ASSEMBLEIA DA REPÚBLICA
Gabinete do Presidente
N.º de Entrada 593827
Classificação
15/02/___/___/___/
Data
08/02/2018

Por determinação de Sua Excelência o Presidente da A.R. à DSAPJ
8 Fev-18

Exmo. Sr. Dr. Presidente da Assembleia da República,
Eduardo Ferro Rodrigues

À SA Comissões
Para juntar à petição nº 658/XIII/3ª que se encontra em apreciação na SA Comissões
2018-02-0

Assunto: Petição Pública para Administração de medicamento

Enquanto cidadãos e contribuintes de nacionalidade portuguesa e pais de uma menina de 3 anos, Sofia Rosa, também ela de nacionalidade portuguesa, com o cartão de cidadão número , número de utente de saúde , à qual foi diagnosticada Atrofia Muscular Espinal, há cerca de 2 anos sensivelmente, sentimo-nos no dever e obrigação de lhe fazer chegar esta informação.

A Atrofia Muscular Espinal é uma doença causada por um defeito no gene SMN1, que é responsável por reproduzir uma proteína que é o SMN. Essa proteína é indispensável para a sobrevivência e manter saudáveis as células nervosas na medula espinal, que é responsável pela contração dos músculos.

Geralmente, as crianças afetadas por esta doença têm dificuldade em se sentar de forma independente e são incapazes de se levantar e de andar com um ano de idade. A fraqueza muscular (quase sempre simétrica) afeta predominantemente as pernas e os músculos do tronco. O tremor dos dedos é frequente e são comuns a insuficiência respiratória, escoliose e fraturas em resposta ao mínimo trauma.

Assim, vimos por este meio apelar para uma petição que diz respeito a esta doença rara – atrofia muscular espinal. Recentemente, ultrapassámos as 4000 assinaturas necessárias, contando neste momento com 4882, vimos invocar para que esta causa seja discutida em assembleia.

Apelamos a que este assunto seja debatido, uma vez que há a possibilidade de ser administrado um medicamento que aumentará em muito a qualidade de vida dos pacientes afetados e simultaneamente reduzindo complicações futuras.

O spinraza é um medicamento que leva o gene SMN-2 a produzir uma proteína que normalmente é produzida pelo gene SMN-1, substituindo-o. Assim, este medicamento é usado para tratar casos de atrofia muscular espinhal, que se desenvolve devido à falta ou defeito do gene SMN-1 no organismo.
Este medicamento está indicado para o tratamento da atrofia muscular espinhal, tanto em adultos como em crianças, especialmente quando outras formas de tratamento não apresentam resultados.

O uso de spinraza só pode ser feito no hospital por um médico ou enfermeiro, uma vez que é necessário injetar o remédio diretamente no espaço onde está a medula espinhal.

Normalmente o tratamento é feito com 3 doses iniciais separadas por 14 dias, seguida de outra dose, 30 dias após a 3ª e 1 dose a cada 4 meses, para manutenção.

A Comissão Europeia autorizou a introdução no mercado do SPINRAZA® (nusinersen) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (SMA) 5q, a forma mais comum da doença e representa aproximadamente 95% de todos os casos de SMA.

Este medicamento tem contudo um valor demasiado alto. Para cada caso serão necessários 500 000€ anuais.
Em Portugal temos diagnosticado 8 Crianças com necessidade de uso de medicação. Neste momento já foi submetido um pedido à Comissão do Hospital Dona Estefânia para financiamento do mesmo.

É impensável conseguirmos suportar os valores exigidos por este medicamento, ainda que este seja a nossa grande esperança para que a nossa filha possa ter, no futuro, uma melhor qualidade de vida e uma maior autonomia inserindo-se ativa e plenamente na sociedade portuguesa.

Por sermos pais de uma menina portadora desta doença sentimos, diariamente, as dificuldades e frustrações que esta doença acarreta. A nossa menina, neste momento não anda, nem se desloca autonomamente e exige cuidados especiais ao nível repiratório e postural. Uma das principais preocupações constantes prende-se com a parte respiratória, uma vez que não possui a força muscular necessária para expectorar como as outras crianças da mesma faixa etária. Aliada a esta situação está a coluna vertebral comprometida devido à hipotonia dos músculos, originando uma escoliose que por sua vez tem tendência a comprometer a parte respiratória.

É uma criança feliz, mas todos os dias nos questiona se virá a andar como as outras crianças. É uma luta diária contra o tempo, pois esta doença, sendo uma doença evolutiva, com o crescimento poderá deixar mazelas irreversíveis.

Vimos, assim, por este meio apelar para que este medicamento seja disponibilizado gratuitamente para os casos diagnosticados de atrofia muscular espinal, o mais depressa possível, pois com o passar do tempo estas crianças vão ficando cada vez mais debilitadas e a sua qualidade de vida comprometida. É uma luta contra o tempo!

É urgente acelerar a administração deste medicamento, não ficando para "amanhã", o que poderá ser feito "hoje", o "amanhã" poderá ser tarde para alguns!

Cientes de que debruçar-se-á sobre o caso e que fará tudo o que estiver ao seu alcance, agradecemos a atenção demonstrada.

Com os melhores Cumprimentos

Ana Rita Reis Ana Rita S. S. Reis

Pedro Rosa Pedro Rosa

Marinha Grande, 03 de fevereiro de 2018

Petição Pública

Pesquise Petições procurar

Apoie esta Petição. Assine e divulgue. O seu apoio é muito importante.

Ajude a salvar a vida de portadores de Atrofia Muscular Espinhal (AME)!! Uma doença fatal!

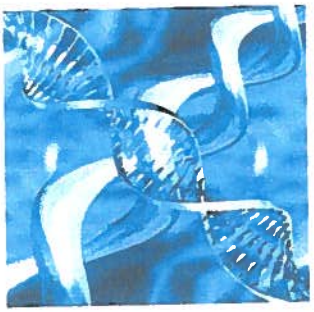
Para: Orgãos do Governo

Assinaram a petição

5.002 PESSOAS

Assinar Petição

O seu apoio é muito importante. Apoie esta causa. Assine a Petição.



Atrofia Muscular Espinal (SMA)
A prevalência está estimada em cerca de 1/70,000. A doença é ligeiramente mais frequente nos individuos do sexo masculino do que no sexo feminino. A apresentação da doença ocorre entre os 6 e 18 meses de idades (geralmente por volta dos 15 meses). Geralmente, as crianças afectadas têm dificuldade em se sentar de forma independente e são incapazes de se levantar e de andar com um ano. A fraqueza muscular (quase sempre simétrica) afecta predominantemente as pernas e os músculos do tronco. Tremor dos dedos é frequente. São comuns a insuficiência respiratória, escoliose e fracturas em resposta ao mínimo trauma. Tal como as outras formas de SMA, a SMA2 é causada principalmente por deleções no gene SMN1 (5q12.2-q13.3) que codifica a proteína SMN (sobrevivência do neurónio motor). Embora haja alguma variação, a gravidade da doença em SMA está inversamente relacionada com o número de cópias do segundo gene SMN (SMN2 ; 5q13.2), com doentes com SMA2 a ter em média três cópias do SMN2 . Deleções do gene NAIP (5q13.1) também têm sido identificadas nos doentes com SMA2 e podem desempenhar um papel na modificação da gravidade da doença. A transmissão é autossómica recessiva, mas cerca de 2% dos casos são causados por mutações de novo .
Spinraza

O spinraza é um medicamento que leva o gene SMN-2 a produzir uma proteína que normalmente é produzida pelo gene SMN-1, substituindo-o. Assim, este medicamento é usado para tratar casos de atrofia muscular espinhal, que se desenvolve devido à falta ou defeito do gene SMN-1 no organismo.
Este medicamento está indicado para o tratamento da atrofia muscular espinhal, tanto em adultos como em crianças, especialmente quando outras formas de tratamento não apresentam resultados.
O uso de spinraza só pode ser feito no hospital por um médico ou enfermeiro, uma vez que é necessário injectar o remédio directamente no espaço onde está a medula espinhal.
Normalmente o tratamento é feito com 3 doses iniciais separadas por 14 dias, seguida de outra dose 30 dias após a 3ª e 1 dose a cada 4 meses, para manutenção.

Autorização de comercialização
A Comissão Europeia autorizou a introdução no mercado do SPINRAZA® (nusinersen) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (SMA) 5q, a forma mais comum da doença e representa aproximadamente 95% de todos os casos de SMA.

Pedido
Este medicamento tem contudo um valor demasiado alto. Para cada caso serão necessários 500 000€ anuais. Em Portugal temos diagnosticado 8 Crianças com necessidade de uso de medicação. Neste momento já foi submetido um pedido a Comissão do Hospital Dona Estefânia para financiamento do mesmo.
Para que não se deixe passar esta oportunidade de salvar estas crianças por favor assine esta petição pedido que o medicamento seja disponibilizado gratuitamente para os casos diagnosticados de atrofia muscular espinal.

ASSINAR Petição

Petição criada por:
Contactar Autor