



Trabalhos Científicos

Título: O Uso De Nusinersena No Tratamento De Atrofia Muscular Espinhal

Autores: ANA PAULA MATZENBACHER VILLE (FACULDADES PEQUENO PRÍNCIPE), LETICIA STASZCZAK (FACULDADES PEQUENO PRÍNCIPE), ANA CLARA KUNZ (FACULDADES PEQUENO PRÍNCIPE), RENATA DAL-PRÁ DUCCI (FACULDADES PEQUENO PRÍNCIPE)

Resumo: Introdução: Amiotrofia espinhal (AME) é uma doença autossômica recessiva resultante da mutação do gene SMN1 que codifica a proteína de sobrevivência neuronal (SMN). Em 2019, passou a ser utilizado nusinersena para o seu tratamento, o que se mostrou efetivo. Objetivo: Revisar a eficácia no uso de Nusinersena para o tratamento de AME. Metodologia: Revisão de literatura realizada através de pesquisas em bases científicas do PubMed. Resultados: A diminuição de SMN resulta na degeneração progressiva dos neurônios motores do corno anterior da medula e dos núcleos motores dos nervos cranianos, resultando em fraqueza muscular de predomínio proximal, hipotonia e arreflexia. AME é classificada em: tipo I (forma grave, o óbito ocorre com menos de 2 anos de idade), II (início dos sintomas após 6 meses), III (sintomas após os 18 meses de idade) e IV (início dos sintomas em adultos). Diversos estudos com novas possibilidades terapêuticas têm sido feitos para esta condição. Nusinersena é um medicamento que age impedindo a exclusão do exon 7 no RNAm do gene SMN2, assim, promove a produção de uma proteína SMN funcional. Estudos mostram melhora na função motora em todos os tipos de AME com uso de Nusinersena. Sua administração é feita via intratecal e os efeitos adversos mais comuns são constipação e infecções respiratórias. Os estudos mostram que a melhor resposta motora foi observada naqueles que iniciaram a medicação com menos de 12 semanas de vida e/ou no período pré-sintomático. Registrado no Brasil em agosto de 2017, este é o primeiro medicamento para o tratamento da AME disponível no país, e em 2019, o SUS incorporou este medicamento para o tratamento de AME tipo I (na ausência de necessidade de suporte ventilatório invasivo permanente). Conclusão: Nusinersena demonstrou segurança, eficácia e tolerabilidade, principalmente em crianças com AME, sendo considerado um tratamento de primeira linha.