

**Cronograma recomendado de avaliações para pacientes com MPS VI <sup>4</sup>**

| <b>Estudo por imagem</b>            | <b>Avaliações iniciais</b> | <b>A cada 3 meses</b> | <b>A cada 12 meses</b> | <b>Conforme clinicamente indicado<sup>d</sup></b> |
|-------------------------------------|----------------------------|-----------------------|------------------------|---|
| <b>Confirmação de MPS VI</b>        | ●                          |                       |                        |   |
| <b>Histórico médico<sup>b</sup></b> | ●                          |                       | ●                      |   |
| <b>Exame físico</b>                 | ●                          |                       | ●                      |   |
| <b>Exame neurológico</b>            | ●                          |                       | ●                      |   |
| <b>Altura, peso</b>                 | ●                          |                       | ●                      |   |
| <b>Circunferência da cabeça</b>     | ●                          |                       | ● <sup>c</sup>         |   |
| <b>Estágio de Tanner</b>            | ●                          |                       | ● <sup>d</sup>         |   |
| <b>Fotografias</b>                  | ●                          |                       |                        | ●   |
| <b>Resistência<sup>e</sup></b>      |                            |                       |                        |   |
| Teste de caminhada de 12 minutos    | ●                          |                       | ●                      |   |
| Teste de subir escadas de 3 minutos | ●                          |                       | ●                      |   |
| <b>Oftalmologia</b>                 |                            |                       |                        |   |
| Acuidade visual                     | ●                          |                       | ●                      |   |
| Exame da córnea                     | ●                          |                       | ●                      |   |
| Exame de fundoscopia                | ●                          |                       | ●                      |   |
| Pressão intraocular                 | ●                          |                       | ●                      |   |
| Refração                            | ●                          |                       | ●                      |   |
| <b>Audiometria</b>                  | ●                          |                       | ●                      |   |

|  |   |   |                          |   |
|--|---|---|--------------------------|---|
| <b>Cardiologia</b>   |   |   |                          |   |
| Ecocardiograma   | ● |   | ●                        |   |
| Eletrocardiograma  | ● |   | ●                        |   |
| Pressão arterial   | ● |   | ●                        |   |
| <b>Eletrofisiologia</b>  |   |   |                          |   |
| Condução nervosa <sup>f</sup>  | ● |   |                          | ● |
| <b>Função pulmonar</b>   |   |   |                          |   |
| Capacidade vital forçada, volume expiratório forçado em 1 segundo, ventilação voluntária máxima <sup>g</sup> | ● |   | ●                        |   |
| Estudo do sono   | ● |   |                          | ● |
| <b>Estudos por imagens</b>   |   |   |                          |   |
| Filmes dos quadril <sup>h</sup>  | ● |   |                          | ● |
| Análise do esqueleto   | ● |   |                          | ● |
| Radiografia em flexão/extensão da coluna cervical  | ● |   |                          | ● |
| RMI do cérebro e da coluna <sup>i</sup>  | ● |   |                          | ● |
| <b>Avaliações laboratoriais</b>  |   |   |                          |   |
| Níveis de uGAG   | ● |   | ●                        |   |
| <b>Avaliações complementares para pacientes em TRE<sup>j</sup></b>   |   |   |                          |   |
| Anticorpos anti-ASB totais <sup>k</sup>  | ● | ● | Anualmente após 24 meses |   |

Adaptado de Giugliani, *Pediatrics*, 2007.

Abbreviations: MPS VI, mucopolysaccharidosis VI; MRI, magnetic resonance imaging; uGAG, urinary glycosaminoglycan.

<sup>a</sup>“Conforme clinicamente indicado” geralmente significa a cada 2 a 3 anos, dependendo da taxa de progressão da doença e dos sintomas clínicos.

<sup>b</sup>Para crianças, exames mais frequentes são necessários.

<sup>c</sup>Monitoramento até que o crescimento da cabeça cesse.

<sup>d</sup>Continue assessments until pubertal maturation is completed.

<sup>e</sup>Paradigma de teste de resistência antes e após a terapia de reposição enzimática (TRE): distância caminhada em 12 minutos (ou teste de caminhada de 6 minutos de acordo com as diretrizes da American Thoracic Society, mas, de preferência, mesma duração de minuto conforme o teste realizado anteriormente); número de degraus subidos em 3 minutos.

<sup>f</sup>Median nerve conduction measured to evaluate carpal tunnel syndrome.

<sup>g</sup>Testes de função pulmonar devem incluir a capacidade vital forçada, o volume expiratório forçado em 1 segundo e a ventilação voluntária máxima.

<sup>h</sup>Visões laterais anteroposterior e “perna de rã” da pelve.

<sup>i</sup>RMI do cérebro e da medula espinhal pode precisar de sedação ou de anestesia geral, dependendo da idade e da cooperação do paciente. Anestesia geral traz um risco importante para pacientes com MPS VI. risk for patients with MPS VI.

<sup>j</sup>Para pacientes com a TRE, os resultados devem ser obtidos na visita basal, então nos meses 3, 6, 12, 18 e 24, e então anualmente.

<sup>k</sup>Teste de anticorpo anti-ASB encontra-se disponível apenas para pacientes dos EUA incluídos no programa de vigilância clínica.