

Tratamento

O tratamento dos pacientes com MPS IV A envolve equipe multidisciplinar e inclui intervenções gerais (como cirurgias para correção das alterações esqueléticas) e outras específicas sobre a proteína mutante (como a TRE intravenosa e o TCTH). Outras medidas terapêuticas, como uso de TRE intratecal, chaperonas, inibidores de síntese de substrato e terapia gênica, estão ainda em fase de desenvolvimento para outras MPS e ainda não foram avaliadas para a MPS IV A.

Tratamento disponível no CEAF: Alfaelossulfase 1 mg/mL injetável – solução injetável – por frasco ampola de 5mL.

PELA SUA SAÚDE:

1. **LEIA AS INFORMAÇÕES**
DAS EMBALAGENS DOS MEDICAMENTOS.

2. **SIGA AS INSTRUÇÕES**
DO SEU MÉDICO
OU FARMACÊUTICO.



Horário de Assistência Farmacêutica:

Segunda à Sexta

das 07h00 às 17h00

**Para maiores informações procure o
Farmacêutico.**



Comissão de Atenção Farmacêutica
Farmácia do Componente Especializado da
Assistência Farmacêutica
SPDM – Associação Paulista para o Desenvolvimento
da Medicina
2025

Farmácia de Medicamentos Especializados
SPDM - Associação Paulista para o Desenvolvimento da Medicina

COMISSÃO DE ATENÇÃO FARMACÊUTICA

MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IV

Síndrome de Morquio
Mucopolissacaridosis Tipo IV



www.somosdiscos.es

Somosdiscos



Introdução

A Mucopolissacaridose (MPS) tipo IV A (MPS IV A), ou Síndrome de Morquio A, é uma doença genética rara, de herança autossômica recessiva, causada pela atividade deficiente da enzima N-acetilgalactosamina-6-sulfatase (GALNS), responsável pela degradação dos glicosaminoglicanos (GAG) queratan sulfato (QS) e condroitina 6-sulfato (C6S), resultando no acúmulo desses componentes nos lisossomos de múltiplos tecidos do corpo.

SUBTIPO	GENE(S) ASSOCIADOS(S)	PADRÃO DE HERANÇA
MPS I	<i>IDUA</i>	Autossômico recessivo
MPS II	<i>IDS</i>	Recessivo ligado ao cromossomo X
MPS III	<i>GNS, HGSNAT, NAGLU e SGSH</i>	Autossômico recessivo
MPS IV	<i>GALNS e GLB1</i>	Autossômico recessivo
MPS VI	<i>ARSB</i>	Autossômico recessivo
MPS VII	<i>GUSB</i>	Autossômico recessivo
MPS IX	<i>HYAL1</i>	Autossômico recessivo

Causas

Causada pela atividade deficiente da enzima N-acetilgalactosamina-6-sulfatase a MPS IV A não deve ser confundida com a síndrome de Morquio B (ou MPS IV B), pois a última, embora tenha denominação semelhante e possa se associar a quadro clínico similar, é causada pela atividade deficiente de outra enzima, a beta-galactosidase.



Sintomas

A MPS IV A é uma doença multissistêmica, heterogênea e progressiva, com velocidade de progressão dos sintomas e gravidade muito variáveis. Alterações esqueléticas e articulares, incluindo genu valgo, hipermobilidade articular, subluxação e displasia de quadril, compressão de canal medular, instabilidade atlantoaxial e cifoescoliose toracolombar, são as manifestações clínicas mais prevalentes. A doença valvular cardíaca e as complicações respiratórias diminuem a resistência às diversas atividades diárias e são comuns nesses pacientes.

