

## **APÊNDICE 2**

PROGRAMA MÍNIMO DE AVALIAÇÕES PARA SEGUIMENTO DOS PACIENTES COM MPS IVA SOB TERAPIA DE REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA  
OU NÃO.

<b>Avaliações</b>	<b>Avaliação inicial</b>	<b>A cada 6 meses</b>	<b>Anualmente</b>
<b>Atividade enzimática</b>			
<b>GAGs urinários</b>			
<b>Aconselhamento genético História médica</b>			
<b>Revisão do número de infusões realizadas no período***</b>			
<b>Determinação da adesão ao acompanhamento/tratamento**</b>			
<b>Peso/altura</b>			
<b>Pressão arterial</b>			
<b>Hepatimetria (exame físico)</b>			
<b>Questionário de qualidade de vida validado**</b>			
<b>AVALIAÇÃO NEUROLÓGICA</b>			
<b>- Exame neurológico</b>			
<b>- RNM da coluna</b>			
<b>- RX de coluna</b>			

<b>AVALIAÇÃO OFTALMOLÓGICA (acuidade visual, retina, córnea)</b>			
<b>AUDIOMETRIA</b>			
<b>AVALIAÇÃO FUNCIONAL</b>			
<b>- Ecocardiograma</b>			
<b>- Eletrocardiograma</b>			
<b>- CVF/VEF1 (espirometria)</b>			
<b>- Polissonografia</b>			
<b>- TC6M**</b>			
<b>AVALIAÇÃO ORTOPÉDICA</b>			
<b>- Raio X de quadril e membros inferiores</b>			

Data \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_\_\_

---

Assinatura e carimbo médico

\*Para pacientes que fizeram transplante de células-tronco hematopoéticas. \*\*Para pacientes em tratamento específico (transplante de células-tronco hematopoéticas ou terapia de reposição enzimática). \*\*\*Para pacientes em terapia de reposição enzimática. §Para pacientes em terapia de reposição enzimática, nos primeiros seis meses de monitorização.

As demais avaliações, incluindo as avaliações indicadas somente no período basal (iniciais), devem ser realizadas em períodos determinados pelo médico assistente.

GAGs = glicosaminoglicanos; RNM = ressonância magnética; CVF = capacidade vital forçada; VEF1 = volume expiratório forçado no primeiro segundo; TC6M = teste da caminhada de 6 minutos.

Fonte: Elaborado a partir de dados de Hendriksz, Berger, Giugliani, Harmatz, Kampmann, Mackenzie, *et al*(6)