

Registro seguiu regras de prioridade para fármacos destinados ao tratamento de doenças raras

Pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) contam com mais um medicamento para o tratamento da doença. O produto é o EVRYSDI® (risdiplam), registrado junto à Anvisa pela empresa Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. O registro do novo medicamento está na [Resolução \(RE\) 4.079/2020](#), publicada no Diário Oficial da União (D.O.U.) de terça-feira (13/10).

O registro do produto foi priorizado conforme as normas da [Resolução da Diretoria Colegiada \(RDC\) 205/2017](#), que estabelece procedimento especial para o registro de medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras, como é o caso da AME.

Desordem genética

De acordo com a Anvisa, as AMEs são um grupo diverso de desordens genéticas que afetam o neurônio motor espinhal, responsável pelo controle do movimento de músculos do corpo humano.

A AME 5q é a forma mais comum entre as doenças caracterizadas pela degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e tronco encefálico. Apresenta uma prevalência (ocorrência) de um a dois casos para cada grupo de 100 mil pessoas e incidências (novos casos) de um para cada 6 mil até um a cada 11 mil nascidos vivos, conforme estudos realizados fora do Brasil.

Subtipos

A AME é dividida em subtipos, de I a IV. O subtipo I representa aproximadamente 58% de todas as AMEs, com início de sintomas na idade de 0 a 6 meses, com expectativa de vida de menos de dois anos. A AME tipo II representa 29% do total de casos, tem início dos sintomas perto dos sete até 18 meses e apresenta expectativa de vida entre dois e 18 anos. A AME tipo 3 representa 13% dos casos – os sintomas têm início após os 18 anos e a expectativa de vida é normal, assim como a AME tipo IV.

Fonte: ANVISA, em 14.10.2020