

## MIGLUSTATE

### Doença de Gaucher

Portaria Conjunta SAS/SCTIE/MS nº 04, de 22 de junho de 2017 (Protocolo na íntegra)

#### Informações gerais

**Dosagem / Apresentação:** 100 mg – cápsula

**CIDs contemplados:** E75.2

**Quantidade máxima mensal:**

- Para dispensação: 93 cápsulas
- Para faturamento (SIGTAP): 93 cápsulas

**Grupo de financiamento:** 1A

**Observações:** Idade mínima: 18 anos

#### Documentos necessários para solicitação do medicamento

##### 1ª Solicitação

1. [Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica](#) original, preenchido de forma completa e legível pelo médico responsável pelo atendimento ao paciente.  
ATENÇÃO: O LME terá 90 (noventa) dias de validade para solicitação do medicamento, a partir da data de seu preenchimento pelo médico solicitante.
2. Prescrição de medicamento original, em duas vias, elaborada de forma completa e legível, pelo médico responsável pelo atendimento ao paciente.
3. Cópia de documentos pessoais do paciente
  - Documento de identificação válido (conforme legislação vigente) que conste o número do CPF;
  - Comprovante de residência em nome do usuário, com o CEP (considerando a apresentação de

MIGLUSTATE -GAUCHER (Atualização em 06/01/2025)

- comprovante de residência em nome de terceiros, se faz necessário comprovação do vínculo com a pessoa cujo nome consta no comprovante, podendo ser feito por uma carta de residência ou outro documento que comprove o vínculo);
- Cartão Nacional de Saúde (CNS).

#### 4. Cópia dos exames:

- Descrição no campo “11 – Anamnese” do LME:
  - As manifestações hematológicas, ósseas e neurológicas da doença;
  - Tipos da doença: Tipo 01 (presença apenas de manifestações hematológicas e ósseas) ou Tipo 03 (presença de manifestações neurológicas).
- Hemograma com contagem de plaquetas;
- Dosagem sérica – ferritina;
- Laudo/relatório médico de Ultrassonografia ou Ressonância Magnética de abdômen;
- Laudo/relatório médico de Densitometria Óssea a partir dos 19 anos;
- Laudo/relatório médico de Radiografia ou ressonância magnética de coluna vertebral e fêmur;
- Laudo/relatório médico de Radiografia para a determinação da idade óssea (em crianças ou adolescentes com atraso ou parada de crescimento ou puberal atrasado);
- Dosagem sérica – beta glicosidase ácida, realizada em qualquer data;
- Sequenciamento do gene da beta glicosidase ácida, caso os resultados bioquímicos de dosagem sérica – beta glicosidase ácida e dosagem sérica – quitotriosidase, forem duvidosos.
- $\beta$ -HCG (Beta-Gonadotrofina Coriônica Humana) ou documento de esterilização (apenas para mulheres em idade fértil).

#### **A critério do médico prescritor:**

- Dosagem sérica - vitamina B12;
- Dosagem sérica – quitotriosidase, realizada em qualquer data;
- Eletroforese de proteínas;
- Índice de saturação de transferrina.

ATENÇÃO: Não é necessária a apresentação do [Termo de Esclarecimento e Responsabilidade](#). (Páginas 31 e 32 do Protocolo)

### **Renovação da Continuidade**

Para pacientes em uso do medicamento, sem a alteração de dose:

1. [Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica](#) original, preenchido de forma completa e legível pelo médico responsável pelo atendimento ao paciente (semestralmente).

MIGLUSTATE -GAUCHER (Atualização em 06/01/2025)

ATENÇÃO: O LME terá 90 (noventa) dias de validade para solicitação do medicamento, a partir da data de seu preenchimento pelo médico solicitante.

2. Prescrição de medicamento original, em duas vias, elaborada de forma completa e legível pelo médico responsável pelo atendimento ao paciente, contendo a dose prescrita em UI/kg/infusão (semestralmente).

Para pacientes em uso do medicamento, com alteração de dose e/ou tratamento:

1. [Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica](#) original, preenchido de forma completa e legível pelo médico responsável pelo atendimento ao paciente (semestralmente).

ATENÇÃO: O LME terá 90 (noventa) dias de validade para solicitação do medicamento, a partir da data de seu preenchimento pelo médico solicitante.

2. Prescrição de medicamento original, em duas vias, elaborada de forma completa e legível, pelo médico responsável pelo atendimento ao paciente (semestralmente).

3. Cópia de documentos pessoais do paciente

- Comprovante de residência em nome do usuário, com o CEP (considerando a apresentação de comprovante de residência em nome de terceiros, se faz necessário comprovação do vínculo com a pessoa cujo nome consta no comprovante, podendo ser feito por uma carta de residência ou outro documento que comprove o vínculo);
- Documento de identificação válido (conforme legislação vigente) que conste o número do CPF, em caso de emissão nos últimos 6 meses.

4. Cópia dos exames:

**Semestralmente:**

- Hemograma com contagem de plaquetas.

**Anualmente:**

- Dosagem sérica – ferritina.

**Anualmente (a critério do médico prescritor):**

- Eletroforese de proteínas;
- Índice de saturação de transferrina.

**A cada dois anos:**

- Laudo/relatório médico de Desintometria Óssea a partir de 19 anos;

MIGLUSTATE -GAUCHER (Atualização em 06/01/2025)

**A cada dois anos (a critério do médico prescritor):**

- Laudo/relatório médico de Radiografia ou ressonância magnética de coluna vertebral e fêmur;

**A critério do médico prescritor:**

- Dosagem sérica – TGO (Transaminase Glutâmico Oxalacética);
- Dosagem sérica - TGP (Transaminase Glutâmico Pirúvica);
- TP (Tempo de Protombina);
- Dosagem sérica - GGT (Gama Glutamiltransferase).

De posse dos documentos mencionados, o paciente ou seu representante deve dirigir-se a um dos [locais de dispensação de medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica do Estado de São Paulo](#) para entrega dos documentos e dispensação do medicamento.

Caso não possa comparecer pessoalmente, o paciente poderá designar representantes para a retirada do medicamento na unidade responsável.

Para o cadastro de representantes, serão exigidos os seguintes documentos:

- I – [Declaração autorizadora](#);
- II – Cópia de documentos pessoais do representante: documento de identidade;
- II – Número de telefone do representante.