho opinião formada
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Extrema importância	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As crianças tem alcançado marcos motores que antes não eram atingidos. Os pacientes estão evoluindo no desenvolvimento motor, alcançando o teto da escala Chop intend , necessitando de utilizar outras escalas de avaliação para acompanhar melhor os resultados que elas tem apresentando. A qualidade de vida das crianças e de suas famílias melhoram de forma muito significativa.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Alcance de Marcos motores , redução do tempo e/ou da necessidade de ventilação mecânica não invasiva , melhora da qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Os efeitos adversos que podem ocorrer a longo prazo ainda não são totalmente conhecidos	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Ridisplam e Nursinesena , Positivo: Pacientes que não movimentavam os membros superiores e inferiores antes da medicação iniciaram a movimentação dos membros com início da utilização dos medicamentos , Negativo: Diagnóstico tardio e início tardio dos tratamentos	4ª - Uma criança que recebeu essa medicação de forma precoce, após ser diagnosticada na Triagem neonatal , está sentando e iniciou a marcha sem apoio. E já alcançou a pontuação máxima na CHOP intend.	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Minha ÍSIS, HOJE ANDA! Ela recebeu o ZOLGENSMA com 9 meses de vida e atinge marcos motores, com evolução igual ou superior a outras crianças que receberam o medicamento até os 06 meses de vida! E eu posso provar!!! Ela não teria recebido a terapia gênica por esse parecer negando a tecnologia para crianças maiores de 06 meses! Me apavora que outras crianças, com plena possibilidade de ter essa qualidade de vida, percam essa chance! O medicamento é simplesmente revolucionário.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Minha ÍSIS, HOJE ANDA! Ela recebeu o ZOLGENSMA com 9 meses de vida e atinge marcos motores, com evolução igual ou superior a outras crianças que receberam o medicamento até os 06 meses de vida! E eu posso provar!!! Ela não teria recebido a terapia gênica por esse parecer negando a tecnologia para crianças maiores de 06 meses! Me apavora que outras crianças, com plena possibilidade de ter essa qualidade de vida, percam essa chance! O medicamento é simplesmente revolucionário., Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Quem tem AME tem pressa, cada segundo importa. Não deixem de oferecer a essas crianças o que há de mais tecnológico no avanço contra a doença.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Melhora progressiva no desenvolvimento motor, deglutição e coordenação motora , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso ao medicamento. Meu filho foi diagnosticado aos 5 meses e 26 dias com AME, mesmo assim teve o medicamento negado. Foram longos 7 meses de luta na justiça para obter o direito.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Risdisplam , Positivo: A doença parou de evoluir a partir do uso., Negativo: A demora no fornecimento	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, Os medicamentos que devem ser incorporados no SUS somente depois de ser liberado pelos órgãos necessários, pois dessa forma teremos mais cuidado com o ser humano.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicação essencial para oferecer qualidade de vida para pacientes com AME, e mudar a vida dessas pessoas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acompanhei casos de crianças através das redes sociais que tiveram ótimos resultados tomando o medicamento até os dois anos de idade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Isso vai ajudar várias crianças que recebem o diagnóstico tardio	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Meu filho está andando depois de receber a medicação e hoje ele tem 4 anos , Negativo e dificuldades: Só teve ganhos	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplam , Positivo: Ajudou também no ganhos , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento em questão impacta diretamente, não só na qualidade de vida, mas no direito a vida desses pacientes. A Ame não tem cura e hoje os medicamentos disponíveis são a maior chance dessas pessoas conseguirem viver com algum grau de qualidade e autonomia.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Spinraza, Risdiplam, Zolgeísma., Positivo e facilidades: Na clínica observamos melhora significativa dos pacientes com acesso ao medicamento, principalmente questões motoras e respiratórias, e quanto mais cedo o acesso maior é a percepção de melhora. O caso mais evidente é um paciente de 4 meses que em semanas já demonstrou ganhos no controle do tronco e reflexos nas pernas., Negativo e dificuldades: O ponto negativo é a dificuldade que as famílias enfrentam para ter acesso ao medicamento, principalmente quando o filho tem menos de 2 anos de idade.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Spinraza e Risdiplam., Positivo: Também houve percepção de melhora motora e respiratória principalmente nas crianças com acesso mais rápido depois do diagnóstico., Negativo: Os trâmites para conseguir o medicamento é um ponto negativo, pois por falta de informação ou por morosidade, acabam levando mais tempo para acessar os medicamentos.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A inclusão do onasemnogeno abeparvoveque no SUS é plenamente justificada diante do conjunto robusto de evidências clínicas e da experiência acumulada em diferentes contextos, incluindo coortes nacionais. Os dados publicados demonstram ganhos motores e respiratórios expressivos, com perfil de segurança consistente e previsível, reforçando o valor terapêutico da reposição gênica mesmo em pacientes tratados até 24 meses de idade., , Trata-se de uma intervenção de dose única, capaz de oferecer benefício sustentado, reduzir a dependência ventilatória e modificar de forma profunda o curso natural da AME. Além do impacto clínico, o tratamento apresenta alto potencial de custo-efetividade, ao evitar terapias crônicas, procedimentos repetidos e hospitalizações recorrentes., , Sob a ótica científica, ética e de saúde pública, a incorporação dessa terapia representa um avanço estratégico para o SUS, garantindo equidade de acesso, adesão integral ao tratamento e melhor prognóstico funcional e respiratório para crianças com AME 5q.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma (Onasemnogeno Abeparvovec), Positivo e facilidades: Atualmente acompanho 20 pacientes com Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q tratados com onasemnogeno abeparvoveque. A maioria apresenta mutações bialélicas no gene SMN1 e de duas a três cópias do SMN2. Mais da metade desses pacientes recebeu a infusão entre 6 e 24 meses de idade., , Em todos os casos, o perfil de segurança foi favorável, sem eventos adversos graves, hepatotoxicidade significativa ou necessidade de internações relacionadas à terapia. As elevações transitórias de enzimas hepáticas observadas foram leves e controladas com corticosteroides conforme protocolo., , Os ganhos clínicos foram consistentes e sustentados, com melhora de marcos motores (controle cefálico, sedestação independente e, em alguns casos, deambulação com apoio), aumento das pontuações em escalas funcionais (CHOP-INTEND, HINE-2) e melhora expressiva da função respiratória, evidenciada por redução da necessidade de suporte ventilatório e menor frequência de intercorrências respiratórias., , Mesmo entre as crianças tratadas mais próximas dos 2 anos de idade, observou-se estabilização da doença e aquisição de novas habilidades motoras, refletindo preservação neuromuscular significativa e impacto positivo na qualidade de vida familiar., , Esses resultados reproduzem e reforçam as evidências da literatura internacional, demonstrando que o onasemnogeno abeparvoveque mantém eficácia e segurança robustas em pacientes tratados até 24 meses. Além disso a terapia, por ser de dose única, não possui qualquer restão relacionada à adesão medicamentosa., Negativo e dificuldades: Não houve	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e Risdiplam, Positivo: Em minha experiência clínica com pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) 5q na faixa etária de até 24 meses, os tratamentos com nusinersena e risdiplam também demonstraram benefícios relevantes. Observam-se, de modo geral, melhora ou estabilização da função motora, aumento da força proximal e redução de complicações respiratórias quando iniciados precocemente e mantidos sob acompanhamento especializado. Ambos os fármacos apresentam perfil de segurança aceitável e contribuem para o controle da progressão da doença, refletindo o impacto positivo da reposição funcional da proteína SMN., , Entretanto, a terapia gênica com onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma) oferece vantagens clínicas e práticas importantes nessa mesma população. Trata-se de uma intervenção única, com expressão sustentada da proteína SMN e sem necessidade de administrações repetidas, evitando tanto os procedimentos invasivos periódicos da via intratecal (nusinersena) quanto a dependência diária da administração oral (risdiplam). Essa característica garante adesão completa ao tratamento, reduz a carga assistencial das famílias e elimina o risco de falhas terapêuticas por interrupção de uso., , Além disso, ao considerar o horizonte de vida da criança e os custos cumulativos dos esquemas contínuos, o Zolgensma se mostra uma alternativa custo-efetiva, com potencial de modificar de forma mais profunda e duradoura o curso da doença, oferecendo ganhos motores e respiratórios expressivos e maior independência funcional., Negativo: No caso do nusinersena, o regime de administração intratecal periódica impõe desafios significativos, sobretudo em lactentes e crianças com escoliose ou fusão vertebral. Esses pacientes frequentemente necessitam de sedação, equipe especializada e ambiente hospitalar para cada aplicação, o que aumenta o risco e o custo do procedimento. Em alguns casos, a complexidade anatômica inviabiliza a continuidade do tratamento., , Com o risdiplam, embora a via oral facilite o uso, observa-se em algumas famílias dificuldade de adesão a longo prazo, especialmente em contextos socioeconômicos mais vulneráveis, nos quais a administração diária e o controle	4ª - As evidências clínicas mais recentes reforçam de maneira consistente a segurança e a eficácia do onasemnogeno abeparvoveque no tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q), com resultados positivos não apenas em termos de ganho motor, mas também de melhora da função respiratória e estabilidade ventilatória, mesmo em pacientes tratados em faixas etárias ampliadas.O estudo brasileiro “Gene replacement therapy for spinal muscular atrophy: safety and preliminary efficacy in a Brazilian cohort” (Mendonça RH et al.) avaliou 41 pacientes com média de idade de 18 ± 6,4 meses no momento da infusão. O trabalho demonstrou ganho médio de 13 pontos na escala CHOP-INTEND após seis meses e capacidade de sentar sem apoio em 46,6% dos pacientes tipo I, resultados comparáveis aos obtidos em coortes internacionais. O perfil de segurança foi favorável, com eventos leves, transitórios e manejáveis dentro do protocolo padrão de corticoterapia, sem intercorrências clínicas graves., Além da melhora motora, o estudo relatou ganhos ventilatórios expressivos, com redução da necessidade de suporte respiratório e melhora da tolerância ao esforço e da função bulbar, indicando benefício real sobre a musculatura respiratória — aspecto crítico na sobrevida e qualidade de vida dos pacientes com AME., , Resultados semelhantes	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
			rigoroso de horários podem comprometer a regularidade terapêutica. Além disso, há o desafio de manter a disponibilidade contínua do medicamento e o acompanhamento laboratorial periódico., , Essas barreiras contrastam com o modelo do onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma), que consiste em dose única, com monitorização transitória e sem necessidade de repetições invasivas ou administração crônica. Essa característica elimina obstáculos logísticos e garante adesão plena, fator essencial em uma doença de rápida progressão., , Por fim, ressalta-se que o principal entrave atual é o acesso restrito por critérios etários, que exclui pacientes entre 6 e 24 meses que ainda apresentam potencial funcional relevante. A ampliação dessa faixa etária permitiria uma aplicação mais equitativa e racional da terapia gênica, com benefícios clínicos comprovados e sustentabilidade para o sistema de saúde	foram observados na coorte italiana de Pane et al., que incluiu 67 crianças entre 22 dias e 72 meses de idade. Após 12 meses de acompanhamento, houve melhora significativa dos escores CHOP-INTEND e redução consistente da dependência ventilatória, com parte dos pacientes descontinuando o uso de ventilação não invasiva, Por fim, o Consenso da Academia Brasileira de Neurologia (Zanoteli et al) reconhece que a terapia gênica apresenta relação benefício-risco favorável e é eficaz em pacientes com AME tipos I e II até 24 meses e até 13,5 kg, recomendando seu uso com monitorização laboratorial adequada.	
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamentos tecnologicamente avançadas transformam vidas, mas pelo seus custos são inacessíveis aos pacientes. A única maneira de salvar uma vida é ter acesso a essas medicações, seja no âmbito público ou no âmbito privado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Se o remédio segundo a bula é indicado a paciente até 2 anos e temos grandes exemplos de crianças que tiveram efeitos significativos com essa medicação, portanto não vejo porque não liberar para essas crianças	2ª - Sim, como paciente, Qual: Risdipam , Positivo e facilidades: Força muscular, melhora na capacidade respiratória e na imunidade , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

|

|

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento que realmente faz efeito e nem todos têm acesso. Principalmente crianças maiores de 6 meses	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Evolução motora, ganho de força, independência e alta de fisioterapia respiratória , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A bula do remédio indica até dois anos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os medicamentos para AME são de um custo irrealizavel para pessoas trabalhadoras comuns neste pais, nossos filhos vivem hoje com uma sentença e o acesso aos medicamento são extremamente limitados, queremos que todos que precisam tenham acesso ao medicamento, para terem uma vida melhor, com saúde e dignidade.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: Meu filho apresentou ganho de força nos membros, mais equilibrio, maior capacidade de caminhada, melhor bem estar, com menos fadiga e cansaço., Negativo: Nenhum ponto negativo, só gostaria que meu filho com Ame 3 e outras pessoas na mesma situação que ele pudessem ter acesso mais facil ao tratamento pelo SUS.	4ª - Não.	5ª - Não.
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Creio que a incorporação, pelo fato de ser um tratamento muito caro, deve ser realizada de acordo com o compartilhamento de risco, como já está em fase inicial para crianças até os 6 meses de idade. No entanto, a decisão de qual medicação indicar é individualizada para cada paciente em questão, o médico especialista sabe avaliar bem os prós e contras para melhor indicação de uma das 3 terapias. No entanto, ter a opção da terapia gênica para crianças até os 2 anos amplia as opções com evidência científica	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Com os 3 liberados pela Anvisa para tratamento da atrofia muscular espinhal, incluindo o objeto da consulta pública, o omnasenogeno abeparveque, Positivo e facilidades: Terapia gênica efetiva em estudos pivotais, com perfil de efeitos colaterais conhecidos, o que propicia um cuidado individualizado e específico. Estudos pivotais comprovam eficácia em menores de 6 meses e estudos de vida real comprovam eficácia e segurança nos menores de 2 anos de idade., Negativo e dificuldades: Perfil de efeitos adversos é mais complexo que as outras medicações, no entanto são conhecidos e crianças menores de 2 anos tem menos chance de apresentar efeitos grave e fatais. No entanto, o fato de ser dose única é um ponto altamente positivo.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e Risdiplam, Positivo: Também são medicamentos altamente eficazes quando indicado numa janela de oportunidade para os 3 tipos de atrofia muscular espinhal, sendo nusinersena por via intratecal, o que requer internação e procedimento invasivo e o Risdiplam, que é de uso oral. Ambos são eficazes e seguros, com estudos pivotais e de vida real amplamente favoráveis, Negativo: Nusinersena - problema de ser intratecal, então colunas problemáticas torna difícil a aplicação. Risdiplam precisa ser tomado diariamente, sempre havendo risco de falha ou interrupção do tratamento por falta da medicação	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito muito na medicação e vi muitos resultados positivos na vida da minha filha após a aplicação	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplam/nusinersena/ Zolgensma , Positivo e facilidades: Evolução maravilhosa da minha filha, tomou com 2 anos, tivesse tomado antes teria já evoluído muito antes, Negativo e dificuldades: Muita burocracia pra fazer a medicação até ganhar é muito difícil	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Nusinersena/Risdiplam , Positivo: Deu suporte pra conseguir o Zolgensma , Negativo: Desconforto com aplicação na espinha, medicação usada pro resto da vida, cada vez que aplicava tinha que deslocar pra hospital expondo ela sós riscos de contaminação	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que tem que ser incorporado ao Sus para aplicação até 2 anos, como é aprovado pela Anvisa, pois limitar a idade de uso até 6 meses restringe muito a possibilidade, visto que é uma doença que demoram a descobrir e o remédio pode ser usado até 2 anos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Pra incluir bebês de até 2 anos pra receber o Zolgensma, Positivo e facilidades: Pra incluir bebês de até 2 anos pra receber o Zolgensma. Chance de uma vida melhor, Negativo e dificuldades: Demora para tomar a medicação atrapalha o desenvolvimento	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Pra incluir bebês de até 2 anos pra receber o Zolgensma, Positivo: Melhora na qualidade de vida , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento muda a vida de crianças com AME, as quais não teriam as mesmas oportunidades sem a medicação. Sou médica e sei o quanto é difícil fazer um diagnóstico tão precoce dessa doença, especialmente do SUS. Nem todas as crianças terão o diagnóstico antes dos 6 meses, a tempo de receber a terapia. É fundamental a expansão da idade-alvo para receber a terapia, de forma que possamos mudar a história de mais crianças e famílias.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Em conjunto com o Departamento científico da Sociedade Brasileira de Neurologia, o entendimento é de que a limitação atual para uso desta terapia gênica de 6 meses, não condiz com a realidade de acesso. O diagnóstico de casos sintomáticos ocorre após esta idade, além da necessidade de avaliação de potencial paciente até o momento da sua administração, que também demanda tempo.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Mudança da história natural, dose única., Negativo e dificuldades: Necessidade de diagnóstico precoce para poder estar utilizando o mesmo via SUS. Necessidade de alinhar expectativa das famílias com a realidade do benefício e riscos da terapia, acompanhamento cuidadoso do paciente.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e risdiplam., Positivo: Também modificam a história natural da doença., Negativo: Nusinersena necessita administração hospitalar periódica e de coluna que garanta o acesso intratecal. Risdiplam deve ser usado diariamente, e precisa de refrigeração no domicílio.	4ª - Anexo o documento elaborado pelo Departamento Científico da SBNI.	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todos tem direito ao acesso a uma vida melhor ,ter acesso a medicação que e promissora	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento de alto custo e que pode frear uma doença que é degenerativa e paralisante para crianças deveria incorporar o calendário do SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, De forma resumida, a Novartis contribui respeitosamente trazendo os seguintes pontos:, 1. A efetividade e segurança de Zolgensma® em pacientes de 7 a 24 meses com presença de mutações bialélicas do gene SMN1 e até 3 cópias do gene SMN2 são exaustivamente comprovadas na literatura através de estudos fase IIIb, IV e observacionais e revisões sistemáticas com meta-análise, incluindo dados de população brasileira, , 2. Zolgensma® possui dados de durabilidade que suportam a eficácia da terapia por até 10 anos pós infusão sem novos achados de segurança, 3. Atualização da análise de impacto orçamentário incremental potencialmente inferior ao apresentado originalmente pela CONITEC, sendo, no Cenário Conservador, inferior a R\$ 200 milhões acumulados em cinco anos., 4. A análise de custo efetividade atualizada demonstrou que Zolgensma® é dominante versus risdiplam e apresentou uma razão de custo efetividade (utilidade) incremental (RCEI), mantendo o horizonte temporal de 20 anos, de Zolgensma® versus nusinersena de R\$ 327.867/AVAQ (anos de vida ajustado pela qualidade) sendo um valor menor do que a razão de custo efetividade apresentada nos relatórios de recomendação final dos tratamentos atualmente incorporados: Risdiplam e Nusinersena, A Novartis mantém o compromisso em desenvolver modelos de acesso inovadores em parceria com o Ministério da Saúde e continua aberta a cocriar uma proposta que se adeque a necessidade atual desta comissão e atual Ministério da Saúde, tanto do ponto de vista clínico quanto econômico. Diante do exposto, solicita-se à CONITEC que reconsidere a recomendação preliminar de 2025 e adote posição favorável à ampliação condicional da incorporação do Zolgensma® para crianças de 7 a 24 meses com AME 5q, mediante Acordo de Compartilhamento de Risco com desfechos e modelo de pagamento a serem discutidos após a recomendação final. ,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque(Zolgensma), Positivo e facilidades: Onasemnogeno abeparvoveque é um medicamento de dose única, que possui dados comprovados exaustivamente na literatura demonstrando ganho ou estabilização de marcos morores, no perfil de pacientes avaliado. A efetividade e segurança de Zolgensma® em pacientes de 7 a 24 meses com presença de mutações bialélicas do gene SMN1 e até 3 cópias do gene SMN2 são exaustivamente comprovadas na literatura através de estudos fase IIIb, IV e observacionais e revisões sistemáticas com meta-análise, incluindo dados de população brasileira. Zolgensma® possui dados de durabilidade que suportam a eficácia da terapia por até 10 anos pós infusão sem novos achados de segurança, incluindo o estudo de monitoramento da ANVISA., Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - sim	5ª - sim
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Toda criança que precisa merece ter acesso a esse tratamento, pois de fato ele traz resultados satisfatórios.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Evolução motora muito satisfatória , Negativo e dificuldades: Não teve.	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acompanho inúmeras crianças, desde antes da infusão do zolgensma e os benefícios são INEGÁVEIS. A qualidade de vida que o medicamento proporciona a essas crianças é enorme. Até mesmo em crianças maiores de 6 meses, como preconizado atualmente.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Após infusão, percebemos inúmeros benefícios. A infusão foi realizada quando a criança tinha 7 meses. Antes não sentava, não mexia, tinha muita sialorreia, choro fraco, tosse não eficaz, respiração paradoxal, alimentação via sonda. Após a administração do medicamento, foram inúmeros os ganhos, senta sem apoio, melhoria da função motora e respiratória, fala alto, tosse mais eficaz, alimentação via oral, dentre outros benefícios observados., Negativo e dificuldades: Não foram observadas dificuldades devido ao medicamento. A dificuldade foi conseguir a medicação.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É fundamental para o desenvolvimento de pessoas com AME	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Seria muito bom todos ter acesso a medicação meu filho não teve por ter descoberto a doença faltando apenas i dias para os dois anos	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Nusinersena , Positivo: Avanços motores em movimentos das pernas , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, QUANDO SE DESENVOLVE UM MEDICAMENTO É PARA USO DE TODOS ATÉ A ULTIMA CHANCE QUE RESULTE PARA UMA MELHOR QUALIDADE DE VIDA.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acho que deve ser incorporado no SUS, pois assim teremos mais crianças com chance de uma vida e de qualidade melhor como toda criança merece e tem o direito de ter.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É dever do Estado promover e resguardar o direito à saúde e zelar pela dignidade da vida humana.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A doença não escolhe pessoas de uma determinada classe social, podendo atingir dos mais ricos aos mais pobres. Seguindo essa linha de raciocínio, pautando no princípio fundamental da dignidade da pessoa humana, presente na Constituição Federal, acho que deveria ser oferecido o tratamento a toda a população que enfrenta tal enfermidade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para que ocorra o tratamento precoce das crianças com AME	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O OA é um medicamento seguro e eficaz nos domínios motores, respiratórios e bulbares de forma prolongada, como revelam os estudos de longo prazo.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Terapia gênica com Onagemnogeno Abeparvoveque (Zolgensma) em 12 pacientes com atrofia muscular espinhal do tipo 1., Positivo e facilidades: O perfil de segurança foi ótimo, nenhum óbito ou evento adverso grave que indicasse internação hospitalar, ou plasmáfereze ou terapia dialítica. Todos os 12 pacientes que acompanhamos fizeram OA em outros hospitais e retornaram para o estado do Rio de Janeiro, tinham mais de 6 meses, muitos deles mais de 8,5 kg, e os resultados de eficácia motora foram marcantes: melhora da movimentação, ganho de marcos motores (sentar, ficar de pé, andar) e altas pontuações nas escalas HINE e CHOP INTEND., Negativo e dificuldades: Nenhuma dificuldade.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Temos experiência adicional com nusinersena e risdiplan., Positivo: Também possuem segurança e eficácia, de forma semelhante ao OA. , Negativo: Poucas dificuldades. Talvez, um pouco de irregularidade nos intervalos de administração do nusinersena em função de absenteísmo familiar.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Zolgensma muda o curso da doença, permite que interromper a doença e traz qualidade de vida para o paciente e precisa ser disponibilizado pelo SUS. É NECESSÁRIO QUE SEJA DISPONIBILIZADO PARA PACIENTES ATÉ 2 ANOS, porque o diagnóstico demora a ser feito.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O uso do medicamento em questão melhora muito a qualidade de vida dessas crianças, observa-se não só a evolução motora como também respiratória com menos internações devido á quadros agudos. Acredito que outras crianças até 2 anos também vão se beneficiar muito em receber a medicação uma vez que ainda estão em uma fase do desenvolvimento que tem muito a ganhar tanto em ganhos motores como em qualidade de vida. Ontem mesmo atendi uma menina de 6 anos que recebeu o Onasemnogeno abeparvoveque com 1 ano e 8 meses e teve ótimos ganhos apesar de já estar com outra medicação,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque , Positivo e facilidades: Como fisioterapeuta que aplica as escalas motoras que avaliam a evolução dos pacientes e também como profissional que tem contato com essas famílias tenho visto ótimos resultados com a aplicação do medicamento em questão mesmo em crianças maiores, dentro da faixa etária em questão e mesmo já estando em tratamento com outros medicamentos,, Negativo e dificuldades: Como fisioterapeuta não tive contato com resultados negativos ou dificuldades com o medicamento em avaliação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e Risdiplan, Positivo: Foram observadas evoluções motoras a partir do uso das medicações,, Negativo: A dificuldade seria o uso contínuo desses medicamentos o que depende da organização da família e estabilidade clínica do paciente,	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Relatório em Anexo	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgesma, Positivo e facilidades: Excelentes, Negativo e dificuldades: Não tivemos negativos	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza e Risdiplan, Positivo: Aumento de força, alcance de marcos motores, Negativo: Acesso	4ª - anexo	5ª - Anexo

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Inicialmente é importante levar em conta que não temos diagnóstico genético no SUS! A lei de ampliação da triagem neonatal, único exame disponível no SUS capaz de detectar a AME precocemente, embora tenha sido aprovada em 2020, ainda não foi efetivada. Assim, na maioria do país não há a possibilidade de realizar diagnóstico genético pelo SUS. Para além disso a dificuldade de encaminhamento a especialistas é absurdamente enorme, causando esperas longas e diagnósticos tardios, além de sofrimento e abandono aos pacientes e famílias. O medicamento em análise tem bula que indica o tratamento para crianças até 2 anos de idade, fornecer um tratamento que deve acontecer até o sétimo mês de vida em um país onde não há diagnóstico é o mesmo que não fornecer. O medicamento em questão demonstrou eficácia e segurança para sua indicação em bula e isso precisa ser considerado. Ademais, considerando o demandante neste caso, é perceptível que o diagnóstico não chega a tempo de solicitar o tratamento dentro dos critérios já incorporados.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Conheço e acompanho pacientes com AME famílias que tiveram acesso ao medicamento em avaliação, conheço e acompanho pacientes com AME e famílias que tiveram acesso a outras tecnologias, conheço e acompanho pacientes com AME e famílias que não tiveram acesso a nenhum tratamento, Positivo e facilidades: Os resultados positivos envolvem o alcance de marcos motores e desenvolvimento esperado, incluindo alimentar-se, mover-se, respirar sem auxílio, possibilitando uma infância mais digna e a probabilidade de um futuro saudável, Negativo e dificuldades: As dificuldades que presenciem estão ligadas a falta de conhecimento e capacitação de profissionais, dificuldades de entrega, acesso e acompanhamento do tratamento	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Tenho experiência com os demais tratamentos já incorporados, Nusinersena e Risdiplam, Positivo: Resultados positivos incluem ganho de força, alcance de marcos motores, melhor qualidade de vida, estabilização de progressão da doença, entre outros, Negativo: Os resultados negativos estão ligados a dificuldade de entrega, acesso e manutenção dos tratamentos, interrupções constantes, dificuldades no acompanhamento e descaso constante no compromisso da continuidade do tratamento pelos órgãos responsáveis.	4ª - Os estudos demonstram eficácia e segurança, com resultados visíveis em pacientes tratados em todo o mundo. Ganhos motores expressivos, ganhos na habilidade de deglutição permitindo que pacientes possam se alimentar por via natural e ganhos respiratórios, inclusive demonstrando pacientes que desenvolveriam o tipo mais grave da doença sem a necessidade do uso de ventilação ou qualquer suporte ventilatório, algo absolutamente impensável para uma doença rara, progressiva, degenerativa, que ainda representa a segunda maior causa de óbito genético em crianças até 2 anos de idade.	5ª - Os estudos econômicos apresentados no relatório parecem incoerentes. Se o tratamento em questão é com dose única não há como ser mais caro que um tratamento que deve ser fornecido ao longo da vida. Os dados demonstrados não parecem alinhados com a proposta econômica do laboratório responsável pela tecnologia e com o próprio acordo de compartilhamento de risco já discutido. Para além disso, sendo o demandante nesta situação, o STJ, deve-se considerar que o custo da judicialização é muito maior que o da incorporação, sendo notável que os critérios aplicados na atualidade inviabilizam o acesso dos pacientes. É necessário que as análises econômicas sejam realizadas com maior rigor e coerência e que os relatórios sejam menos confusos que os relatórios apresentados pela CONITEC.
Paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tenho AME tipo 3. Acredito que a incorporação deste medicamento seja de fundamental importância.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, ACREDITO QUE NÃO DEVEMOS ESPERAR QUANDO PODEMOS RESOLVER UM PROBLEMA NO INICIO, AFINAL, MUITA DAS VEZES NÃO DA TEMPO., VAMOS FAZER O POSSIVEL PARA HONRAR O PRINCIPIO DO DIREITO HUMANO QUE É ESTABELECIDO. , DEVER DO ESTADO E UM DIREITO NOSSO. VIVA O SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eu fui diagnosticado com AME III e apartir disso entrei via judicial para obter o farmaco Nusinersena (Spinraza), foi concedido, foi realizado três aplicações até que o Juiz decidiu que o medicamento não seria mais para mim., Assim que foi aplicado a primeira dose do farmaco nusinersena (Spinraza) foi possivel notar diferenças no caminhar, uma facilidade de movimento, mais resistencia e menos cansaço, notei tambem diferenças nas juntas, pois antes tinha uma sensação de corpo duro e travado e com o farmaco eu me senti mais leve (como se meu corpo tivesse com oleo) com as demais aplicações foi possivel notar melhorias no corpo, agilidade, ganho de resistencia, outras melhorias foi relacionada a esperança de vida. UMA QUALIDADE DE VIDA, Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: A criança, após tratamento com a terapia gênica, atingiu marcos motores antes não atingidos com a terapia prévia e melhora significativa da função bulbar, com independência de ventilação mecânica e com capacidade de deglutição de líquidos finos ao longo do tempo. Após 2 anos da aplicação, continuou evoluindo e não apresentou perda motora. , Negativo e dificuldades: Dificuldades relacionadas ao acesso da medicação. Os cuidados pós infusão são importantes e exigem atenção e equipe multidisciplinar.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Ridisplam e nusinersena, Positivo: Ganhos motores, porém baixa atuação na melhora da função bulbar., Negativo: Não houve grande evolução da função bulbar. Dificuldade de aplicação de nusinersena em pacientes com escoliose grave.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pra dar uma qualidade de vida melhor pra essas crianças	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Considerando; - A natureza neurodegenerativa e progressiva da doença, , - As necessidades não atendidas ainda presentes para os pacientes de AME 5q na faixa etária analisada, , - O objetivo do tratamento que consiste em estabilizar e interromper a progressão da doença, , - A efetividade e segurança da terapia, exaustivamente comprovadas na literatura através de estudos de fase IIb, IV, observacionais e revisões sistemáticas com meta-análise, , - O perfil de segurança da terapia que é monitorado periodicamente pela ANVISA, , - A custo-efetividade e impacto orçamentário que estão equivocados e devem ser recalculados levando em conta o fato de que onasemnogeno abeparvoveque é uma terapia de dose única e que seu pagamento será realizado em modelo de financiamento baseado em desfechos e parcelas, e a efetividade incremental superior frente as outras terapias, , - A recomendação positiva da Academia Brasileira de Neurologia sobre onasemnogeno abeparvoveque como opção terapêutica para pacientes com AME Tipos I e II até os dois anos de idade, , Declaro estar em desacordo com a recomendação preliminar desfavorável da CONITEC e declaro posicionamento favorável e positivo para a ampliação do uso de onasemnogeno abeparvoveque para pacientes até os dois anos de idade com mutações bialélicas no gene SMN1 e presença de até 3 cópias do gene SMN2.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - A efetividade e segurança de Zolgensma em pacientes de 7 a 24 meses com presença de mutações bialélicas do gene SMN1 e até 3 cópias do gene SMN2 é exaustivamente comprovada na literatura através de estudos fase I/II, III, IIIb, IV e observacionais, incluindo dados de população brasileira. , Esses estudos demonstram melhoras significativas em diversos aspectos clínicos tanto em pacientes naïve de tratamento quanto aqueles que fizeram a migração de outras terapias para onasemnogeno abeparvoveque, com incrementos observados nos desfechos de função motora (CHOP-INTEND, HFMSE e RULM), alcance de novos marcos motores nunca observados na história natural da doença, melhora de parâmetros ventilatórios (como redução no tempo de ventilação não-invasiva e independência de ventilação) e função bulbar (incluindo melhora de deglutição, sialorreia e independência de suporte nutricional). O perfil de segurança do tratamento nesses estudos se manteve consistente com o que já foi reportado nos estudos clínicos prévios da terapia, com eventos adversos previsíveis e manejáveis dentro de um plano de monitoramento adequado do paciente pré e pós-infusão (Saute JA et al., 2025, Weiß et al., 2024, Mendonça RH et al., 2024, McMillan H et al., 2024, Servais L et al., 2024, Pane M et al., 2023, Gowda V et al., 2023).,	5ª - Parece ter havido equívoco importante na análise de custo-efetividade considerando que, na avaliação de outras terapias, o horizonte de vida utilizado para cálculo da razão de custo-efetividade incremental foi muito superior a 20 anos. Além disso, é importante reforçar que existe uma diferença significativa na taxa de sobrevida dos pacientes que fazem uso de nusinersena, o que leva a uma interpretação incorreta que essa terapia apresentaria um menor custo para o sistema de saúde, isso é implicação direta de uma falta de eficácia da terapia em garantir a sobrevida dos pacientes e não devido a um incremento de efetividade. Uma terapia de dose única, em comparação com terapias de uso crônico, apresenta custo-efetividade superior no horizonte de tempo maior, com incremento de efetividade comprovado pela literatura clínica., Do ponto de vista de impacto orçamentário, é necessário levar em consideração o pagamento em parcelas ao longo da projeção de cinco anos, visto que a proposta envolve a ampliação do acordo de acesso gerenciado atualmente vigente para a terapia na faixa de 0-6 meses de idade. O custo do impacto orçamentário no horizonte analisado

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
					precisa ser reanalisado considerando o parcelamento do pagamento e não considerando o pagamento em parcela única para cada paciente que recebeu a terapia a cada ano da projeção. Importante destacar que a durabilidade da terapia gênica com onasemnogeno abeparvoveque é comprovada por até 10 anos pós-infusão, por conta de seu mecanismo de ação inovador.,
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que o medicamento para tratamento da AME tipo 2 deve ser incorporado pelo SUS, pois ele representa uma grande esperança para melhorar a qualidade de vida e a sobrevida das pessoas que convivem com essa doença rara e degenerativa. O acesso a esse tratamento ainda é muito limitado no Brasil devido ao alto custo, o que torna essencial a inclusão pelo sistema público., , A AME é uma condição grave e progressiva, e o tratamento precoce é fundamental para preservar funções motoras, reduzir complicações e permitir mais independência e dignidade aos pacientes. Garantir que o medicamento esteja disponível no SUS é uma questão de equidade e justiça social, assegurando que todas as pessoas, independentemente da condição financeira, tenham acesso ao melhor tratamento possível.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho muito importante a implementação dessa medicamento para as crianças até 2 anos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - X	5ª - X
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acompanhei diversos casos nas redes sociais, a bula diz até os 2 anos, então deve ser permitido até está idade	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A ampliação da incorporação do Zolgensma® ao SUS para pacientes com AME de 7 a 24 meses de idade é uma medida tecnicamente fundamentada e tem o potencial de ampliar o acesso e melhorar os desfechos e qualidade de vida dos pacientes. Desde a incorporação inicial para crianças até 6 meses, novas evidências clínicas e dados de mundo real reforçam a eficácia e a segurança do Zolgensma® também para a faixa etária ampliada. Estudos multicêntricos, nacionais e internacionais, incluindo dados brasileiros, demonstram ganhos motores e respiratórios superiores aos observados com terapias alternativas, além de perfil de segurança previsível e manejável., Além disso, o Zolgensma® apresenta benefícios relevantes em sobrevida e qualidade de vida, com taxa de sobrevida de até 95% e redução significativa da necessidade de ventilação permanente. Assim, além das evidências clínicas, o tratamento de dose única também representa uma alternativa inovadora frente às opções de uso contínuo disponíveis atualmente no SUS., Do ponto de vista operacional, o SUS já dispõe da infraestrutura necessária para a infusão e acompanhamento dos pacientes, e a ampliação da faixa etária não demanda alterações estruturais significativas., Uma análise econômica mais acurada mostra que o Zolgensma® é dominante em relação ao risdiplam e apresenta razão de custo-efetividade incremental inferior à dos tratamentos já incorporados, além de um impacto orçamentário potencialmente menor do que o estimado originalmente pela CONITEC, especialmente considerando o modelo de compartilhamento de risco já vigente., Negar a ampliação dessa incorporação perpetua uma situação de inequidade terapêutica, excluindo pacientes que podem se beneficiar da terapia. Portanto, a incorporação do Zolgensma® para essa população está alinhada com os princípios de integralidade, equidade e universalidade do SUS, e representa uma decisão racional, baseada em evidências clínicas, econômicas e sociais.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É uma esperança de uma vida digna, de independência motora	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim, como paciente, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como paciente, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento já está incorporado ao SUS, entretanto os bebês com AME muitas vezes só conseguem o diagnóstico e a indicação do uso do medicamento após os 6 meses. Destacando-se que se trata de um doença FATAL, o prazo deveria se estender para além dos 6 meses, para que essas crianças tenham a chance de receber o medicamento em tempo de mudar o prognóstico sombrio ao qual elas estão destinadas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - O onasemnogeno abeparvoveque, uma terapia gênica baseada no sorotipo 9 do vírus adeno-associado recombinante (AAV9), é de uso único, acarretando menores chances de intercorrências clínicas devido internações hospitalares.	5ª - A medicação é de uso único, diferente das outras disponíveis.
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ajuda a salvar vidas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Apesar do alto custo inicial no onasemnogene ele vira economia qdo observado a longo prazo pois os pacientes vao melhorando, adquirindo autonomia. Necessitando cada vez de menos suporte ou a necessidade de outros medicamentos. Além de tornarem-se cidadãos ativos e funcionais. Isso fora a questão humano pois é desumano negar oportunidade de tratamento pra uma patologia tratável.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Onasemnogene abeparvovec, Positivo e facilidades: Minha filha tinha perdido todos os movimentos do corpo, se alimentava por sonda nasogastrica e respirava com ajuda de aparelhos. Atualmente apos quase 4 anos da medicação se alimenta 100% via oral, usa ventilação apenas para sonos longos e anda com apoio, Negativo e dificuldades: Apenas resultados positivos	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Evrysdi e nusinesena, Positivo: Ganhos motores, Negativo: Alto custo, uso periódico, necessidade de centro cirúrgico ou equipamento da refrigeração.	4ª - Ja estamos participando de estudos do ministério da saude	5ª - Ja estamos participando de estudos do ministério da saude
Organização da Sociedade Civil 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, VIDE CONTRIBUIÇÃO EM ANEXO	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: ZOLGENSMA, Positivo e facilidades: VIDE CONTRIBUIÇÃO EM ANEXO, Negativo e dificuldades: VIDE CONTRIBUIÇÃO EM ANEXO	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: VIDE CONTRIBUIÇÃO EM ANEXO, Positivo: VIDE CONTRIBUIÇÃO EM ANEXO, Negativo: VIDE CONTRIBUIÇÃO EM ANEXO	4ª - SIM, VIDE CONTRIBUIÇÃO EM ANEXO	5ª - SIM, VIDE CONTRIBUIÇÃO EM ANEXO

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou um homem adulto com Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo 3. Vivi mais de 30 anos sem acesso a nenhum tratamento que atuasse diretamente na causa da minha doença. Cresci enfrentando perdas progressivas, limitações cada vez maiores e uma realidade imposta pela ausência de alternativas terapêuticas eficazes., Comecei a usar o Nusinersena aos 30 anos. E só então experimentei algo que até então era inédito para mim: estabilidade, ganhos, progresso. Pela primeira vez, o tratamento não era apenas sobre frear a piora — era sobre reconquistar movimentos, recuperar autonomia, respirar com mais esperança., Essa mudança foi real, significativa e profunda. Mas também foi tardia., Não deixo de pensar no que teria sido da minha vida se eu tivesse recebido um tratamento ainda na infância. Talvez eu não precisasse de uma cadeira de rodas para tarefas simples. Talvez eu tivesse mais independência, mais liberdade. Talvez hoje eu tivesse menos cicatrizes, físicas e emocionais., É por isso que não posso me calar quando vejo que hoje existe um tratamento revolucionário como o Onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma), capaz de transformar a trajetória de crianças com AME tipo 5q até dois anos de idade, e que ele ainda não está disponível no SUS., Zolgensma é mais do que um medicamento. É uma chance. É tempo ganho. É vida preservada. Ele age na raiz da doença, oferece resultados clínicos impressionantes e, quando administrado precocemente, pode evitar perdas motoras graves e irreversíveis., Negar esse tratamento às crianças brasileiras é, com todo respeito, condená-las a um futuro de limitações evitáveis. É repetir com elas o que vivi, um caminho repleto de obstáculos que poderiam ter sido superados com a intervenção certa, no momento certo., Sabemos que a AME não espera. Cada dia sem tratamento pode significar a perda de movimentos que jamais serão recuperados. Por isso, a janela de oportunidade é curta, mas os impactos de tratá-las cedo são duradouros e profundos., Zolgensma no SUS, Já!	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Nusinersena., Positivo: Sou um homem com Atrofia Muscular Espinhal tipo 3 e comecei o tratamento com o Nusinersena aos 30 anos. Antes disso, vivi décadas enfrentando a progressão lenta e implacável da AME, mesmo com fisioterapia diária, disciplina e força de vontade. Por mais que eu me dedicasse, o tratamento era sempre focado em tentar conter as perdas, já que a doença avançava, e eu perdia função motora ano após ano., , Quando iniciei o uso do Nusinersena, minha realidade começou a mudar. A partir de então, conseguimos deixar de lado, ao menos em parte, o foco exclusivo na contenção da perda funcional e passamos a trabalhar com perspectiva de ganho. Isso foi inédito para mim. Com o tratamento, ganhei mais força, mais autonomia e, principalmente, mais esperança., , No entanto, não deixo de pensar no que minha vida teria sido se eu tivesse tido acesso a um tratamento eficaz na infância. Se eu tivesse recebido uma terapia como o Onasemnogeno abeparvoveque nos meus primeiros anos de vida, o curso da minha história poderia ter sido completamente diferente. Talvez hoje eu tivesse mais independência, talvez eu tivesse evitado muitas das limitações que me acompanham diariamente., , Por isso, sou totalmente a favor da incorporação do Onasemnogeno abeparvoveque ao SUS para crianças com AME tipo 5q com menos de dois anos. A ciência já mostrou que quanto mais cedo o tratamento começa, melhores são os resultados. Essa é uma janela crítica que não pode ser perdida. O tempo é crucial para quem nasce com AME, cada mês sem tratamento pode significar perdas irreversíveis., , Sei por experiência própria o que é crescer sem ter acesso a uma terapia que atue na causa da doença. E sei o quanto isso pode limitar sonhos, planos, possibilidades. Nenhuma criança deveria ter que passar por isso quando já temos uma alternativa real e eficaz. A vida dessas crianças pode ser completamente diferente se o tratamento chegar a tempo. E isso deve ser um direito garantido., Negativo: Nenhum. Só tive efeitos positivos. O que me dói é não ter podido iniciar um tratamento na infância, isso me fez perder muito.	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "Detecção da ""falha"" genética no nascimento seria ideal, assim pós confirmação, rápida infusão do ZOLGENSMA, seria o ideal, não haveria perdas para o recém nascido, evitando muitas horas de idas ao médicos/hospitais e fisioterapeutas"	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: RIDISPLAN (EVRYSDI) E ZOLGENSMAN, Positivo e facilidades: Enquanto aprovação do Tratamento Genético ZOLGENSMA, utilização diariamente do RIDISPLAN, percebe-se retomada de movimentos muito sutilmente, no entanto pós tratamento com ZOLGENSMA, percebe-se uma evolução gradual e constante nos movimentos e uma alguma recuperação de movimentos perdidos. , Negativo e dificuldades: Custos dos Medicamentos com Judicialização para poder prover o mais rápido, demora na aprovação, esta falha genética a cada dia significa uma perda.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: SPINRAZA, mostra avanço graduais, e todos os tipos de fisioterapias que devem ser aplicadas para conseguir neutralizar e recuperar movimentos, antes ou depois da aplicação do medicamento., Positivo: "Avanço gradual, mais sua aplicação é muito ""desgastante e sofrida"" para as crianças ", Negativo: Desgaste emocional das crianças	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ame é uma doença rápida, silenciosa, mas que quanto antes a medicação é dada melhores condições de vida e saúde o paciente terá, reduzindo e muito as internações e até a morte.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Paralisação da evolução da doença, ganhos motores significativos, melhora em todos os aspectos para uma vida saudável., Negativo e dificuldades: Única coisa negativa é a dificuldade em se conseguir os medicamentos, a demora em começar o tratamento, mas depois de tomado foi só alegria.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: Melhora nos ganhos motores, Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho importante ser incorporado no sus essa medicação onde muitas crianças precisam ter acesso e não tem condições.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muitos não tem conhecimento e acesso ao exame que faz o diagnóstico, com isso , a maioria recebe o diagnóstico depois dos seis meses, e não conseguem receber o zolgesma, mesmo o teste que faz o diagnóstico não é ofertado no SUS, não se tem divulgação até mesmo com os profissionais sobre os procedimentos, isso dificulta, atrasa o acesso. Estender essa medicação até aos 2 anos e antes de tudo compensar o tempo que foi perdido e dar-lhes uma nova chance.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgesma , Positivo e facilidades: Ganho de massa muscular, mobilidade , estagnação da doença , Negativo e dificuldades: Não houve	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que esse medicamento ira dar uma qualidade de vida melhor para as crianças com ame,sendo assim se faz necessário o SUS ofertar.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O zolgensma deve ser incorporado ao SUS em razão de sua extrema importância no tratamento para bebês e crianças os quais nascem com condição em que a atrofia muscular espinhal os acometem impedindo dessa forma o desenvolvimento da criança, portanto considero como importante haja vista muitas famílias não terem condições de arcar com esse tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Sistema Humanitário e único de saúde deve atender a todos os tipos de procedimentos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As melhoras motoras e respiratórias são visíveis nas crianças que receberam o zolgensma, mesmo naquelas que receberam o medicamento acima de 6 meses, mostrando eficácia conforme o registro da bula de uso até os 2 anos. Ampliar o acesso é muito importante, pois hoje no Brasil ainda há atrasos no diagnóstico, limitando muito o acesso somente até os 6 meses.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Sou farmacêutica e acompanho várias crianças que utilizaram o zolgensma, e é notável a diferença após o uso, principalmente na movimentação de pernas, braços e troncos., Negativo e dificuldades: Efeitos colaterais já esperados como o aumento das enzimas hepáticas, mas que com o uso do corticoide voltou ao normal.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O ZOLGENSMA salva VIDAS.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: ÍSIS, HOJE ANDA! Ela recebeu o ZOLGENSMA com 9 meses de vida e atinge marcos motores, com evolução igual ou superior a outras crianças que receberam o medicamento até os 06 meses de vida! E eu posso provar!!! Ela não teria recebido a terapia gênica por esse parecer negando a tecnologia para crianças maiores de 06 meses! Me apavora que outras crianças, com plena possibilidade de ter essa qualidade de vida, percam essa chance! O medicamento é simplesmente revolucionário., Negativo e dificuldades: Não houve.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado porque é um medicamento eficaz mesmo em crianças com ame com mais de 6 meses de idade, sendo um medicamento de dose única, não precisamos de repetidas doses ao longo da vida	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: O meu paciente teve melhoras na parte respiratória e motora e ele só tomou o zolgensma com 1 ano e meio. Precisamos ampliar o acesso no SUS , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Enviaremos anexo pois há mais de 2000 caracteres	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Ganho de força global, Negativo e dificuldades: não tivemos	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza e Risdisplam, Positivo: Ganhos de força (inferior ao Zolgensma), Negativo: não tivemos	4ª - nao	5ª - nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Fundamental que seja disponibilizado para crianças acima de 6 meses, para garantir qualidade de vida, afinal a grande maioria das crianças recebem um diagnóstico tardio, uma vez que o teste do pezinho da maioria dos estados não contempla a pesquisa para AME. A medicação apresenta efeitos incríveis mesmo em crianças maiores de 6 meses. Não deve ser negado esse direito.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Muitos ganhos motores durante a infância, com melhoria da qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Não tive nenhuma experiência negativa.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplam e Spinraza., Positivo: Ganhos motores menos expressivos em comparação com o Zolgensma., Negativo: O Spinraza necessita de aplicação intratecal.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Zolgensma deve ser incorporado ao SUS por oferecer uma única aplicação capaz de interromper a progressão da AME, melhorando significativamente a força muscular, respiração e qualidade de vida das crianças, mesmo após os 6 meses de idade. É um tratamento que salva vidas e reduz custos futuros com internações e cuidados contínuos.,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, , Positivo e facilidades: O Zolgensma oferece benefícios significativos para crianças com atrofia muscular espinhal (AME), mesmo após os 6 meses de idade. Entre os principais pontos positivos estão:, • Interrupção da progressão da doença, preservando neurônios motores., • Melhora da força muscular e do controle de movimentos., • Aumento da capacidade respiratória e de deglutição, reduzindo complicações., • Maior independência funcional e qualidade de vida., • Aplicação única, com efeito duradouro ao corrigir o gene defeituoso responsável pela AME., , O Zolgensma oferece benefícios significativos para crianças com atrofia muscular espinhal (AME), mesmo após os 6 meses de idade. Entre os principais pontos positivos estão:, • Interrupção da progressão da doença, preservando neurônios motores., • Melhora da força muscular e do controle de movimentos., • Aumento da capacidade respiratória e de deglutição, reduzindo complicações., • Maior independência funcional e qualidade de vida., • Aplicação única, com efeito duradouro ao corrigir o gene defeituoso responsável pela AME., , , Negativo e dificuldades: não observei.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Carta completa com opinião em anexo. Em resumo, nosso posicionamento é favorável à incorporação do tratamento para todos os pacientes elegíveis, conforme a bula aprovada do medicamento pela ANVISA, incluindo aqueles com idade entre 7 e 24 meses.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: ganhos de função motora e respiratória, com tratamento em única infusão, Negativo e dificuldades: acesso limitado entre 6 e 24 meses	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: nusinersena, risdiplam, Positivo: ganhos de função motora e respiratória com administrações seriadas, Negativo: infusões intratecais a cada 4 meses e manejo de medicamento oral de uso diário	4ª - Em 2024, especialistas convidados pela Academia Brasileira de Neurologia, publicaram o “Consenso da Academia Brasileira de Neurologia para diagnóstico, aconselhamento genético e uso de terapias modificadoras na atrofia muscular espinhal 5q” (Zanoteli et al., 2024). O consenso concluiu que o tratamento de Terapia Gênica é considerado eficaz e que a relação risco-benefício é favorável para todos os pacientes AME tipo 1 e tipo 2 até 24 meses de idade. Nosso posicionamento, portanto, é favorável à incorporação do tratamento para todos os pacientes elegíveis, conforme a bula aprovada do medicamento pela ANVISA, incluindo aqueles com idade entre 7 e 24 meses.	5ª - não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento deveria ser amplamente ofertado independente da idade do paciente e o exame de rastreio deveria ser feito ao nascer já que é uma doença rara e com tratamento contínuo e nem todos possuem as mesmas qualidades e possibilidades de tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não enviar documentos pessoais	5ª - Não enviar documentos pessoais
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acompanho a história de um conhecido e vejo a nítida evolução da criança após uso do medicamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma., Positivo e facilidades: Força e agilidade na criança., Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento Zolgensma para pacientes com Atrofia Muscular Espinhal até o momento é disponibilizado no SUS para crianças até seis meses de idade, é um acesso limitado, muitos pacientes só recebem o diagnóstico após os seis meses, é de extrema necessidade ampliar o acesso até os dois anos de idade, para que mais pacientes possam utilizar o medicamento, e como a doença é progressiva quanto antes iniciar o tratamento melhor. Se continuar sendo apenas até os seis meses de idade muitas crianças serão prejudicadas, perderão a chance de tratarem de forma precocemente a doença. É essencial para o futuro das crianças com Atrofia muscular espinhal que a ampliação da medicação até os dois anos de idade aconteça.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para salvar vidas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, No anexo estamos adicionando os comentários	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Ganhos motores globais , Negativo e dificuldades: nao tivemos	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza e Risdiplam, Positivo: nao tivemos, Negativo: nao tivemos	4ª - No anexo estamos adicionando os comentários	5ª - No anexo estamos adicionando os comentários
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Conheci detalhes sobre a doença e a importância de ser administrado nas crianças assim que forem diagnosticadas. E pelo alto custo a vida de familiares viram totalmente. Por isso luto para que o sistema de saúde do nosso país ofereça em toda a faixa etária indicada pelo fabricante e não só até os 6 meses, pois muitos são diagnosticados após esse período.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, ZOLGENSMA precisa ser incorporado ao SUS para crianças diagnosticadas até os 2 anos de vida e não apenas até os 6 meses.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma (onasemnogeno abeparvoveque). , Positivo e facilidades: Inúmeros! Sou pai de uma criança com AME tipo 1 e, meu filho recebeu a medicação no final do mês de maio de 2025. Desde então, é outra criança! Muito mais forte, muito mais firme, respirando muito melhor, se alimentando muito melhor. muito mais controle de pescoço, mais estabilidade de tronco, mais força nos braços e pernas., Negativo e dificuldades: Nenhuma. Incrivelmente, nenhum resultado negativo.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza (Nusinersena)., Positivo: Resultados bem legais também. Observamos uma pausa na evolução da doença, porém, sem ganhos motores significativos. Nusinersena é importante para pausar os efeitos devastadores da AME, mas o ZOLGENSMA é FUNDAMENTAL para a evolução motora e muscular das crianças. É incrível a diferença!, Negativo: Nenhum.	4ª - Não.	5ª - Não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Atrofia Muscular Espinhal é uma doença degenerativa e progressiva, é fundamental iniciar o tratamento o quanto antes, é importante ampliar o uso do Zolgensma no SUS para pacientes até dois anos de idade, devido ser uma doença rara se torna muito mais difícil ter o diagnóstico com poucos meses de vida, ampliar o acesso vai proporcionar que muitas crianças até dois anos de idade façam uso do medicamento e dessa forma tenham uma grande qualidade de vida com os benefícios que a medicação produz.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Já passou da hora das famílias pararem de ser condenadas a perda de um filho. Crianças que não pediram pra ficarem meses sofrendo à espera de um processo judicial onde são humilhadas e perdem movimentos que talvez nunca podem ser recuperados com a demora dos processos para garantir o mínimo que é de direito do ser humano.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: ZOLGENSMA . , Positivo e facilidades: É UM REMÉDIO MILAGROSO, PAUSA A PROGRESSÃO DA DOENÇA. SALVOU A VIDA DO MEU FILHO E ELE TOMOU COM 8 MESES DE IDADE. ESSE MEDICAMENTO SALVA VIDAS. NÃO FAZ SENTIDO LIMITAR ATÉ 6 MESES DE IDADE E CONDENAR CRIANÇAS MAIORES. NA BULA ELE É VALIDO ATÉ 2 ANOS DE IDADE. MUITAS FAMÍLIAS DESCOBREM O DIAGNÓSTICO APÓS 6 MESESE E SÃO CONDENADAS A MORTE. , Negativo e dificuldades: NÃO OBTIVE RESULTADOS NEGATIVOS.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Sim, com SPINRAZA E RISDIPLAM, Positivo: Eles ajudaram meu filho até conseguir o zolgensma, eles agem no SMN2 diferente do Zolgensma que agem no SMN1. NÃO SÃO RESULTADOS IGUAIS , Negativo: Eles não foram capazes de mudar o destino do meu filho em relação ao Zolgensma. Meu filho mexia apenas os olhos, com o RISDIPLAM E SPINRAZA ele deixou de perder mais rápido os neurônios motores, mas mesmo assim ainda tinha perdas. Com o Zolgensma pausou completamente a progressão da doença e meu filho ganhou força, hoje meu filho anda e contraria prognósticos.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vai ajudar milhares de vidas e reduzir o custo para manutenção de cuidados em home care	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vai salvar milhares de vidas e contribuirá na redução de gastos com home care	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Tive um primo com ame tipo I que faleceu por falta de acesso a este tratamento , Positivo e facilidades: Melhora da qualidade de vida e barrou a evolução da doença, em crianças que receberam o tratamento , Negativo e dificuldades: Custo alto pra ter acesso ao tratamento	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, DEVE SIM SER INCORPORADO NO SUS. NÃO FAZ SENTIDO A BULA DO MEDICAMENTO SER ATÉ 2 ANOS DE IDADE E ESTAR LIBERADO APENAS PARA ATÉ 6 MESES DE IDADE. ESTÃO CONDENANDO AS CRIANÇAS.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: ZOLGENSMA , Positivo e facilidades: MUDOU A VIDA DO MEU FILHO, MEU FILHO HOJE ANDA E ANTES DISSO SOMENTE MEXIA OS OLHOS. A SUA AÇÃO É DIFERENTE DE QUALQUER OUTRO MEDICAMENTO PARA AME, SE NÃO FOSSE ISSO, MEU FILHO SERIA TOTALMENTE ACAMADO, ISSO SE AINDA ESTIVESSE VIVO. , Negativo e dificuldades: NÃO OBTIVE	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: SPINRAZA E RISDIPLAM, Positivo: AJUDOU MEU FILHO ATÉ CONSEGUIR O ZOLGENSMA. SÃO ÓTIMOS MEDICAMENTOS MAS AGEM DE FORMA DIFERENTE NO ORGANISMO DA CRIANÇA. , Negativo: SE MEU FILHO TIVESSE TOMADO SOMENTE ESSES 2 MEDICAMENTOS NÃO ESTARIA ANDANDO HOJE, COM CERTEZA ESTARIA ACAMADO POIS ELES AGEM NO SMN2 QUE É DIFERENTE DA FUNÇÃO DO SMN1	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "1. O INAME não concorda com a recomendação preliminar desfavorável à ampliação do acesso ao Zolgensma para pacientes menores de 2 anos (AME tipo I clínico ou até 3 cópias de SMN2). A posição contrária da Conitec no relatório preliminar baseou-se em: elevados valores de custo-efetividade, impacto orçamentário e preocupações de alocação de recursos, além do argumento de que já há opções terapêuticas no SUS. , 2. O INAME entende que essas conclusões são equivocadas por (i) avaliação clínica insuficiente do benefício coletivo, (ii) interpretação incorreta/limitada da heterogeneidade dos estudos, (iii) falhas metodológicas e de dados na AIO (Análise de Impacto Orçamentário) — em especial o uso inconsistente de preços e a assunção implícita de pagamento à vista, quando o ACR prevê pagamento parcelado com critérios de desempenho., 3. Conclusão: a Conitec deveria rever a recomendação preliminar e, ao rever a AIO com os ajustes citados, além de considerar negociações comerciais/ACR mais ambiciosas e estratégias de difusão equitativa, recomendar a ampliação do acesso do Zolgensma para pacientes menores de 2 anos nas condições propostas., O INAME entende que a ampliação do acesso ao Zolgensma é não apenas clinicamente justificável, mas também eticamente imperativa. Trata-se de oportunidade concreta de oferecer às crianças com AME uma alternativa terapêutica com potencial de transformação da trajetória da doença, reduzindo a carga assistencial e o sofrimento das famílias. No entanto, reconhece também a responsabilidade compartilhada pela sustentabilidade do sistema público de saúde. Por isso, o INAME enfatiza que a farmacêutica detentora da tecnologia deve sinalizar boa vontade e compromisso social, apresentando ao Ministério da Saúde uma proposta comercial mais agressiva, que contemple redução de preço e mecanismos de parcelamento e pagamento condicionados a resultados clínicos, de modo a viabilizar o acesso mais amplo sem comprometer a sustentabilidade financeira do SUS., "	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Nusinersena e risdiplam., Positivo: Interrupção da progressão da doença, aquisição de ganhos motores, melhora no volume de voz e na fala, dentre outros., Negativo: Nenhum.	4ª - "O Relatório Preliminar descreve múltiplos estudos — ensaios clínicos de fase 2/3 e uma série de estudos observacionais, revisões e acompanhamentos longos — que apontam benefícios clínicos relevantes do Zolgensma quando administrado em idade precoce (0–6 meses) e também ganhos relevantes em pacientes tratados entre 6 e 24 meses (a evidência é mais heterogênea para esse grupo). Os achados incluem aumento de sobrevida, aquisição de marcos motores (sustento cefálico, sentar, marcha em subgrupos) e melhora em desfechos respiratórios em muitos estudos., 3.2 Interpretação correta da heterogeneidade, A Conitec destacou heterogeneidade entre estudos (genética — cópias SMN2, pré-sintomático vs sintomático, tratamentos prévios com nusinersena/risdiplam, idades diversas). O INAME concorda que há heterogeneidade, mas isto é característica clínica real da AME — não falha metodológica que impeça expansão do acesso:., • A heterogeneidade reflete a vida real: pacientes raros têm trajetórias distintas, que implicam em resultados distintos com o tratamento, estudos observacionais ampliam a compreensão externa dos benefícios. Vários estudos mostraram ganhos funcionais e sobrevida em subgrupos tratados com mais de 6 meses, especialmente quando o tratamento é realizado antes da perda grave de função., • A heterogeneidade não é	5ª - "Falhas identificadas no relatório preliminar (síntese), 1. Preço do medicamento: o relatório apresenta (Quadro 5) o preço proposto pelo fabricante ao Ministério da Saúde de R\$ 6.203.205,89 (PMVG 0% menos desconto de 5,26%) como referência para a análise. , 2. Entretanto, a AIO (Análise de Impacto Orçamentário) e as tabelas consolidadas (Tabela 2, pgs. 49/50) consideraram o custo de Zolgensma com valor de R\$ 12.438.713,42 e resultaram em valores de impacto AGREGADOS que, segundo nossa leitura, foram tratados (na prática) como se o pagamento por paciente fosse integral de uma só vez — produzindo totais irreais e desproporcionalmente muito elevados. O ACR existente em vigor e o parcelamento com critérios de desempenho não foram integralmente refletidos na forma financeira usada para apresentar o impacto (i.e., não foi modelado o efeito do parcelamento do pagamento sobre o fluxo de caixa e sobre o impacto anual do SUS)., 3. Inconsistência de preços nas tabelas: além disso, a tabela de custos por paciente (Tabela 2, p.49) e valores da AIO mostram parâmetros que, lidos isoladamente, sugerem discordância entre o preço explicitado no Quadro 5 (p.24) e os

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				automaticamente um motivo para exclusão: exige análise granular (subgrupos) e vigilância pós-incorporação (monitoramento e coleta de dados no SUS). O ACR e os programas de monitoramento podem gerar evidências de mundo real (já é política adotada para a incorporação atual para menores de 6 meses). , 3.3 Consenso internacional, Outras agências internacionais de ATS têm recomendações menos restritivas do que a prática atual do SUS — algumas sinalizam favoravelmente a disponibilidade até 2 anos com acordos gerenciados. Isso sugere que a Conitec precisa avançar e se alinhar a práticas internacionais com salvaguardas administrativas e econômicas."	custos unitários efetivamente aplicados nas simulações. Em outras palavras: o relatório apresenta o preço correto no Quadro 5, mas a AIO parece ter operacionalizado o cálculo sem considerar corretamente o preço líquido correto e o cronograma de pagamento do ACR., Observação: essa leitura é baseada na verificação cruzada entre o Quadro 5 (preço unitário, pg. 24) e as notas e totais nas tabelas de AIO e nas premissas do ACR relatadas no documento. O INAME solicita que a Conitec esclareça publicamente qual valor unitário e qual forma de pagamento (fluxo) foram assumidos nas células do modelo AIO., "
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tratamento necessário e com custo extremamente inacessível, bebês que tem AME, e que tem acesso a medicação tem aumento no percentual de expectativa de crescer saudavelmente e com expectativa alta de sobrevivência.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

|

|

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O onasemnogeno abeparvoveque é uma medicação para aplicação em dose única, através de infusão intravenosa de acesso periférico. Notamos em nosso paciente um ganho muito rápido de função motora nos dias seguintes a administração do medicamento. Independe da continuidade de fornecimento de um tratamento para o paciente com atrofia muscular espinhal ao longo de todo o curso de vida do indivíduo. Foi muito interessante ouvir da mãe de um dos nossos pacientes que o medicamento oral atualmente em uso (ridisplam) não é simplesmente uma medicação que possa ser comprada na esquina a R\$70.000 por frasco no caso de uma decisão do governo de parar de comprar, além disso, ela nos lembra que cada dia sem ridisplam significa morte neuronal >>> ela se questionou quanto ao que seria de seu filho caso o mesmo parasse de chegar ao Brasil no caso de interrupção de cadeias de suprimento (como no caso de uma eventual nova pandemia).	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Trata-se de medicação para aplicação em dose única, através de infusão intravenosa de acesso periférico. Notamos em nosso paciente um ganho muito rápido de função motora nos dias seguintes a administração do medicamento. Independe da continuidade de fornecimento de um tratamento para o paciente com atrofia muscular espinhal ao longo de todo o curso de vida do indivíduo. Foi muito interessante ouvir da mãe de um dos nossos pacientes que o medicamento oral atualmente em uso (ridisplam) não é simplesmente uma medicação que possa ser comprada na esquina a R\$70.000 por frasco no caso de uma decisão do governo de parar de comprar, além disso, ela nos lembra que cada dia sem ridisplam significa morte neuronal >>> ela se questionou quanto ao que seria de seu filho caso o mesmo parasse de chegar ao Brasil no caso de interrupção de cadeias de suprimento (como no caso de uma eventual nova pandemia).	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Ridisplam, Positivo: Efeito de interromper a progressão da doença - contanto que seu uso seja continuado., Negativo: Necessidade de uso diário.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ao longo de minha jornada profissional que hoje completam 12 anos na assistência a esses, pacientes com atrofia muscular espinhal mesmo quando não havia nenhuma terapêutica, medicamentosa, venho declarar minha opinião favorável a obtenção da terapia genica, com, nome comercial de zolgensma para todos os pacientes com AME tipo 1 até 2 anos de idade, como bula aprovada pela Anvisa para o Brasil. Posso declarar que 100% dos meus, pacientes tomaram após 6 meses de vida até 2 anos e tiveram resultados extremamente, positivos e continuam em ascensão de ganhos motores e respiratórios. Acompanho esses, ganhos através de testes específicos e escalas motoras validadas para essa população,, onde nos trazem certeza dos resultados promissores.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Resultados excepcionais em todos os pacientes tratados , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Spinraza, Ridisplam, Positivo: Ganhos de movimentação ativa anti gravitacional. , Negativo:	4ª - Há pouco mais de uma década nenhum medicamento existia para tratamento desses, pacientes, acompanhei diversos pacientes com ame na história natural da doença,, insuficiência ventilatória e óbito. Anos após iniciou-se a chegada de medicamentos, modificadores dos fenótipos e hoje temos a terapia gênica padrão ouro para tratamento dos, pacientes, infelizmente há o limite para infusão, 6 meses a solicitação via MS e até 7 meses, para infusão via SUS, mas a maior questão é que no Brasil ainda não é realidade o, diagnóstico genérico pelo teste do pezinho, e o acesso ao diagnóstico passa por diversas, barreiras, muitas vezes esses pacientes não chegam com diagnóstico fechado na janela de, oportunidade do zolgensma	5ª - Alguns estudos já nos demonstram uma análise de corte dos pacientes com muitos, resultados positivos e com mudança real da história natural da doença.



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, toda criança merece ter acesso ao medicamento para ter uma qualidade de vida melhor	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: zolgesma meu sobrinho tomou em 2023, Positivo e facilidades: melhor desenvolvimento e qualidade de vida, Negativo e dificuldades: o valor muito	3ª - Não	4ª - Não	5ª - ""Não enviar documentos pessoais""
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A ame é uma doença degenerativa, portanto qualquer medicamento eficaz deve ser incorporado ao Sus	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza , Positivo: Aumento de força, melhoras motoras e respiratórias , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Salve vidas!	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgesma , Positivo e facilidades: Por favor liberar para todas as idades necessárias., Negativo e dificuldades: Resultado negativo é não esta disponível para quem precisa, pois esse medicamento é muito caro.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zopidem, Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgesman, Positivo e facilidades: Em toda melhora da pessoa , Negativo e dificuldades: Demora para aprovação do governo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgesma meu neto tomou em 2023, Positivo e facilidades: avanço na reabilitação e melhor qualidade de vida, Negativo e dificuldades: valor do medicamento	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Uma parte importante sobre a incorporação até dois anos é que com a falta da ampliação da triagem neonatal ampliada com acesso amplo a todos os nascidos, o tempo de detecção da AME não é tão rápido, fazendo que com as crianças percam a janela de oportunidades para a modificação do curso natural da doença. E não estender a oportunidade para crianças até dois anos realmente é um desequilíbrio à equidade. Como diz no relatório com até seis meses de idade, na data de solicitação do medicamento e idade máxima de sete meses na data de infusão do medicamento, extremamente difícil nesse pequeno prazo fazer-se cumprir.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma., Positivo e facilidades: "Como associação de pacientes, conheço alguns pacientes que tomaram o Zolgensma, e um ponto extremamente claro é que na sua totalidade de 5 pacientes apresentaram ganhos e um acompanhamento visível nas escalas motoras. Consigo ver a diferença entre meu filho que seguiu o curso natural da doença sem medicações, ame 1 com gastrostomia, traqueostomia e apenas com poucos movimentos de pernas(abrir e fechar) e mãos(abrir e fechar), sem sustentação de pescoço ou tronco. Tive a experiência com uma criança de 1 ano e 4 meses que tomou a medicação com 18 dias de nascido e uma vida muito próxima do dito ""normal"". Tenho um filme dele. ", Negativo e dificuldades: As famílias relataram vômitos e uma sobrecarga no fígado por um tempo.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Nusinersena, Risdiplam ., Positivo: Todas as três medicações trouxeram benefícios motores e respiratórios aos pacientes. O nusinersena para adultos vi a recuperação de movimentos das mãos, pés e pernas. O risdiplam em criança e adolescentes com melhorias, trazendo menos interações. , Negativo: As famílias relataram vômitos, mal-estar, dores de cabeça e uma sobrecarga no fígado por um tempo.	4ª - No relatório para a sociedade, não vi realmente os últimos estudos, o embasamento está em um número pequeno de amostras. Há estudos mais recentes, com mais pacientes e com análise de coorte ajustado.	5ª - Pelos pequenos cálculos que fizemos, creio que não foi utilizado o valor acordado no ACR, de menos de 6 milhões.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento mudou a vida da minha filha. Hoje ela anda, e realiza suas funções vitais com independência. Em poucos dias percebemos a diferença conforme diversos relatório da neuro, fisio, nota máxima no chop inted e hoje faltam 7 pontos para ser a nota máxima do Hamersmith (ambos são testes para avaliar a força muscular e o desenvolvimento motor em crianças com Atrofia Muscular Espinhal (AME).,	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Minha filha começou a levantar o braço, sustentar a cabeça na posição de bruços, engatinhar e andar. Ainda não uso nenhum suporte ventilatório nem GTT para se alimentar, ou seja, respira e come com independência, Negativo e dificuldades: Somente enjoo nos primeiros dias após a infusão	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: 4 doses de Spinranza (nusinersena), Positivo: Não deu para perceber diferença na condição de saúde da minha filha, Negativo: ter que fazer aplicação via intratecal, em centro cirúrgico dilacerava o nosso coração, pois há sempre risco no procedimento e ela chorava muito.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Só tenho observado evoluções na minha filha, penso que a aplicação em momento perto do nascimento trará mais benefícios ainda.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: recuperação de movimentos e força a ponto de engatinhar e andar, Negativo e dificuldades: não conseguimos observar, até o presente momento	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: como foi aplicada somente até a dose de ataque, não consegui observar clara evolução , Negativo: a questão da forma da aplicação, com injeção intratecal	4ª - Penso que a aplicação deve ser acompanhada e condicionada a terapias necessárias	5ª - creio que as terapias condicionadas aos pacientes talvez possa ser reduzidas ou mesmo desnecessárias com a aplicação nos primeiros momentos possíveis depois do parto.

I

1

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Muitos ganhos , Negativo e dificuldades: Não teve	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Incorporem ao SUS, nenhuma mãe merece passar por incertezas com relação a saúde um filho (a)	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O acesso é muito difícil e após o diagnóstico necessita que a intervenção seja rápida	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Este medicamento paralisou os danos da atrofia em meu sobrinho, Negativo e dificuldades: A dificuldade foi chegar ao medicamento mesmo, pois não houve colaterais de medicação	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Conforme estudos mais robustos. o uso da terapia Genica com Onasemnogene abeparvovec deveria ser disponível no SUS para pacientes abaixo de 2 anos pelo seu comprovado beneficio e recomendação em bula.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: onasemnogene abeparvovec, Positivo e facilidades: Beneficio clinico bem estabelecido por estudo clinicos robustos demonstrando melhora significativa nas escalas motoras, desenvolvimento, deglutição, ventilação, qualidade de vida e redução de mortalidade, Negativo e dificuldades: É uma medicação que envolve transferencia de vetor viral com gene modificado que requer experiência e manejo clinico adequado para monitorar possiveis eventos adversos associados à tecnologia, contudo o Beneficio clinico suplante o seu risco.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nursinersena e Risdiplam. Ambos utilizam outros mecanismos de ação para o tratamento da AME, Positivo: Nusinersen: Antisense oligonucleotide de administração intratecal Intratecal que modifica o splicing do gene SMN2, aumentando a produção da proteína funcional SMN. indicado para todas as formas de AME, contudo com necessidade de tratamento por toda a vida. requer aplicações regulares. Risdiplan: uso via oral para todas as formas de AME, necessidade de uso por toda a vida. , Negativo: Não há. è um medicamento já bem estebelecido e com protocolo de segurança aceitavel	4ª - Os dados do estudo OFELIA demonstram que crianças latino-americanas com AME acima de 6 meses também alcançam e mantêm marcos motores significativos após o uso do onasemnogene abeparvovec, com perfil de segurança comparável aos estudos anteriores. Esses achados reforçam a necessidade de disponibilizar o tratamento para pacientes acima de 6 meses, ampliando o acesso à terapia gênica em estágios mais tardios da doença. Até 2 anos	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho super importante porque muitas pessoas não te acesso ao medicamento e não tem condições financeiras	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Não tenho opinião formada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 21/10/2025	1ª - Não tenho opinião formada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Nós que tivemos diagnósticos antes do SUS iniciar as avaliações para a medicação sabemos o quanto é desesperador você ter conhecimento que existe um tratamento para seu filho e você não tem condições de fornecer por meios próprios. O SUS pode com a incorporação mudar a vida das pessoas que podem com a medicação ter uma qualidade de vida digna.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Aplicação do Onasemnogeno abeparvoveque na minha filha que tem AME tipo 2, Positivo e facilidades: Por conta da AME Tipo 2 diagnosticada com 18 meses de vida nossa filha não andava independente até os 2 anos quando recebeu a terapia gênica (Zolgensma). E logo após a medicação (14 dias) ela conseguiu desenvolver a força e equilíbrio nos membros inferiores suficiente para andar, e desde então só seguiu em evolução, onde hj tem uma vida muito próxima do normal, não sendo necessário apoios nem cadeiras de rodas que era um prognóstico praticamente inevitável, Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo, a medicação só trouxe evoluções.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza e Risdiplan, Positivo: Ambos trouxeram evoluções consideráveis, mas o Zolgensma realmente foi oq mudou a realidade da nossa filha, pois claramente com o Zolgensma ela aproesentou um pico de crescimento de força. , Negativo: Não teve resultados negativos, ambos fizeram ela ter algum tipo de ganho.	4ª - A escala Hammersmith é uma ferramenta que mostra de uma forma clara e técnica a análise motora dos pacientes com AME. E os dados apresentados nos relatórios da nossa filha mostra uma enorme evolução se comparado meses antes da medicação (dezembro/2021) onde tínhamos uma escala de 27/66. E nos dias de hoje, após com incríveis 52/66.	5ª - Por conta da medicação nossa filha não precisou de vários equipamentos e terapias que são prescritos para casos de AME com história natural de AME como Bipap, sondas, Home care e acompanhamentos de físicos respiratórios frequentes.
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muitos pacientes necessitam da medicação e nao tem acesso devido ao alto custo	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgesma,Ridisplan,spinraza, Positivo e facilidades: Melhoras significativas, no quadro motor e respiratório dos pacientes , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso, valores altos	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Spinraza, Positivo: Melhora do quadro dos pacientes , Negativo: Custo alto	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Considerando os benefícios da medicação e a indicação e bula do Onasemnogeno Abeparvoveque a atual incorporação do PCDT (< 6 meses) endereçou um perfil de paciente que é minoria no nosso sistema de saúde, uma vez que a triagem neonatal expandida para AME ainda não é uma realidade para o território nacional., Para o perfil de paciente (7 a 24 meses) podemos considerar em maioria pacientes: AME 1 e 2 com diagnóstico clínico, que estarão em tratamento por Terapia modificadora da doença (TMD) prévia por tempos variados. Sendo que estes pacientes costumam ter diagnóstico genético após os 6 meses de vida (Mendonça R.H et al. Arq. Neuro-Psiquiatr. 2024), Estudos robustos comprovaram o OA como uma medicação segura e eficaz para este perfil de pacientes, que incluíram diferentes genótipos e fenótipos e somam um grande número de pacientes (Gowda V. et al The Lancet Regional Health – Europe. 2024, Sauté J et al. The Lancet Regional Health. 2025 , Weiss C. et al. The Lancet Regional Health Europe. 2024, McMillan HJ. Neurology. 2025), Para exemplificar. Em dados de mundo real o OA se mostrou eficaz (motor, respiratório e bulbar) e seguro em pacientes com terapia prévia para os 3 perfis identificados (Weiss C. et al. The Lancet Regional Health Europe. 2024). E em relação ao seguimento de longo prazo, o OA é a única TMD com comprovação de sustentabilidade de eficácia e segurança de 10 anos (Waldrop M.A et al. 2025 MDA Clinical & Scientific Conference. 2025)., Devemos analisar a incorporação neste perfil de pacientes considerando o contexto atual do Brasil: história natural da doença, as medicações atualmente disponíveis e o perfil de pacientes incidentes e prevalentes para esta indicação. E a evolução destes pacientes a médio/longo prazo, onde complementarei o raciocínio nos anexos.,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno Abeparvoveque , Positivo e facilidades: Terapia de dose única, com eventos adversos relacionados à medicação: previsíveis, manejáveis, majoritariamente assintomáticos e limitados ao pós infusional de curto prazo. Terapia modificadora da doença com melhor resultado de eficácia para sobrevida livre de ventilação permanente comprovado em meta-análise (Chongmelaxme B. et al 2024). Desfechos de função motora, respiratória e bulbar nunca antes observados na história natural da doença comprovados em seguimento de 10 anos pós tratamento (Waldrop M.A et al. 2025 Muscular Dystrophy Association (MDA) Clinical & Scientific Conference, 16–19 March 2025, Dallas, TX, USA) , Negativo e dificuldades: Manejo e monitoramento de eventos adversos a curto prazo no período pós infusional, limitação de indicação por idade devido à dose peso dependente	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Conhecimento por estudo em relação as terapias: nusinersena e risdiplam, Positivo: Nusinersena: Primeira terapia modificadora da doença a ser comercializada e resultados de eficácia que diferem da história natural da doença em médio prazo, Risdiplam: Medicação de administração facilitada (via oral), com baixa incidência e gravidade de eventos adversos, resultados de eficácia que diferenciam da história natural da doença em médio prazo, Negativo: Ambas as terapias: uso vitalício pelo paciente assim como o risco de eventos adversos relacionados ao tratamento, evidências limitadas ao médio prazo (5 anos), Nusinersena: , - Administração via punção lombar/intratecal: Observado que 41 pacientes resultaram em 478 punções acumuladas em 3 anos, alta % de pacientes com eventos adversos pós punção com possibilidade de nova incidência a cada punção (29.5%) onde pode ser necessário: mais de uma punção (média de 2 tentativas para o sucesso da punção), o uso de sedação para o procedimento (36% das punções). Resultando em experiências desagradáveis para o paciente (dor e ansiedade), aumento a carga de trabalho dos profissionais de saúde devido ao volume de procedimentos e maior complexidade do procedimento (salas de infusão, anestesia, exames de imagem , insumos etc...)(Joggansen J. et al. Neuropediatrics 2021, Powell JC et al. Muscle and Nerve.2024) , - Efeito Wearing off: Efeito percebido por até 52% dos pacientes 1 mês antes da próxima dose da medicação que se manifesta com sintomas que impactam a: força global, força nos braços etc.. Podendo afetar as atividades diárias e qualidade de vida do paciente (Osmanovic A. et al. Brain Sci 2021), Risdiplam: , - Posologia diária e adesão à medicação: O uso da medicação com doses diárias implica em resultados dependentes da adesão do paciente à medicação em diferentes faixas etárias por ser uma medicação de uso vitalício. Foi observado que até 23,5% dos paciente de 6 a 12 anos podem ser não aderentes ao tratamento e nos casos de AME 2 os pacientes não aderentes aumentaram os custos em saúde por qualquer causa 16 vezes mais do que os pacientes aderentes. Porém o estudo considera aderente o paciente que está mais de 80% do tempo em uso da medicação, o que para uma doença neurodegenerativa como	4ª - As evidências que suportam a segurança e eficácia do Onasemnogeno Abeparvoveque (OA) já estão bem exploradas por estudos de fase IV, III e de mundo real (Weiss C. et al. The Lancet Regional Health Europe. 2024, McMillan HJ. Neurology. 2025). Os resultados de eficácia quando comparados indiretamente à história natural da doença ou às outras terapias disponíveis apresentam superioridade do OA, principalmente, no desfecho duro como a sobrevida livre de ventilação permanente (Chongmelaxme B. et al 2024)	5ª - Não se aplica

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
			a AME e uma medicação de posologia de uso diários deviam manter sempre 100% do tempo em adesão para não implicar em piores desfechos de eficácia (Patel A. et al. Orphanet J Rare Dis. 2024) ,		
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa incorporação é de extrema importância, pois devido ao seu alto custo, vidas são deixadas sem acesso ao tratamento. Além do custo, todo o processo é extremamente desgastante e moroso. Ele deve ser disponibilizado respeitando a idade mínima e máxima para o recebimento da dose, conforme indicação do fabricante.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Brasil deve ampliar o valor destinado ao SUS!!! O Sus muda Vidas, Muitos profissionais fazem o SUS, sabendo o que a população precisa, em cada bairro! Realmente através do SUS o impacyo populacional é muito maior!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A necessidade de se ampliar a liberação do uso no sustento de 6 meses para até 2 anos conforme bula	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Evolução motora e respiratória , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação vai atender a um número maior de crianças que não dispõem de outra opção terapêutica	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento foi aprovado pela Anvisa, ou seja é seguro, para criança até dois anos. O valor da medicação é extremamente alta, e a inclusão desse medicamento para outras crianças vai trazer a oportunidade de salvar a vida de mais anjinhos ÷	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento salva milhares de vida, porém o custo é muito caro	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A partir do momento que existe essa comodidade, esse medicamento tem que ser acessível a todos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim, como paciente, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Tive muitos ganhos apos a locação da medicação , Negativo e dificuldades: Não teve	3ª - Sim, como paciente, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza e zolgensma, Positivo e facilidades: Teve um salto enorme na evolução motora do paciente , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: Avanço na evolução motora, Negativo:	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhora significativa na qualidade de vida, respostas rápidas.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Rysdiplam e Zolgensma, Positivo e facilidades: Quando ela tomou o Zolgensma a vida mudou. Ela foi de não conseguir sustentar o anti-braço, para caminhar com ajuda de um andador, ou caminha sozinha encostando na parede ou móveis. Passou de sonda nasal para alimentação via oral, e teve alta da fonoaudiologista. Passou de VNI praticamente 24h por dia para VNI somente quando dorme. Outra vida., Negativo e dificuldades: Zolgensma a única coisa negativa foi tomar corticoide por 2 meses, mas sem alterações na saúde. Primeiro exame veio enzimas do fígado alteradas (menos de 50%) como indicado que aconteceria. E normalizou no segundo exame semanal.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplam e Spinraza, Positivo: O Risdiplam barrou a evolução da AME1 da minha filha, e já exibiu melhoras significativas. , Negativo: Resultado negativo do Spinraza é a pós aplicação pois é invasiva.	4ª - Minha filha foi de 11 pontos na escala motora CHOP INTEND para 34 pontos na escala HAMMERSMITH em menos de 6 meses.	5ª - N/A
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deveria ser incorporado a medicação de custo algo no. SUS. Para salva vidas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Dose única, freia imediatamente o avanço da doença é aplicado o mais breve possível permitirá uma vida praticamente normal à criança com AME	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Efeito imediato salvando a vida de minha neta. Hoje ela vem se desenvolvendo e começa a dar os primeiros passos, manter-se em pé e a cabeça. Esse resultado em menos de 1 ano, Negativo e dificuldades: Nemhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todos merecem são vidas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É essencial que essa medicação faça parte do SUS para oferecer melhor qualidade de vida e até salvar vidas de pacientes diagnosticados com AME	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ajudará muitos pais a não ficarem aflitos aguardando uma resposta para esta vacina	2ª - Não	3ª - Não	4ª - na	5ª - na
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento DEVE ser incorporado ao SUS de forma a facilitar a vida dos pacientes e famílias na busca por tratamento da AME. Devido à idade de diagnóstico, é muito fácil confundir algum desvio considerado padrão no desenvolvimento do bebê com sintomas da doença o que pode acarretar no diagnóstico após os 6 meses.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O uso deste medicamento está mudando a história natural da doença. Crianças que morreriam aos 2 anos de idade, com baixa qualidade de vida, várias internações e alta comorbidade, passam a apresentar desenvolvimento neuropsicomotor adequado, com melhor nutrição (capacidade plena de alimentação pela boca), melhor quadro respiratório e menor número de internações. Apesar do custo elevado da medicação, o custo com as internações e recursos necessários advindos da doença é elevado também. Sem contar a melhora na qualidade de vida da criança e de sua família.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Ganho funcional, pacientes ainda assintomáticos seguem com desenvolvimento neuropsicomotor dentro da normalidade. Os sintomáticos também apresentam ganhos motores, da parte respiratória e alimentar. A autorização para uso somente até 6 meses pode inviabilizar o uso da medicação por falta de tempo hábil no diagnóstico, já que não contamos com o teste de triagem neonatal para AME em nível público. Portanto, aumentar o tempo em que a criança pode iniciar o medicamento e obter benefícios., Negativo e dificuldades: Acesso à medicação quando o medicamento não era disponível no SUS. Tempo curto para iniciar a medicação, quando o medicamento foi aprovado para ser prescrito somente até o sexto mês de vida.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: nusinersena, Positivo: Nusinersena foi o primeiro medicamento liberado para uso pelo SUS. As melhorias foram semelhantes, sendo que em potencial um pouco menor que a terapia gênica com onasemnogeno abeparvoveque, Negativo: Dificuldade do acesso - aplicação intratecal	4ª - Somente dizer que o medicamento é eficaz e seguro.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Avanço motor , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Meu neto tomou o remédio e está tendo ótimos resultados	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho importantíssimo o tratamento o qto antes, faz total diferença na evolução da doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A definição de no máximo 2 anos encontra-se na bula do medicamento. A FDA liberou o seu uso até essa idade (<2 anos). Apesar da degeneração axonal já ter iniciado após os 6 meses, algumas crianças com até 2 anos, sem contraindicações (ventilação mecânica, hepatopatia, anticorpos contra o vetor viral), irão ter benefícios com o tratamento.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e risdiplan, Positivo: Sim. Melhora da pontuação nas escalas motoras, Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo o acesso a medicamentos para pessoas é valido, e quanto mais acessível ao público melhor!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Crianças com AME geralmente recebem diagnóstico tardiamente, não sendo mais possível receber o medicamento pelo SUS após os seis meses de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A terapia genica muda todo o prognóstico da doença. É qualidade de vida para as crianças e para a família. A evolução juntamente com as terapias muda todo o rumo da doença.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Meu filho tomou a medicação com 3 meses de vida, e qualidade de vida dele mudou completamente. A evolução dele é absurda após a infusão do medicamento. Ele senta, anda, come pela boca. Nunca usou sonda, gastro, gtt, nunca ficou internado por complicações respiratórias., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo ou dificuldade.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplan, Positivo: Parou a progresso da doença, mas não vimos grandes evoluções., Negativo: Nenhum resultado negativo.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Casa Hunter discorda da recomendação preliminar desfavorável e defende a incorporação do onasemnogeno abeparvoveque no SUS para crianças menores de 2 anos com AME 5q (SMN1 bialélico), incluindo AME tipo I e --3 cópias de SMN2 (pré-sintomáticos ou muito precoces). Propõe-se Acesso Gerenciado por Desfecho (AGD), Plano de Gestão de Risco (PGR) nacional e reavaliação em 36 meses., , Base técnico-científica (síntese): benefício maior quanto mais cedo, estudos e dados de mundo real mostram ganhos relevantes em sobrevida livre de ventilação e marcos motores, sobretudo em uso pré-sintomático/precocíssimo. Em idades mais avançadas, há heterogeneidade, não ausência de benefício. Evidências observacionais devem ser ponderadas no contexto de doenças raras., , Críticas ao relatório e ajustes propostos:, , Horizonte do modelo (20 anos) subestima benefício em doença progressiva ˆ usar --40–80 anos e análises de sensibilidade estruturadas., , Preço/pagamento ignoram parcelamento plurianual ˆ modelar parcelas e cenários com teto/volume e rebates., , AIO concentrado no ano 1 superestima gasto ˆ recalcular com parcelamento, teto, rebates e difusão conservadora., , Mistura de subgrupos dilui efeito ˆ fazer subanálises (tipo, idade/tempo de doença, ventilação) e priorizar pré-sintomáticos --6m., , Segurança: formalizar PGR nacional e farmacovigilância ativa., , PCDT: definir sequenciamento pós-terapia gênica, janelas de washout e vedar empilhamento de DMTs., , AGD proposto: pagamento 40/20/20/20 em 0/24/36/48 meses, condicionado a sobrevida livre de ventilação invasiva (12 e 24–48m), reembolso de parcelas vincendas em óbito/EA grave, teto anual + rebates, CRF nacional interoperável e auditoria independente., , Elegibilidade/priorização: <2 anos, SMN1 bialélico, (i) AME I, (ii) --3 SMN2. P1: pré-sintomáticos e --6m, P2: 7–12m (sem ventilação invasiva permanente), P3: 13–24m em exceção com critérios estritos. Integração com triagem neonatal para início rápido., , Conclusão: Incorporar com AGD + PGR + PCDT ajustad	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Sim. Contribuição técnica – evidências clínicas sobre onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma®) para AME 5q <2 anos, , Magnitude do benefício e tempo de início: quanto mais cedo, maior o efeito. Em pré-sintomáticos e lactentes muito precoces (--6 meses) observam-se ganhos superiores em sobrevida livre de ventilação e marcos motores (sentar sem apoio, deglutição preservada), com aumentos robustos em escalas CHOP-INTEND/HINE-2 e redução de internações., , Consistência entre estudos e vida real: resultados de ensaios são reproduzidos em coortes observacionais multicêntricas, com manutenção de benefícios no seguimento de médio prazo (--5 anos) e queda da necessidade de suporte ventilatório/alimentar em comparação à história natural., , Heterogeneidade clínica (não ausência de efeito): em crianças mais velhas/mais comprometidas há maior variabilidade, porém seguem-se ganhos clínicos relevantes (menos hospitalizações, estabilização respiratória). Preditores basais como idade, tempo de doença, cópias de SMN2, escore CHOP-INTEND e ventilação prévia modulam resposta — justificando estratificação por subgrupos., , Sequenciamento terapêutico: a evidência para empilhamento com outras DMTs (nusinersena/risdiplam) é limitada e heterogênea. Para segurança e interpretabilidade, sugerimos vedar uso concomitante, prever janelas de washout e	5ª - "Proposta de Acesso Gerenciado por Desfecho (AGD), Objetivo: mitigar incertezas clínicas e risco orçamentário preservando acesso precoce., • Pagamento escalonado: 40% / 20% / 20% / 20% em 0/24/36/48 meses., • Desfechos binários auditáveis:, (i) Sobrevida livre de ventilação invasiva permanente aos 12 meses, , (ii) Manutenção em 24/36/48 meses., • Proteção ao paciente: reembolso das parcelas vincendas em caso de óbito ou EA grave relacionado., • Teto & rebates: teto anual por coorte + rebates progressivos, desconto institucional ao SUS (abaixo da PMVG)., • Transparência e dados: CRF mínimo nacional interoperável (DATASUS/Vigipós), auditoria independente, dashboard público trimestral., , "

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				critérios restritos para resgate., , Segurança e manejo de risco: perfil conhecido, com elevação transitória de transaminases, trombocitopenia e raros casos de MAT. Recomendamos corticoterapia profilática conforme rótulo, painel laboratorial padronizado (TGO/TGP, bilirrubinas, TP/INR, hemograma/plaquetas, LDH, troponina, urina), avaliação respiratória, e cronograma nas semanas 1–8 e meses 3, 6, 12 e 24. Contraindicações/precauções hepáticas devem constar do PCDT., , Medidas para reduzir incertezas: implementar Acesso Gerenciado por Desfecho com endpoints binários auditáveis (sobrevivência livre de ventilação invasiva permanente em 12 meses e manutenção em 24–48 meses	

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Manifesto-me favorável à ampliação do uso do onasemnogeno abeparvoveque para pacientes com AME 5q, com mutações bialélicas no gene SMN1 e até três cópias de SMN2, com idade entre >6 e 24 meses., O medicamento é uma terapia gênica de dose única, já aprovado pela Anvisa para essa faixa etária, com robusto perfil de eficácia e segurança comprovado em estudos clínicos e dados de vida real. Os resultados mostram ganhos motores sustentados, redução de hospitalizações e sobrevida livre de ventilação. O perfil de segurança é previsível e manejável, com eventos adversos controláveis com corticoterapia profilática., Hoje o SUS oferece o tratamento apenas até 6 meses, criando uma lacuna de acesso para pacientes diagnosticados após essa idade. A ampliação representa um avanço decisivo em acesso equitativo e cuidado integral, garantindo que o tempo do diagnóstico não determine o acesso ao tratamento., Trata-se de uma medida que salva vidas, reduz desigualdades e fortalece a sustentabilidade do sistema público, refletindo o papel do Brasil como país comprometido com a ciência, a inovação e a dignidade humana.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Falo que tem que incorpora no sus para outras crianças terem oportunidade de qualidade de vida	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgesma. Meu neto tomou o medicamento e eata tendo melhora significativa, Positivo e facilidades: .Meu neto esta quaae andando sozinho ja, Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Redisplan mas nao da muitos resultadoa, Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma , Positivo e facilidades: Meu filho está evoluindo cada dia mais, Negativo e dificuldades: Acesso difícil	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É importante e Necessário que ampliem a incorporação desse medicamento no Sus para as crianças até 2 anos por que por ser uma doença conseguir o Diagnóstico com meses de Vida é difícil então até os 2 anos é melhor mais crianças serão alcançadas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Até 6 meses, como é atualmente o PCDT, as crianças só podem ter acesso a medicação se diagnóstico precoce, o que não é uma realidade do nosso sistema de saúde, cujo diagnóstico precoce ainda não é uma realidade.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgesma, Positivo e facilidades: Melhora da função motora avaliado por meio de escala e da condição respiratória. , Negativo e dificuldades: Demora na disponibilidade da medicação, o que implica em maior comprometimento dos pacientes, devido a perda progressiva da doença. .	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e risdiplan, Positivo: Melhora da função motora e estabilidade respiratória. , Negativo: Dificuldade do nusinersena para pacientes com escoliose e cirurgia de coluna, e para risdiplan, difícil controle, se está sendo medicado com a periodocidade adequada.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou cidadão interessado no tema da Atrofia Muscular Espinhal., Manifesto-me favorável à ampliação do uso do onasemnogeno abeparvoveque para crianças com AME tipo I entre 6 e 24 meses de idade., A terapia já está aprovada pela Anvisa até 24 meses e tem mudado a história natural da doença, permitindo que muitas crianças vivam, ganhem força, respirem melhor e tenham a esperança de um futuro digno. No entanto, no SUS, o tratamento foi incluído apenas até 6 meses, excluindo crianças que muitas vezes foram diagnosticadas tarde, simplesmente por demora no exame genético ou ausência de triagem neonatal., Essas famílias acabam enfrentando processos longos e dolorosos para conseguir acesso. Ampliar o tratamento é garantir não apenas um futuro, mas justiça, dignidade e igualdade de oportunidade a todos os pacientes com o mesmo diagnóstico genético., Além disso, se já existe um modelo de compartilhamento de risco para assegurar acompanhamento dos resultados e uso responsável dos recursos públicos, ampliar essa faixa etária dentro do mesmo modelo seria viável, seguro e humano., , Por isso, apoio integralmente a ampliação do uso dessa terapia, que representa uma chance real de vida e de autonomia para crianças com AME e suas famílias.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Venho por meio desta manifestar meu apoio à incorporação do medicamento onasemnogeno abeparvoveque ao Sistema Único de Saúde (SUS) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q em pacientes com até dois anos de idade.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgesma, Positivo e facilidades: Aumento nas pontuações de escalas motoras funcionais., Negativo e dificuldades: Não percebi resultados negativos.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Risdiplan e Nusinersena, Positivo: Aumento nas pontuações de escalas motoras funcionais., Negativo: Não percebi resultados negativos.	4ª - *Evidências científicas de eficácia e segurança*, , Diversos estudos recentes demonstram resultados clínicos positivos e sustentados com o uso da terapia gênica:, , •¿ ¿O estudo clínico fase 3 SMART (McMillan H et al., 2024) confirma ganhos significativos em funcionalidade motora e respiratória em pacientes naïve., •¿ ¿Evidência de mundo real brasileira (Mendonça RH et al., 2024) reforça a aplicabilidade e os benefícios em contexto nacional., •¿ ¿Estudos observacionais internacionais (Weiß et al., 2024, Pane M et al., 2023, Servais L et al., 2024) mostram consistência nos resultados, inclusive em pacientes que migraram de outras terapias (PONTE ou SWITCH)., , Os desfechos incluem:, , •¿ ¿Aumento nas pontuações de escalas funcionais (CHOP-INTEND, HFMSE, RULM), •¿ ¿Aquisição de marcos motores relevantes, •¿ ¿Redução na dependência de ventilação não-invasiva, •¿ ¿Melhora na função bulbar (deglutição, sialorreia, suporte nutricional),	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Defendo a ampliação do acesso ao Zolgensma no SUS para pacientes com AME 5q menores de 2 anos de idade com mutações bialélicas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - -x-	5ª - -x-
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, é importante uma vez que os diagnosticos para AME geralmente são efetivados depois dos seis meses de vida da criança, impossibilitando o SUS aprovar a medicação após essa idade	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Paciente menores de 2 anos e em uso da medicação avaliada, tem apresentado resultados promissores, tendo a oportunidade de apresentar melhores oportunidades de se desenvolver, de atingir marcos motores não esperados para o curso natural da doença. Isso não pode se restringir há apenas 6 meses de vida, visto que infelizmente ainda existe uma grande demora em chegar ao diagnóstico, o que impacta diretamente na possibilidade do paciente não receber o diagnóstico a tempo de poder receber a medicação. Além da demora do diagnóstico, existe a demora e burocracia no acesso ao medicamento. E ainda não foi implementado a triagem neonatal em todo Brasil, apenas em MG existe a triagem para AME. O que contribui diretamente para diagnósticos tardios.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Já tive experiência com Zolgensma que está em avaliação, além dos outros medicamentos nusinersena e risdiplam., Positivo e facilidades: Especificamente sobre Zolgensma em pacientes com menos de 2 anos, tive experiência em um paciente com AME tipo 1 que apresentou resultados positivos, melhorando significativamente os aspectos respiratórios, apresentando iniciativas de movimentos com as mãos, melhora de estabilização clínica de forma geral., Negativo e dificuldades: Paciente a qual tive experiência de atendimento não apresentou nenhum resultado negativo	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Nusinersena e Risdiplam, Positivo: Resultados positivos quanto a evoluções na parte motora e melhora da parte respiratória. Consequentemente proporcionando melhor qualidade de vida, diminuição de intercorrências., Negativo: Não é um resultado negativo, mas alguns pacientes necessitaram mudar o tratamento devido a necessidade de infusão intratecal do medicamento nusinersena, o que em alguns casos se tornou difícil de ser realizada.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por conta limitação de idade. Pois tem criança que é descoberta só depois dos 6 meses.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgesma, Positivo e facilidades: Melhora da força motora, estabilidade do quadro respiratório , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza e risdiplan , Positivo: Melhora da força e estabilidade do quadro clínico, Negativo: Convulsão, diarreia	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Um medicamento que veio pra transformar a vida e mudar o cenário da doença, é nítido quantas crianças hoje vivem melhor com a medicação, sem falar no como muitas crianças chegaram perto da “cura” por receber a medicação mais rápida.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Zolgesma , Positivo e facilidades: Deglutição, fala, resistência respiratória, melhor qualidade de vida, e forças em membros superiores e inferiores, Negativo e dificuldades: O nenhuma.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Spinrraza , Positivo: Ganho de forças. , Negativo: Nenhuma.	4ª - Nao	5ª - Nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Crianças precisam ser salvas!!! Se o Zolgensma for incorporado ao Sus, famílias não precisarão fazer vacina online, campanha, para conseguir arrecadar dinheiro pra entrar na justiça contra a União. É dever constitucional salvar vidas!!!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É de extrema importância que esse remédio tão caro e inacessível para as crianças com a doença AME passe a ser incorporada no SUS, pois é um remédio muito caro e que faz muita diferença no tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes com ame necessitam de mais medicamentos	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza e risdiplam , Positivo: Melhoras na parte motora e respiratória, e mais autonomia para o paciente , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É de extrema importância e urgência esse medicamento de alto custo ser fornecido pelo sus de forma mais simplificada para maior agilidade com o paciente	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Remédio que cura, melhora e revigora os movimentos.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Ganhou movimentos e tônus muscular., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento que muda o curso na doença na criança, evitando a progressão	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza , Positivo: Melhora no padrão respiratório, Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento de alto custo, a população precisa de acesso pelo SUS pois essa é uma doença fatal. Negar a implementação no SUS é o mesmo que negar o direito a vida dos pacientes.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: zolgensma, Positivo e facilidades: A paciente que recebeu apresenta evolução e melhora no quadro clínico. , Negativo e dificuldades: Não garante a cura da doença, mas trás qualidade e esperança de uma vida longa	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento que pretende curar a doença se administrado em tempo hábil, portanto com impacto importante sobre a vida dos pacientes com a doença.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Melhora clínica do paciente e redução de complicações infecciosas., Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Existem estudos clínicos que suportam a aplicação onasemnogeno abeparvoveque em lactentes acima de 6 meses com resultados consistentes nos ganhos motores grosseiros e finos. Ver: Weiß C, et al. fficacy and safety of gene therapy with onasemnogene abeparvovec in children with spinal muscular atrophy in the D-A-CH-region: a population-based observational study. Lancet Reg Health Eur. 2024	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Onasemnogeno abeparvoveque, Positivo e facilidades: Atendi uma criança que teve a administração do Onasemnogeno abeparvoveque judicialmente numa idade próxima de 15 meses. Observei estabilidade dos parâmetros do BIPAP, com melhora na quantidade de horas de uso. , Negativo e dificuldades: Nenhuma vista.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: nusinersena, Positivo: estabilização da progressão da doença, ganho de marcos motores grosseiros axiais, Negativo: limitação para aplicação intratecal como dificuldade para aplicação em alguns casos (poucos)	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As pessoas de baixa renda precisam ter acesso ao medicamento para melhora da sua saude	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É o preço de uma vida. Uma.cida inteira.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como Neurologista e profissional de saúde que trabalha com Atrofia Muscular Espinhal acredito que seja importante que todas as terapias disponíveis para o tratamento da doença estejam disponíveis pois: 1) esse seria um mecanismo de cobertura da heterogeneidade da doença (com todos os tratamentos disponíveis, os profissionais poderiam escolher o melhor perfil de paciente para cada terapia), 2) atender uma necessidade não atendida, por mais que dois tratamentos eficazes e seguros estejam disponíveis, infelizmente, não são todos os pacientes que respondem as duas terapias já incorporadas e aqueles que os tratamentos atuais não beneficiam poderiam ser beneficiados, 3) incentivar e acelerar o processo de novas tecnologias no âmbito do sistema público e diminuir a necessidade de processos judiciais para aquisição de terapias, 4) estabelecimento definitivo do perfil de eficácia e segurança do tratamento conforme a indicação de bula e assim teríamos dados brasileiros robustos sobre a segurança e eficácia da terapia na população em que ela foi est�, e destina a ser tratada, 5) fomentar o diagnóstico precoce da Atrofia Muscular Espinhal para que os pacientes brasileiros possam ser tratados cada vez mais precoce.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma (Onasemnogeno). Spinraza (Nusinersena). Evrysdi (Risdiplam)., Positivo e facilidades: Resultados positivos e facilidades: 1) possibilidade de tratamento com uma única dose de medicamento, 2) melhora clínica motora dos pacientes tratados, 3) melhora respiratória dos pacientes tratados, 4) aquisição de novos marcos motores do desenvolvimento pelos pacientes tratados, 5) aumento de sobrevida, 6) aumento da qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Resultados Negativos e dificuldades: 1) uma parcela dos pacientes tratados necessitam de tratamento com outra terapia (Risdiplam ou Nusinersena), ou seja, há um perfil de pacientes com resposta clínica sub ótima, 2) perfil de segurança, uma pequena proporção de pacientes podem apresentar eventos adversos importantes com o uso da terapia (por exemplo, microangiopatia trombótica) ou persistentes como aumento de transaminases requerendo tratamento prolongado com o uso de corticoesteroides, 3) a logística de envio e preparação do medicamento que exige centros especializados e altamente capacitados.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Spinraza (Nusinersena) e Evrysdi (Risdiplam), Positivo: 1) melhora clínica motora dos pacientes tratados, 2) melhora respiratória dos pacientes tratados, 3) aquisição de novos marcos motores do desenvolvimento pelos pacientes tratados em relação a história natural da doença, 4) aumento de sobrevida, 5) aumento da qualidade de vida., Negativo: 1) Acesso aos medicamentos. 2) Acesso aos centros especializados para acompanhamento e tratamento.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Resultados após uso mostram eficácia com melhora clínica e retardo progressão da doença e por ser medicamento de alto custo acredito ser importante ser acessível a todos com esse quadro	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgesma , Positivo e facilidades: Melhora função motora e de força muscular, redução da progressão doença e melhora função respiratoria , Negativo e dificuldades: Alterações hepáticas e portanto necessidades de uso corticoide a longo prazo do ponto de vista clinico	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É a esperança de várias pessoas	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: Evolução dos movimentos, equilíbrio e força, Negativo: A forma da aplicação	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O não uso desse medicamento implica morte. Acho fundamental que as crianças até os dois anos tenham acesso ao Zolgensma.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Manifesto apoio à incorporação do onasemnogeno abeparvoveque no Sistema Único de Saúde (SUS) para pacientes com até dois anos de idade e até três cópias do gene SMN2., A terapia gênica representa uma inovação significativa, com potencial de modificar o curso natural da doença ao fornecer uma cópia funcional do gene SMN1 por meio de dose única endovenosa. Evidências clínicas robustas, como os dados do estudo OFELIA (Saute et al., 2025), demonstram ganhos motores sustentados até 18 meses após a infusão, com marcos importantes como sentar e andar. Estudos nacionais (Mendonça et al., 2024) e internacionais (Pane et al., 2023, Gowda et al., 2023) reforçam a eficácia em diferentes faixas etárias e perfis clínicos, inclusive em pacientes previamente tratados.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Evidências clínicas demonstram eficácia significativa e sustentada do Onasemnogeno Abeparvovec. O estudo multicêntrico OFELIA (Saute et al., 2025) evidenciou ganhos motores relevantes nesse perfil de pacientes até 18 meses após a infusão, incluindo marcos como sentar e andar, com perfil de segurança compatível com a literatura internacional., Dados nacionais (Mendonça et al., 2024) confirmaram aumento médio de 13 pontos na escala CHOP-INTEND, inclusive em pacientes mais velhos e previamente tratados. Coortes europeias (Pane et al., 2023, Gowda et al., 2023) reforçaram a eficácia em diferentes faixas etárias e de peso, com benefícios clínicos observados mesmo após os dois anos de idade., O perfil de segurança é considerado previsível e manejável, com elevações transitórias de transaminases e raros eventos adversos graves mesmo em pacientes mais velhos e mais pesado (McMillan H et al., 2025). Há também evidências robustas de benefício em pacientes latino-americanos, com impacto positivo na sobrevida, na função motora e na autonomia ventilatória., Diante do exposto, o parecer técnico deveria ser avorável à incorporação do onasemnogeno abeparvoveque no Sistema Único de Saúde (SUS) para pacientes com até dois anos de idade, o que representaria um avanço significativo no tratamento da AME no Brasil.	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo e qualquer medicamento que oferece uma melhorada no quadro clínico do paciente ou que melhore a qualidade de vida do paciente deve ser ampliado o acesso a todos.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplan , Positivo e facilidades: Melhorias motoras nos membros superiores, sustentação do tronco, melhora na deglutição., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, recebendo este medicamento que é única dose tem mais ganhos e não precisa ficar tomando diariamente ou recebendo de 4 em 4 meses	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: spinraza, Positivo: ganho de força, capacidade respiratória, melhora deglutição, menos intercorrências e internações, Negativo: nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado no SUS, pois muitos necessitam deste tratamento para ter qualidade de vida. Todos têm direito à vida e negar, seria sentenciar a uma incerteza de viver.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporada e pode ajudar muitas crianças! A idade prevista pelo medicamento é até 24 meses	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Dose única e se tomado até 2 anos de idade, os resultados são muito favoráveis para boa evolução clinica, sem necessidade de associar outros medicamentos	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Risdiplan, Zolgensma, Nusinersena, Positivo e facilidades: Paciente pára de usar outra medicação. Dose unica garante barrar a evolução da doença. Melhora de marcos motores em pacientes sintomáticos até 2 anos., Negativo e dificuldades: As dificuldades estão associadas a atrasar o início da tomada da medicação. O paciente perde de ampliar marcos motores quando atrasa ou deixa de tomar a medicação	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Risdiplan, nusinersena, Positivo: Barra a evolução da doença, Negativo: custo mais alto inicial. Se usado com paciente mais velho que 2 anos , resultados não favoráveis.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do medicamento pelo.SUS permitiria uma melhor qualidade de vida para os pacientes diagnosticados com AME e garantiria o acesso justo ao medicamento.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Benefício clínico para pacientes que fizeram uso desta medicação com melhoria da qualidade de vida., Negativo e dificuldades: A dificuldade de acesso é, sem dúvidas, a principal dificuldade para pacientes portadores de AME. Por ser um tratamento caro, não é acessível a todos e a disponibilização via SUS seria de grande alívio para familiares.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa medicação facilitará o acesso às pessoas que precisam, permitindo o amplo acesso à qualidade de vida e ao sistema de saúde, diminuindo a estatística de pacientes em situações vulneráveis precisarem percorrer um caminho mais difícil para liberação do acesso deste medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Criança voltou com suas coordenações motoras, Negativo e dificuldades: dificuldade de acesso	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, tive uma amigo de infância que morreu de corrente da AME e hoje trabalho com um colega que tem ame, acredito que outras bebe possam ter uma vida melhor ao usar o medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação possibilidade a melhora na qualidade de vida de mais crianças. Desenvolvimento motor, sobrevida e redução do uso de ventilação para crianças de até 2 anos, atingindo uma população maior que a atual, onde somente bebês de até 6 meses são atendidos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - N/A	5ª - N/A
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é para crianças de ate 2 anos de idade, então elas têm direito ao medicamento que pode ser considerado a cura.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Risdiplam , Positivo: Melhora na função motora, respiração e deglutição , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa medicação tem mudado muitas vidas de crianças que antes dela não tinha ganho um motor nenhum, podemos dizer que essa medicação já salvou muitas vidas. Só que infelizmente os pais passam por muitas burocracias até conseguir o mesmo por isso minha opinião é que ela deve ser incorporada na rede SUS , para melhor acesso e rapidez da mesma . Pois o quanto antes essas crianças fazerem uso dessa medicação menores são as sequelas que a doença pode deixar.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Nusinersena / Zolgensma , Positivo e facilidades: Houve muita melhora motora e respiratória em específico após o Zolgensma , Negativo e dificuldades: Dificuldade em adquirir a medicação na justiça	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Nusinersena , Positivo: Na época teve uma melhora , mais usamos pouco tempo , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As crianças com AME merecem ter a chance de desenvolvimento pleno os ganhos são diários e constantes,	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Filho com AME 1 evolução desde primeira semana em uma ano e meio de uso está andando com andador e sozinho com apoio, redução de problemas respiratórios, melhora geral no desenvolvimento físico, força, tônus muscular, equilíbrio e vida quase normal em pouco tempo, frequenta escola regular, medicou por ordem judicial com dois anos e dois dias , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todos devem ter acesso, não só quem pode pagar	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 18/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como especialista atuante na linha de frente do atendimento a crianças com Atrofia Muscular Espinhal (AME), manifesto a necessidade de reavaliação da recomendação inicial da Conitec e a aprovação da incorporação do onasemnogene abeparvoveque ao Sistema Único de Saúde (SUS) para o tratamento de pacientes com até dois anos de idade portadores de mutações bialélicas no gene SMN1., Diante da gravidade e progressão acelerada da AME tipo 1, da janela terapêutica restrita e da ampla consistência das evidências clínicas, econômicas e bioéticas disponíveis, torna-se imperativo que o SUS disponibilize esta terapia gênica como opção terapêutica de primeira linha para essa população., O onasemnogene abeparvoveque representa uma intervenção de caráter transformador, capaz de modificar o curso natural da doença por meio de uma única administração, promovendo ganhos motores duradouros, redução da dependência ventilatória e melhora substancial na sobrevida e qualidade de vida dos pacientes., Sob o ponto de vista econômico, sua incorporação precoce é racional e sustentável, pois reduz expressivamente os custos cumulativos associados a internações prolongadas, suporte ventilatório, nutrição enteral e terapias contínuas. Assim, o investimento inicial é compensado pela diminuição dos gastos assistenciais e pela melhoria do prognóstico clínico., Negar o acesso a essa terapia é perpetuar o sofrimento de famílias e restringir a oportunidade de uma vida digna, funcional e autônoma a crianças acometidas por uma condição potencialmente tratável., Dessa forma, solicito respeitosamente que a Conitec reconsidere sua posição e autorize a incorporação do onasemnogene abeparvoveque (Zolgensma) ao SUS para crianças até dois anos de idade, em conformidade com critérios clínicos estabelecidos e com base nos princípios de equidade, justiça social e compromisso ético com a vida.,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Ganhos motores duradouros, redução da dependência ventilatória e melhora substancial na sobrevida e qualidade de vida dos pacientes., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Risdiplam e Nusinersena, Positivo: Também ganhos motores duradouros, redução da dependência ventilatória e melhora substancial na sobrevida e qualidade de vida dos pacientes, Negativo: Necessidade de doses ao longo de toda a vida - não é dose única.	4ª - Sim	5ª - Sim

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Há anos atrás sofri junto com uma família que eu nem conhecia, divulguei, fiz campanha, doe, tudo para que a filhinha dela tivesse a chance de receber essa medicação até dois aninhos e ter a melhora na qualidade de vida, a doença só foi diagnosticada após os 6 meses e por isso não poderia receber do SUS, ela conseguiu, mas acompanhei muitas que não e que tristeza ver crianças que podiam melhorar e não podiam devido ao alto valor do medicamento, por isso eu considero a enorme importância de se medicamento poder ser aplicado até os 2 anos de idade	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acho que esse medicamento deve ser incorporado pelo SUS para isso conforme a sua bula, que é até os 2 anos de idade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento com comprovação científica de eficácia quando administrado o mais rápido possível é direito da sociedade., Sem a incorporação ao SUS, um percentual muito pequeno de pacientes consegue ter acesso e uma melhora na qualidade de vida., Sendo assim, é de suma importância (pelo alto custo) que seja disponibilizado na rede pública para que todos os portadores tenham a oportunidade de administração e rápido controle da doença.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com toda certeza deve ser incorporado ao SUS, todas as crianças que tiveram acesso ao medicamento até os dois anos de idade tiveram uma melhora significativa .	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: zolgensma, Positivo e facilidades: Minha filha tomou o zolgensma aos dois anos de idade. Ela tem AME tipo 2 e desde então tem tido ganho de força e aumento na atividade motora, assim como aumentou na capacidade respiratória também, com menos incidência de doenças respiratórias . , Negativo e dificuldades: nenhum resultado negativo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: nusinersena, Positivo: muito pouco ganho de força, com o zolgensma o ganho de força da minha filha foi muito maior, Negativo: modo de aplicação, sempre tinha que haver internação, colocar acesso para anestesia, administração intratecal. O que estressava muito minha filha, fora o ambiente hospitalar, algumas vezes ela ficou doente por pegar vírus no hospital	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento por mais que não seja uma cura, ele pode salvar vidas, inclusive a da minha filha que só tem 11 meses e está aguardando essa medicação , Sabemos que tempo para ela é neurônio e quanto antes ela tomar mais evolução ela terá, Nos ajude a dar uma qualidade de vida para nossa filha	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spiranza, Positivo: A evolução da minha fia foi muito grande quando começou a tomar esse medicamento, Ela foi diagnosticada recentemente com apenas quase 10 meses, estamos tentando conseguir o zolgensma para a evolução dela ser maior,, Negativo:	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Zolgensma precisa ser incorporado no SUS para crianças até dois anos ou mais, desde que esteja dentro do limite de peso indicado pelo fabricante. Não faz sentido o Zolgensma ser provisionado apenas para crianças com até 6 meses de vida, pois infelizmente, a doença só é manifestada no organismo a partir dessa idade, sendo assim, crianças diagnosticadas depois dos 6 meses, são penalizadas. Sendo que, essa é a única medicação que realmente estabiliza a degeneração da doença e fornece chances de cura.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Zolgensma, Positivo e facilidades: Estabilidade completa da degeneração da doença, progressos físicos/musculares significativos, desenvolvimento motores e respiratórios e exclusão de risco de vida pós medicação , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Spinraza, Positivo: Retardo na degeneração da doença e ganhos (tímidos) em movimentos físicos , , Negativo: Nenhum ,	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que o referido medicamento deve ser incorporado ao SUS para pacientes até dois anos levando em consideração, principalmente, que a maioria dos diagnósticos acontecem de forma tardia. Ademais, a bula do medicamento indica o uso até os dois anos e crianças que já fizeram uso evidenciam os benefícios adquiridos com a medicação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Do ponto de vista dos gastos públicos, uma criança que tem acesso ao medicamento tende a diminuir suas necessidades de intervenções hospitalares emais qualidade de vida
Profissional de saúde 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Toda criança merece uma chance pra sobreviver teria que ampliar pra mais idade como a minha sobrinha diagnostica tardio e o tempo passou ela tem 1 ano mais e merece uma quantidade de vida melhor ãããã	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Todas crianças que usaram as medicações pra AME tipo 1 ficaram bem então acridito que minha sobrinha também vai ficar por favor libera pra criança de até 2 anos , Positivo e facilidades: Ótima , Negativo e dificuldades: Porque os exames só ficaram prontos com 8 meses e só pode ser dado até 6 meses mais como ela iria tomar se já tinha passado	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Com a Ripospam , Positivo: Ela não se mexia agora está mexendo melhor ãã, Negativo: Não teve nada negativo só positivo	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 20/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, E um medicamento que pode definir o futuro das crianças com essa doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado pelo sus por ser bastante importando para a vida da criança	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É importante a inclusão deste medicamento ao SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Zolgensma representa não apenas um avanço científico, mas uma oportunidade real de salvar vidas e devolver dignidade a crianças com Atrofia Muscular Espinhal. Sua incorporação ao SUS é um dever ético e social, pois o acesso a uma terapia curativa não pode ser privilégio de quem tem recursos, mas um direito de todos que dependem da saúde pública.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3