

Proposta Memória Acadêmica

1. Ficha Técnica

Título do Programa:

State of the Art in Duchenne Muscular Dystrophy: Self-Assessment Program.

Entidade Organizadora / Provedor Educativo:

Hygeia Learning Hub.

Fonte Científica Exclusiva:

American Academy of Neurology (AAN), através de seus *journals* de referência: *Neurology*, *Neurology Clinical Practice*, *Neurology Neuroimmunology & Neuroinflammation*, *Neurology Genetics*, *Neurology Education*, *Neurology Open Access*, *Continuum: Lifelong Learning in Neurology*, *Neurology Today*, além de outros recursos multimídia da sociedade.

Modalidade de Ensino:

Formação 100% Online (*E-learning* interativo) + *Webinar* de Abertura ao Vivo.

Datas Previstas de Edição:

De Outubro de 2026 a Maio de 2027 (Plataforma aberta durante 8 meses).

Acreditação:

Dupla acreditação:

- Créditos concedidos pelo *European Accreditation Council for Continuing Medical Education* (EACCME), com validade na América Latina graças ao acordo de reciprocidade firmado entre a UEMS-EACCME e a CONFEMEL (Confederação Médica Latino-ibero-americana).
- Igualmente, os créditos EACCME são convertidos automaticamente em créditos *AMA PRA Category 1 Credits™* (Estados Unidos). Os conselhos de medicina da América Latina (incluindo o CFM no Brasil) reconhecem a excelência e validade das creditações internacionais para pontuação em atualização profissional.

Chancelas Científicas Solicitadas (Avaes):

- Sociedad Española de Neurología (SEN).
- Sociedad Española de Neuropediatría (SENEP).
- Possibilidade de incluir uma associação médica local

Patrocínio / Suporte Educativo (Unrestricted Educational Grant):

Programa financiado através de uma bolsa formativa não condicionada. As entidades patrocinadoras não terão qualquer intervenção no desenho pedagógico, na seleção dos autores ou no conteúdo científico independente do programa.

2. Apresentação do Curso

O programa formativo "State of the Art in Duchenne Muscular Dystrophy: Self-Assessment Program" é uma iniciativa de alta especialização promovida pelo Hygeia Learning Hub. Define-se como um ecossistema de atualização médica avançada, estruturado em um formato de *e-learning* interativo e disruptivo, desenhado para liderar a transição do especialista para a nova era da medicina de precisão na patologia neuromuscular.

Baseando-se exclusivamente na excelência editorial da *American Academy of Neurology (AAN)* — incluindo *journals* de alto impacto como *Neurology*®, *Continuum* e *Neurology: Genetics* — o curso articula um currículo de três módulos que percorrem o *continuum* clínico da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD). O programa abrange desde a vanguarda da arquitetura genômica até o novo paradigma da modulação epigenética (inibição da HDAC), culminando em um pilar de humanização centrado no bem-estar do profissional médico e na autonomia do paciente adolescente e adulto.

3. Justificativa da Atividade

O manejo clínico da DMD encontra-se em um ponto de inflexão histórico. Tradicionalmente focada no suporte paliativo e no uso crônico de corticosteroides, a neurologia atual presencia a irrupção de terapias modificadoras da doença que atuam sobre a expressão gênica e a remodelação muscular.

A recente aprovação regulatória de novas moléculas como o givinostate (inibidor da histona desacetilase - HDAC) propõe um cenário clínico inédito: a possibilidade de intervir na cascata patogênica de forma independente da mutação genética subjacente. Esta inovação, no entanto, traz consigo uma complexidade técnica e uma responsabilidade na segurança clínica (monitorização hematológica e metabólica) que o especialista deve dominar com rigor absoluto.

A presente atividade justifica-se pela urgência de preencher três lacunas (gaps) críticas detectadas na prática assistencial no Brasil (SUS e Saúde Suplementar):

1. **Dimensão de Precisão Genômica:** A medicina moderna exige que o neurologista e o neuropediatra não apenas diagnostiquem, mas interpretem a arquitetura genética para prever fenótipos e selecionar alvos terapêuticos. As publicações da *Neurology: Genetics* formam a base necessária para esta competência.
2. **Dimensão Terapêutica e de Segurança:** A modulação epigenética requer um conhecimento profundo da fisiopatologia muscular e um manejo técnico dos protocolos de segurança clínica (vigilância de trombocitopenia e hipertrigliceridemia). É imperativo transpor a evidência dos ensaios pivotais (estudo EPIDYS) para algoritmos de prática diária (*From Podium to Practice*).
3. **Dimensão Humanista e Bem-Estar (Soft Skills):** A DMD é uma doença que afeta a biografia, não apenas a biologia. Existe uma necessidade premente de formação em habilidades não técnicas: comunicação de diagnósticos complexos, gestão da esperança em terapias emergentes e prevenção do *Burnout* nas equipes que lidam com situações de alta carga emocional. O enfoque de "Amizade Médica" do Movimento Hipocrático é o complemento essencial para um cuidado de excelência.

Em suma, este programa é indispensável para garantir que os especialistas brasileiros liderem a aplicação das diretrizes da AAN e os padrões da *TREAT-NMD*, assegurando uma medicina que seja, simultaneamente, cientificamente avançada e profundamente humana.

4. Objetivos da Atividade

4.1 Objetivo Geral

Capacitar o especialista em Neurologia e Neuropediatria no manejo clínico integral da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) sob o novo paradigma da modulação epigenética, dotando-o das competências científicas e transversais necessárias para integrar a evidência da *American Academy of Neurology (AAN)* com um enfoque humanista centrado na segurança do paciente e na excelência assistencial.

4.2 Objetivos Específicos

Para atingir o objetivo geral, o programa propõe a aquisição das seguintes competências específicas, divididas por dimensões críticas da prática médica:

De conhecimento fisiopatológico e genético:

- Compreender a influência da arquitetura genética e da regulação epigenética no fenótipo muscular da DMD, baseando-se nas últimas revisões da *Neurology: Genetics*.
- Identificar o papel das histonas desacetilases (HDAC) na cascata patogênica da inflamação e da fibrose muscular para entender o mecanismo de ação das terapias independentes de mutação.
- Atualizar o conhecimento sobre os padrões de cuidado internacionais vigentes emanados da rede *TREAT-NMD* e das diretrizes de prática clínica da AAN.

De manejo clínico e terapêutico:

- Analisar a eficácia e segurança clínica do reequilíbrio epigenético mediado por inibidores da HDAC, desdobrando os resultados dos ensaios clínicos pivotais (estudo EPIDYS) apresentados na literatura de referência.
- Interpretar de forma prática as métricas analíticas de monitorização de segurança exigidas pelas agências reguladoras, com especial ênfase na contagem plaquetária e nos níveis de triglicerídeos.
- Aplicar algoritmos de decisão clínica para a seleção do paciente candidato a novas terapias e para o manejo proativo de toxicidades hematológicas e metabólicas no ambiente ambulatorial e hospitalar.
- Dominar a interpretação de escalas funcionais de precisão (teste de subida de 4 degraus - 4SC e *North Star Ambulatory Assessment* - NSAA) para a avaliação da resposta terapêutica na vida real (*real-world evidence*).

De habilidades humanísticas e comunicação (Soft Skills):

- Incorporar estratégias de comunicação avançada e Medicina Narrativa para gerir de forma empática o impacto emocional dos diagnósticos genéticos complexos na família.
- Aplicar o modelo de Tomada de Decisão Compartilhada (SDM - *Shared Decision Making*) para envolver o paciente adolescente na escolha de sua terapia, avaliando o impacto da mesma através dos *Patient Reported Outcomes* (PROs).
- Implementar protocolos de prevenção do *Burnout* e da Fadiga por Compaixão nas equipes das Unidades de Patologia Neuromuscular, reconhecendo a vulnerabilidade do profissional diante da cronicidade complexa do paciente com DMD.

- Transformar a vantagem técnica da inovação terapêutica em planos de ação que fomentem a autonomia vital do paciente (educação, lazer e transição para a vida adulta), minimizando a carga do tratamento (*Treatment Burden*).

5. Estrutura e Conteúdos Acadêmicos

O programa está estruturado em três módulos principais, desenhados sob um modelo de aprendizagem progressiva. Cada módulo garante a aquisição integral de competências mediante um *design* instrucional padronizado (UX) composto por 8 seções pedagógicas obrigatórias para o aluno.

Módulo 1: Epigenética e Novos Alvos: Muito Além da Distrofina

Objetivo: Aprofundar-se na paisagem molecular atual e na relevância da regulação epigenética no músculo distrófico para prever o comportamento clínico diante de terapias sistêmicas.

- **Executive Brief (Texto + Podcast):** Resumo executivo introdutório: "O mapa epigenético do músculo: Por que a inibição da HDAC representa uma via terapêutica universal".
- **Scientific Core:** Artigos na íntegra (*Full-text*) extraídos de *Neurology Genetics* e *Human Molecular Genetics* sobre a fisiopatologia da inflamação crônica e da fibrose, diagramados com a extração de "pontos-chave" (*Key Takeaways*).
- **Critical Debate:** Análise de controvérsias atuais extraídas de *Neurology Today*: "Tratamentos independentes de mutação: Rumo a uma democratização real do acesso terapêutico?".
- **Further Readings:** Resumos breves com links diretos para o PubMed, registros de variantes da AAN e padrões *TREAT-NMD* de acesso livre para expansão bibliográfica.
- **Practice Insights:** Resumo prático tipo "Mensagens para levar para a prática" (*Take-home messages*) sobre o algoritmo clínico para o estadiamento do paciente pediátrico candidato a terapias de precisão.
- **Clinical Cases:** Resolução interativa de um caso clínico (ex.: diagnóstico molecular em um menino de 4 anos) com perguntas e respostas. Inclui um enfoque humanista centrado na condução do aconselhamento genético e na comunicação do diagnóstico inicial.

- **Self-Assessment:** Questionário interativo de avaliação (10 questões de múltipla escolha com *feedback* fundamentado) baseado na literatura do módulo para consolidação dos conceitos moleculares.
- **Multimedia:** Material audiovisual complementar que inclui uma animação 3D sobre a remodelação muscular e a cascata patogênica da DMD a nível epigenético.

Módulo 2: Novas Estratégias de Tratamento em DMD: Evidência e Prática

Objetivo: Análise exhaustiva da evidência científica das terapias emergentes e o domínio dos protocolos de segurança clínica.

- **Executive Brief (Texto + Podcast):** Resumo executivo: "Evidência clínica atual nos inibidores da HDAC: Do ensaio EPIDYS à prática assistencial".
- **Scientific Core:** Artigos completos sobre os resultados de eficácia (4SC, NSAA) e segurança de terapias de não-reposição publicados em *Neurology*[®] e *Neurology: Clinical Practice*.
- **Critical Debate:** Artigo abordando o desafio da aprovação e precificação: "Padronização da monitorização: Gestão proativa do risco hematológico e metabólico no Brasil".
- **Further Readings:** Links para documentos de consenso da AAN sobre o uso de Ressonância Magnética muscular e biomarcadores de segurança.
- **Practice Insights:** Protocolo de segurança passo a passo: "*Checklist* de monitorização de plaquetas e triglicerídeos antes e durante o tratamento: Como e quando ajustar a dose?".
- **Clinical Cases:** Caso clínico interativo focado no manejo prático de toxicidades frequentes e no ajuste posológico baseado no peso real do paciente e no perfil analítico.
- **Self-Assessment:** Questionário formativo de avaliação (10 questões de múltipla escolha com *feedback* fundamentado) centrado na farmacologia clínica e algoritmos de segurança.
- **Multimedia:** Vídeo-tutorial técnico sobre a correta administração e preparação das novas suspensões orais e a interpretação de métricas funcionais de precisão.

Módulo 3: Manejo Integral e Qualidade de Vida: O Enfoque Hipocrático

Objetivo: Integrar a vantagem técnica da inovação terapêutica ao modelo de Medicina Hipocrática, focando-nos na autonomia do paciente e na prevenção do esgotamento profissional.

- **Executive Brief (Texto + Podcast):** Resumo executivo: "Humanização e cronicidade: Como a medicina de precisão redesenha o projeto de vida do adolescente com DMD".
- **Scientific Core:** Artigos extraídos de *Neurology: Education* e *Neurology Today* sobre resultados relatados pelos pacientes (*Patient Reported Outcomes - PROs*) e métricas de qualidade de vida.
- **Critical Debate:** O desafio do humanismo na era digital: "A transição para a vida adulta: Como equilibrar a autonomia do paciente com a continuidade da aliança terapêutica?".
- **Further Readings:** Resumos e links para bibliografia fundamental sobre Medicina Narrativa, abordagem da carga de tratamento (*Treatment Burden*) e modelos de Tomada de Decisão Compartilhada (SDM).
- **Practice Insights:** Guia rápido para o consultório: "Avaliação bio-psico-social do adolescente: Ferramentas para empoderar o paciente na sua transição vital".
- **Clinical Cases:** Caso clínico narrativo centrado no acompanhamento emocional de uma família diante de uma falha terapêutica ou de uma progressão da doença, aplicando o modelo de "Amizade Médica".
- **Self-Assessment:** Questionário interativo de avaliação (10 questões de múltipla escolha com *feedback* fundamentado) sobre a aplicação de escalas de qualidade de vida e detecção de *Burnout* na equipe médica.
- **Multimedia:** Material audiovisual de alto impacto com depoimentos de pacientes e especialistas sobre a gestão da esperança e a manutenção da vocação em unidades de alta complexidade.

6. Direção Acadêmica e Institucional

Editor-Chefe do Programa e Editor do Módulo 2 (Novas Estratégias de Tratamento e Segurança)

Dr. Andrés Nascimento Osorio

Neuropediatra e Responsável pela Unidade de Patologias Neuromusculares do Hospital Sant Joan de Déu (Barcelona). Investigador principal de renomados ensaios clínicos internacionais em DMD (incluindo o programa clínico de inibidores da HDAC). Membro ativo da rede europeia *TREAT-NMD*.

Editor do Módulo 1 (Epigenética e Novos Alvos)

Dr. Adolfo López de Munain Arregui

Diretor da Área de Neurociências do Instituto de Pesquisa Sanitária Biodonostia e Chefe do Serviço de Neurologia do Hospital Universitário Donostia. Referência em genética de doenças neuromusculares sob o prisma da medicina de precisão.

Editor do Módulo 3 (Manejo Integral e Humanismo)

Dr. Juan Jesús Vilchez Padilla

Chefe de Serviço de Neurologia (Emérito) do Hospital Universitário e Politécnico La Fe (Valência). Catedrático de Neurologia. Sua visão integradora da cronicidade e o enfoque ético da relação médico-paciente o posicionam como a autoridade natural para liderar o bloco de Humanismo.

7. Público-Alvo

A presente atividade formativa foi desenhada para um espectro profissional multidisciplinar, reconhecendo que o sucesso no manejo da DMD depende da coordenação entre os diferentes níveis assistenciais e do suporte técnico especializado.

- Médicos Especialistas em **Neuropediatria e Neurologia** (com especial interesse em profissionais vinculados a Unidades de Doenças Neuromusculares).
- Especialistas em **Genética Médica** (responsáveis pela interpretação de variantes e aconselhamento genético).
- **Pediatras de Atenção Primária / Geral:** Perfil crítico para a suspeita clínica inicial e a detecção precoce mediante a dosagem de CK.
- **Médicos de Família e Comunidade:** Profissionais responsáveis pelo acompanhamento na idade adulta e pela gestão de comorbidades.
- **Médicos Residentes / Especializandos** nas especialidades mencionadas.

8. Metodologia e Sistema de Avaliação

8.1. Metodologia Docente (UX e Navegação)

O curso está alojado em um Ambiente Virtual de Aprendizagem (LMS) avançado, acessível de qualquer dispositivo (*design responsive*). A metodologia é assíncrona, permitindo ao especialista conciliar a formação com sua carga assistencial. Para garantir a assimilação progressiva, a plataforma exige um fluxo de navegação sequencial: o aluno não poderá acessar o exame final sem ter visualizado previamente 100% dos conteúdos dos três módulos e superado as avaliações formativas intermediárias (*Self-Assessments*).

8.2. Sistema de Avaliação Integral

O programa implementa um duplo sistema de avaliação para certificar a aquisição de competências, cumprindo com os padrões internacionais do EACCME:

- **Avaliação Formativa Contínua (Self-Assessments):**
 - Ao finalizar cada módulo, o aluno deverá completar um questionário interativo de 10 questões de múltipla escolha.
 - Cada resposta (correta ou incorreta) oferece um *feedback* fundamentado de forma imediata, referenciando a literatura do *Syllabus*, o que consolida o aprendizado através de tentativa-e-erro.
- **Avaliação Somativa Final:**
 - Ao concluir o terceiro módulo, o Exame Final Online será desbloqueado.
 - Constará de 30 questões de múltipla escolha com resposta única (10 questões extraídas aleatoriamente do banco de dados de cada módulo).
 - **Critérios de aprovação:** Será necessário obter pelo menos 80% de acertos para aprovação. O aluno disporá de um máximo de 2 tentativas para superar esta prova.
- **Pesquisa de Qualidade e Satisfação:**
 - Uma vez superado o exame, será requisito indispensável o preenchimento de uma pesquisa de satisfação anônima avaliando a qualidade científica, o trabalho dos autores e a plataforma técnica.

- **Acreditação e Diplomas:**

- Após cumprir todos os requisitos anteriores, a plataforma habilitará o download automático e seguro (com código de verificação) do Diploma, onde constarão explicitamente os logotipos das chancelas científicas (ABN / SBNI) e os créditos de educação médica continuada outorgados pela UEMS-EACCME.