MORTALIDADE INFANTIL POR ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME) E PERSPECTIVAS DE TRATAMENTO PELO SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE (SUS).

Natália Toebe Giudice da Costa - Universidade do Vale do Rio dos Sinos (UNISINOS), nataliacostagt@gmail.com
Claiane Vitória Teza - Pontifícia Universidade Católica do Rio Grande do Sul (PUCRS), claianevitoriateza@gmail.com
Eduardo Flach Klein - Universidade Federal de Ciências da Saúde de Porto Alegre (UFCSPA), eduardo.klein@ufcspa.edu.br
Jonas Carvalho Reis - Pontifícia Universidade Católica do Rio Grande do Sul (PUCRS), jonascarvalhoreis@gmail.com
Laíse Pauletti Barp - Universidade Luterana do Brasil (ULBRA), laisepaulettibarp@gmail.com
Thais Fernanda Dalferth - Pontifícia Universidade Católica do Rio Grande do Sul (PUCRS), thais.dalferth@gmail.com

INTRODUÇÃO

A Atrofia Muscular Espinhal (AME) é uma doença genética que causa degeneração dos neurônios motores da medula espinhal, com alta taxa de mortalidade infantil. O Zolgensma é uma terapia gênica inovadora de aplicação única, que corrige a deficiência.

OBJETIVOS

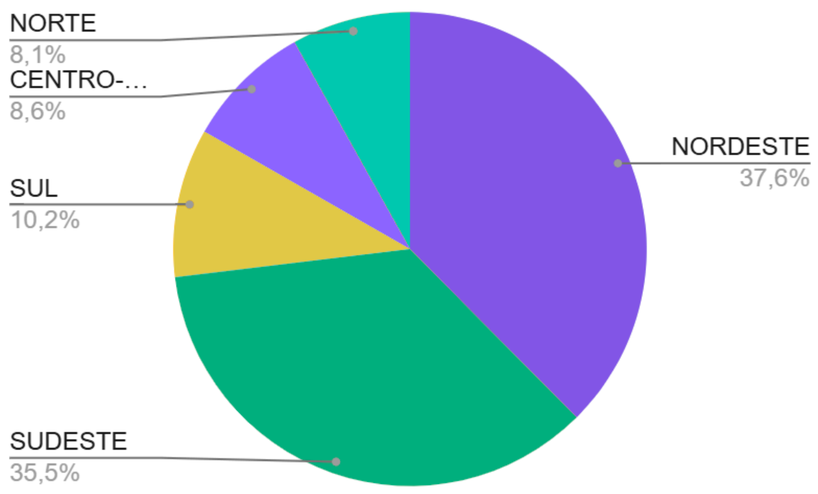
Analisar a mortalidade por AME na faixa etária de 10 a 14 anos, no Brasil, entre 2019 e 2023, com foco no impacto da recente incorporação do medicamento Zolgensma ao Sistema Único de Saúde (SUS), avaliando possíveis mudanças no manejo da doença e suas repercussões na redução das taxas de óbito, bem como na melhoria da saúde das crianças afetadas.

MÉTODOS

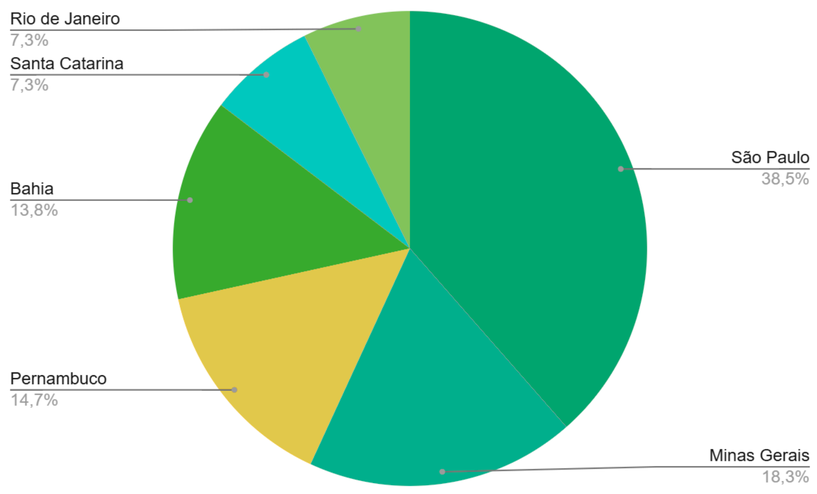
Estudo transversal de base populacional de janeiro de 2019 a dezembro de 2023. Os dados analisados foram coletados do Sistema de Informações sobre Mortalidade (SIM), disponível pelo DATASUS, e correspondem à mortalidade por AME na faixa etária de 0 a 14 anos registrados no Brasil.

RESULTADOS

De janeiro de 2019 a dezembro de 2023, foram registrados 235 óbitos por AME na faixa etária de 0 a 14 anos, no Brasil. A distribuição anual dos óbitos variou: 52 em 2019, 48 em 2020, 42 em 2021, 53 em 2022 e 40 em 2023. Analisando a distribuição geográfica, a região Nordeste concentrou o maior número de óbitos, com 37% dos registros, seguida pela região Sudeste (35%) e, em menor escala, a Sul (10%), Centro-Oeste (8,5%) e Norte (8%).



Os estados brasileiros que apresentaram os maiores números de óbitos foram São Paulo (21%), Minas Gerais (10%), Pernambuco (8%), Bahia (7,5%), Santa Catarina (4%) e Rio de Janeiro (4%). Em contraste, os estados com menor número de registros foram Amapá (0,4%), Espírito Santo (0,4%) e Acre (0,8%), além do Distrito Federal, Amazonas e Sergipe com 1% cada, como demonstrado no mapa abaixo.



REFERÊNCIAS

1. KOLB, Stephen J.; KISSEL, John T. Spinal muscular atrophy. Neurologic clinics, v. 33, n. 4, p. 831, 2015.
2. NICOLAU, Stefan et al. Spinal muscular atrophy. In: Seminars in pediatric neurology. WB Saunders, 2021. p. 100878.
3. OGBOMIDE, Tolu et al. Gene therapy for spinal muscular atrophy (SMA): a review of current challenges and safety considerations for Onasemnogene Abeparvovec (Zolgensma). Cureus, v. 15, n. 3, 2023.
4. BRASIL. Ministério da Saúde viabiliza tratamento inovador no SUS para crianças com AME: pela primeira vez será ofertada uma terapia genética na rede pública. Ministério da Saúde, 2025.

CONCLUSÃO

Os resultados deste estudo mostram que os óbitos por AME ainda são prevalentes, com maior concentração nas regiões Nordeste e Sudeste, apontando desigualdades no acesso ao diagnóstico. A incorporação do Zolgensma ao SUS é um avanço importante, colocando o Brasil entre os 6 países a oferecer a terapia no sistema público. No entanto, as altas taxas de mortalidade persistem, evidenciando a necessidade de políticas públicas eficazes para ampliar o acesso ao tratamento e garantir a equidade. O Zolgensma requer menos tempo de tratamento em comparação com outras terapias e é eficaz na melhora da sobrevida e qualidade de vida, quando administrado precocemente. Por isso, é essencial expandir o rastreamento neonatal, pois pode reduzir a progressão da doença e melhorar os desfechos clínicos infantis.