

JORNADA GUERREIROS DUCHENNE

CADA PASSO, UMA VITÓRIA



www.direitomedicoedasaude.com

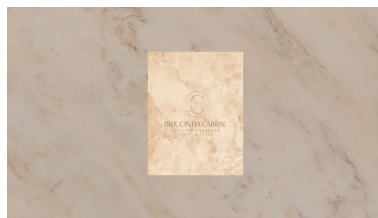
CINTIA CABRAL

A Jornada do Guerreiro Duchenne

Do Diagnóstico à Conquista do Tratamento: Seu Guia

Passo a Passo para Terapias Essenciais e o Acesso

Judicial



Copyright © 2025 by Cintia Cabral

All rights reserved. No part of this publication may be reproduced, stored or transmitted in any form or by any means, electronic, mechanical, photocopying, recording, scanning, or otherwise without written permission from the publisher. It is illegal to copy this book, post it to a website, or distribute it by any other means without permission.

First edition

This book was professionally typeset on Reedsy.

Find out more at reedsy.com

Contents

1 Chapter1	1
2 Chapter2	3
3 Chapter3	6
4 Chapter4	8
5 Chapter5	10

1

Chapter 1

Duchenne: A Jornada do Guerreiro em Busca do Tratamento

Capítulo 1: O Chamado à Aventura – O Diagnóstico

Jornada de um guerreiro muitas vezes começa com um chamado pode surgir com pequenos sinais, desafios no desenvolvimento motor ou dúvidas que se instalam. É o momento de buscar respostas e embarcar na aventura do diagnóstico.

O Exame Genético: A Prova Concreta

O exame genético é a pedra fundamental dessa jornada. Ele é quem dá nome ao desafio, identificando a alteração no gene DMD que causa a Distrofia Muscular de Duchenne.

- Por que é crucial? Sem ele, a confirmação do diagnóstico e, principalmente, o acesso a muitos tratamentos de ponta (como as terapias gênicas) são impossíveis. Ele é a identidade da condição de seu filho.
- O que buscar? O relatório do exame deve detalhar a mutação específica (deleção, duplicação, mutação de ponto, etc.) e o exon afetado. Guarde-o com muito cuidado!

Chapter 2

Capítulo 2: Mentores e Aliados – A Equipe Médica e a Prescrição

Todo guerreiro precisa de seus mentores e aliados. por médicos especialistas que traçarão as melhores estratégias de cuidado e tratamento.

O Laudo Médico Fundamentado: O Mapa do Guerreiro
Após o diagnóstico genético, seu médico especialista (neuropediatra, geneticista) elaborará o Laudo Médico Fundamentado. Este documento é a sua arma mais poderosa na busca pelo tratamento:

- Conteúdo Essencial: Ele deve detalhar o histórico clínico do paciente, a confirmação do diagnóstico genético, o estágio atual da doença, os tratamentos já tentados, a justificativa

clara e baseada em evidências científicas para a indicação do novo medicamento (Elevidys, Givinostat, Agamree), e como ele pode trazer benefícios significativos para o caso específico do paciente. Quanto mais detalhado e específico, melhor!

A Prescrição (Receita Médica): O Selo da Batalha

A prescrição é o documento que oficializa o tratamento indicado. Cada medicamento tem suas particularidades:

- Elevidys (Delandistrogene Moxeparvovec): Terapia Gênica de Infusão Única
- Administração: É uma infusão intravenosa única (dose única, para a vida toda), administrada em ambiente controlado.
- Particularidade para Aplicação: O medicamento chega resfriado e requer uma equipe de saúde altamente treinada para sua aplicação. Por isso, a aplicação da dose é sempre planejada para ser realizada no domicílio do autor (paciente) ou em local extremamente próximo e adaptado, garantindo a segurança e a integridade do medicamento e do procedimento. Essa particularidade é um ponto chave a ser defendido judicialmente, se necessário.
- Givinostat (Duvyzat): Uso Oral
- Administração: É um medicamento de uso oral, geralmente administrado duas vezes ao dia (a cada 12 horas), após as refeições. A precisão na dosagem e na frequência é vital para sua eficácia.
- Agamree (Vamorolone): Uso Oral
- Administração: Também é um medicamento de uso oral, com frequência e dosagem a serem determinadas pelo

médico, geralmente uma vez ao dia. É importante seguir rigorosamente as orientações de seu especialista.

3

Chapter 3

Capítulo 3: Atravessando o Limiar – A Busca pelo Acesso Judicial

Muitas vezes, o caminho para o tratamento de ponta judicial. Para isso, você precisará de um aliado estratégico: a advocacia especializada.

Advocacia Especializada: O Guia no Labirinto Judicial

Contar com advogados que dominam o Direito à Saúde e as particularidades das doenças raras é fundamental. Eles serão seus sábios conselheiros nesse complexo terreno.

Passo a Passo da Ação Judicial:

1. **Reunião de Documentos:** Junte seu laudo médico fundamentado, a prescrição, o exame genético, e qualquer negativa de cobertura do plano de saúde ou do SUS. Quanto mais evidências, mais forte será sua armadura.

2. Petição Inicial: É o documento que dá início ao processo, apresentando ao juiz a sua história e a necessidade do tratamento.

3. A Liminar (Tutela de Urgência) vs. A Sentença:

- Liminar: É a primeira vitória rápida. Uma decisão provisória do juiz, dada em caráter de urgência, que obriga o plano ou o SUS a fornecer o medicamento enquanto o processo principal tramita. É a espada que abre o caminho imediato.
- Sentença: É a vitória definitiva ao final do processo, que confirma ou modifica a liminar.

1. Acompanhamento do Processo: Seu advogado acompanhará cada movimento, garantindo que o processo avance e seus direitos sejam defendidos.

4

Chapter 4

Capítulo 4: A Prova – Os Exames Essenciais para o Tratamento

Antes de alcançar a recompensa, o guerreiro precisa estar manter exames atualizados para monitorar a saúde e garantir a segurança e eficácia da terapia.

Exames em Dia: O Escudo de Proteção

A lista exata de exames deve ser sempre orientada pelo médico de seu filho, mas alguns são frequentemente solicitados:

- Monitoramento Geral da DMD (Linha de Base e Contínuo):
Função Cardíaca: Ecocardiograma, Ressonância Cardíaca (para avaliar o coração).
- Função Pulmonar: Espirometria (para avaliar a capacidade respiratória).

- Função Óssea: Densitometria óssea (importante, especialmente para quem usa corticoides).
- Exames de Sangue Gerais: Hemograma completo, função hepática (enzimas do fígado como AST, ALT, Gama-GT), função renal (creatinina, ureia), eletrólitos, creatina quinase (CK).
- Exames Específicos para Elevidys (Terapia Gênica - Conforme Nota Técnica MS e Indicações Gerais):
- Sorologias virais (para Hepatites, HIV, etc.).
- Função hepática detalhada (fundamental antes e depois, pela via de administração).
- Função renal.
- Avaliação imunológica e testes para anticorpos neutralizantes (se aplicável, para outras terapias gênicas).
- Função cardíaca e pulmonar atualizadas.
- Exames Específicos para Givinar (Uso Oral):
- Monitoramento da função hepática.
- Contagem de plaquetas (hemograma completo, devido a possíveis efeitos na coagulação).
- Outros exames de sangue conforme orientação médica, para monitorar potenciais efeitos colaterais.
- Exames Específicos para Agamree (Vamorolone - Corticoide):
- Monitoramento de densidade óssea.
- Controle de glicemia (níveis de açúcar no sangue) e pressão arterial.
- Avaliação oftalmológica (para catarata ou glaucoma).
- Monitoramento de crescimento e peso.

5

Chapter 5

Capítulo 5: A Recompensa – A Aplicação do Tratamento e o Retorno

Chega o momento da recompensa, o clímax da sua aplicação, a jornada continua, agora com novas esperanças e desafios.

A Aplicação da Infusão (Elevidys): A Entrega da Recompensa

- Preparação para Aplicação: Para o Elevidys, a excelência e a segurança são prioridades. O medicamento chega refrigerado e é imprescindível que a aplicação da dose única intravenosa seja feita por uma equipe altamente especializada. Em virtude do domicílio do autor, da gravidade da doença e das particularidades da aplicação, se não houver uma equipe treinada em sua localidade, será solicitado e

providenciado o treinamento dessa equipe para garantir a correta e segura administração do medicamento.

- O Dia da Infusão: Será um dia marcante, com a equipe médica e de enfermagem preparada para todo o procedimento e monitoramento.

O Início do Tratamento Oral (Givinostat / Agamree): A
Manutenção da Vitalidade

- Para os medicamentos de uso oral, como Givinostat e Agamree, a recompensa se materializa na adesão diária. Seguir rigorosamente a prescrição de seu médico (dosagem, frequência, relação com refeições) é essencial para garantir a eficácia do tratamento a longo prazo.

O Retorno à Comunidade: Uma Nova Jornada Começa
Após o início do tratamento, uma nova fase se inicia. É o retorno do guerreiro, agora transformado. O acompanhamento médico contínuo, a adesão às terapias complementares (fisioterapia, fonoaudiologia, etc.) e a manutenção de uma vida com qualidade são os próximos passos.

Conte sempre com o apoio de nossa equipe especializada. Sua luta é a nossa luta. Permaneço à disposição para cada passo nessa busca por um desfecho positivo, com a certeza de que a luta continua e a esperança nos guia. Você não está sozinho nessa jornada!

Encerro este guia com a certeza de que, como sua advogada especialista em Direito à Saúde, minha missão é ser sua bússola e sua força em cada etapa dessa jornada. Sei que o caminho pode apresentar desafios, mas quero que saiba que você não

está sozinho(a).

Meu compromisso é estar ao seu lado, traduzindo a complexidade jurídica em clareza, defendendo seus direitos com a perícia de quem entende cada detalhe das doenças raras e dos tratamentos inovadores. Conte com minha dedicação para buscar as soluções mais eficazes e garantir que o acesso à saúde seja, de fato, um direito conquistado e vivido.

Juntos, transformaremos cada obstáculo em um degrau rumo à vitória. Permaneço à sua inteira disposição para qualquer dúvida ou para o próximo passo.

Nota Importante: Este e-book é um guia informativo geral e não substitui a consulta a profissionais de saúde e advogados especializados. Cada caso é único e deve ser avaliado individualmente por uma equipe multidisciplinar.

Dra. Cintia Coutinho Cabral

Advocacia Especializada em Saúde