

## Contribuições da Consulta Pública - PCDT - PCDT para Doença de Gaucher - CONITEC

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
26/03/2017	Interessado no tema	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não	A dignidade humana merece uma medicina de qualidade.	
26/03/2017	Interessado no tema	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não	A dignidade humana merece uma medicina de qualidade.	
27/03/2017	Interessado no tema	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	Não		
27/03/2017	Profissional de saúde	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
27/03/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não	Minhas duas filhas tem DG 1, a mais velha com mais de um ano de tratamento TRE apresentou melhora em 100%, a mais nova ainda apresenta aumento no fígado e baço. Mas o tratamento com Imiglucerase tem sido eficaz. A mais velha começou nas últimas infusões apresentar náusea, vomito e diarreia após a infusão, a mais nova apresentou coceira no local da infusão e diarreia.	
28/03/2017	Paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
28/03/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	Sim, Critério de exclusão para o ALFATALIGLICERASE: e) Ter idade inferior a 18 anos, e não 4 conforme texto. Entendo a questão do custo do imiglucerase, mas não podemos arriscar o crescimento e desenvolvimento da criança/adolescente trocando o medicamento nesta fase. Temos poucas referências pediátricas no uso do ALFATALIGLICERASE no BRASIL.	Se o paciente (e médico responsável) não puder escolher o seu medicamento, o que deveria ser o correto, ao menos, o protocolo deveria garantir a continuidade do uso do IMIGLUCERASE aos menores de 18 anos. Assim teríamos mais tempo para uma análise mais abrangente em crianças (virgens de TRE) maiores de 4 anos. Sendo assim, usar o ALFATALIGLICERASE somente em maiores de 4 anos que são virgens de TRE.	
29/03/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
29/03/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
29/03/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	acho que o paciente que está sendo beneficiado com o remédio que está usando deve continuar e que cabe ao médico decidir qual o melhor tratamento para o paciente.	
30/03/2017	Interessado no tema	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
30/03/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
30/03/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
30/03/2017	Paciente	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	Sim, Não se deve restringir o tratamento da doença utilizando o remédio apenas de um determinado laboratório, tendo em vista que já existem muitos estudos para evolução do tratamento de maneira que traga mais qualidade de vida para os pacientes, um exemplo disso é o estudo realizado por um laboratório e que já foi aprovado é o uso de comprimidos para tratamento da Doença de Fabry os quais desempenham a mesma função que a enzima já utilizada no tratamento mas tais comprimidos só podem ser administrados para algumas das várias mutações de Fabry, mas estuda-se para oferecer esse medicamento para cada vez mais pacientes diminuindo a necessidade de ter que ser realizada reposição enzimática a cada quinze dias, o que causa transtornos para alguém que precise trabalhar quarentena ou mais horas semanais, pois o tratamento com os comprimidos seria a manutenção do organismo com a ingestão de apenas dois comprimidos a cada dois dias, isso é uma maravilha pois a pessoa pode ter uma rotina de trabalho e demais tarefas como se fosse uma pessoa comum; como qualquer outra.		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
30/03/2017	Profissional de saúde	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
30/03/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, A faculdade dos pacientes escolherem o tratamento deles.		
30/03/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
30/03/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
30/03/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
30/03/2017	Interessado no tema	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não	Sem mais, pois bem produzido e elaborado	
30/03/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Pra que mexer em algo que está dando certo?	
30/03/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
30/03/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Queremos que os pacientes e os médicos continuem tendo liberdade para escolher a melhor opção de tratamento/medicamento para cada caso, tendo em vista que estamos falando de uma Doença Genética Rara, independente de qual variável seja detectada.	
30/03/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
01/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Item 6.1e) Ter idade superior a 18 anos	Não concordo que a ALAFTALIGLICERASE seja a primeira opção no TRE. Meu médico disse que sou muito alérgico. Quem garante que essa troca não causará uma fatalidade?	
01/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, 6.2 Pacientes com idade igual ou superior a 18 anos, virgens de tratamento. Nestes casos, desde que respeitados os demais critérios de inclusão (sub-item 5.1) e de exclusão (sub-item 6.1) deste Protocolo, o tratamento deve ser iniciado com alfataliglicerase.	Não concordo que a ALFATALIGLICERASE seja a primeira opção do TRE. Percebe-se pelo texto e relato histórico que este medicamento é INFERIOR ao IMIGLUCERASE, tanto é que está proibido para menores de 4 anos. Qual a razão desta proibição?	
02/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
03/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não	Meu filho faz uso da imiglicerase a mais de 14 anos e além dos ótimos resultados obtidos com o tratamento, nunca tivemos qualquer tipo de reação adversa durante ou após a infusão. Desta forma gostaríamos de manter o tratamento com imiglicerase que nos atende todas as expectativas.	
03/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não	O Matheus está há 14 anos fazendo uso do medicamento IMIGLUCERASE. O paciente está respondendo bem ao tratamento.. Nunca teve reação adversa durante ou após as infusões Portanto gostaria que mantivesse o IMIGLUCERASE	
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não	Sou mãe de duas pacientes em tratamento com Imiglicerase há 2 anos, e embora tenham apresentado melhora significativa tem apresentado também fortes reações a medicação. A possibilidade de experimentar novas medicações seria válida.	
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
04/04/2017	Interessado no tema	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não	Concordo totalmente com a recomendação preliminar!!	
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
04/04/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	<p>Sim, Primeiramente gostaríamos de agradecer ao Governo Brasileiro pelo apoio que vem dando a Comunidade de Gaucher nos últimos 20 anos. Temos um dos melhores programas de tratamento do mundo e isso é reconhecido por diversos países e outras comunidades de Gaucher afora. Somos um exemplo a ser seguido. Nos orgulhamos do governo que deu dignidade a mais de 700 pacientes e seus familiares. Hoje já temos pacientes de Gaucher, que eram crianças e viraram pais e pais que se tornaram avós graças ao tratamento, podendo lhes dar uma vida digna. É muito importante que este programa de Gaucher seja mantido e obviamente com o avanço de novas tecnologias, o mesmo seja atualizado. Porém acreditamos que devemos evitar riscos desnecessários no atendimento aos pacientes. Entendemos o plano do governo de ter uma produção nacional, desde de que tenhamos um alto nível de qualidade e que o tratamento não fique restrito a uma única opção, pois sabemos que há níveis diferentes da doença. Ter opções terapêuticas sempre foi um sonho para os pacientes de Gaucher, pois depender de uma única droga é algo perigoso (visto o que ocorreu na falta de imiglucerase no passado). Mas não há produção nacional ainda, todos os medicamentos são importados. A produção das TRE's são extremamente complexas e estudos deveriam ser feitos para validar o novo medicamento nacional. É importante para a comunidade de Gaucher e que tenhamos as melhores opções de tratamento independentemente de ser nacional ou estrangeira. Concordamos que devemos evitar a troca de medicamentos em pacientes que estejam respondendo bem e sugerimos que isto seja incluído no PCDT. Que sejam mantidos os tratamentos atuais dos pacientes. O tratamento para novos pacientes deveria ser definido pelos médicos e estes deveriam ter todas as opções disponíveis. E em relação às opções, a Associação entende que devemos incluir o Eliglustat no programa, novo medicamento oral aprovado no FDA e recentemente pela ANVISA. Se temos um programa de Gaucher exemplar e temos uma nova droga aprovada</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			pela ANVISA, entendemos que essa droga deve ser incluída no protocolo.A droga oral traz uma comodidade para o paciente e economia para o governo, pois poderá disponibilizar cadeiras de infusão para outras doenças, além de filtros,bombas, agulhas,etc. Temos pacientes que vivem longe dos centros de infusão e temos também pacientes que trabalham e possuem muita dificuldade em se ausentar a cada 15 dias para se tratarem.Mais uma vez gostaríamos de agradecer ao governo pelo tratamento dispensado a comunidade de Gaucher e destacar a importância para que este novo PCDT agregue benefícios para os pacientes.Hoje o programa é um exemplo para o mundo, os pacientes estão bem atendidos e com opções disponíveis.Devemos tomar muito cuidado em propor mudanças drásticas em uma doença tao complexa como Gaucher.AtenciosamenteABPDG		
04/04/2017	Interessado no tema	Concordo parcialmente da recomendação preliminar	Não		
04/04/2017	Interessado no tema	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
04/04/2017	Interessado no tema	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
04/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
05/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	Não		
05/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
05/04/2017	Profissional de saúde	Concordo parcialmente da recomendação preliminar	Sim, 1) Concordo com a escolha da alfataliglicerase como medicação de escolha para garantir a autonomia nacional na produção da enzima recombinante SE a produção já ocorre no país ou ocorrerá nos próximos meses. Se ainda há necessidade da importação da medicação, e por se tratarem de enzimas com eficácia, segurança e custo semelhantes, não deve haver imposição quanto à escolha da medicação. Se a imposição for decorrente do custo menor para aquisição da alfataliglicerase, essa informação deve constar claramente no PCDT.2) Foi aprovado pela ANVISA em março/2017 a medicação CERDELGA, um inibidor da síntese de substrato, que pode ser utilizado como primeira escolha em adultos com doença de Gaucher tipo 1. Essa medicação deve ser incluída no PCDT.3) Para os pacientes deficientes em quitotriosidase, se a dúvida diagnóstica persistir, pode ser utilizado o biomarcador glucosilesfingosina (Lyso-GB1).		<a href="#">Clique aqui</a>
05/04/2017	Profissional de saúde	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
05/04/2017	Interessado no tema	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
05/04/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Liberdade de escolha para o tratamento pelo médico em acordo com o paciente;Experiência de 20 anos de utilização da Imiglucerase tanto em crianças quanto adultos com excelentes respostas terapêuticas;Receio pela troca e principalmente que a Alfataliglicerase não apresenta bons resultados e tem muitos eventos adversos graves nos pacientes que a utilizaram em todo o Brasil;A Tali não apresenta em estudos redução da doença óssea, fato demonstrado em estudos pela Imiglucerase;Crianças que utilizaram Imiglucerase não foram prejudicadas no seu desenvolvimento;Imiglucerase tem a comodidade para administração - pode ser administrado em casa com acompanhamento de um profissional de saúde;Vários casos de eventos adversos e graves com o uso de Taliglucerase.	O tratamento de qualquer patologia, deve ser decidido e feito pelo profissional de saúde (técnico) que acompanha e é o responsável pelo paciente.O protocolo deve ser atualizado com a liberação de todas as terapias disponíveis no mercado, inclusive com a inclusão do recém aprovado pela Anvisa - Eliglustat e a decisão de qual irá utilizar deve ser do responsável técnico em acordo com o paciente/família.	
05/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
05/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Com a redução do medicamento, pode pior os sintomas da doença.	
05/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
09/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Com certeza o tratamento deve ser de livre escolha - do médico que conhece seu paciente, e por isso solicitamos que todos os produtos disponíveis sejam incluídos no PCDT		
09/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Acreditamos que o tratamento deve ser de livre escolha do médico, e então todos os produtos devem ser incluídos no PCDT, isto beneficiará os pacientes que terão o tratamento adequado para sua realidade.		
09/04/2017	Paciente	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	Sim, PACIENTE EM TRATAMENTO COM IMIGLUCERASE, HÁ MAIS DE UMA OU DUAS DÉCADAS, MANTER NO MESMO MEDICAMENTO. SEM NECESSIDADE DE ALTERAÇÃO, UMA VEZ QUE A EFICÁCIA JÁ ESTA COMPROVADA E SE MANTÉM.	PACIENTE DEVE TER DIREITO DE ESCOLHA, JUNTAMENTE COM O MÉDICO, DE QUAL MEDICAMENTO DEVE FAZER	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
10/04/2017	Profissional de saúde	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Introdução do ustekinumabe no tratamento da artrite psoríase.		
10/04/2017	Profissional de saúde	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
10/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
10/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
10/04/2017	Interessado no tema	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	Não	Melhor manter o medicamento atual já que os pacientes se adaptaram e tiveram melhoras.	
10/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Na minha opinião, já que estamos falando sobre atualização de PCDT que seja incorporados todos os medicamentos aprovados pela ANVISA e a decisão de qual medicamento a ser utilizado deve ser do médico (técnico) e o paciente/família.	
11/04/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Os pacientes poderiam fazer o tratamento em casa com auxílio de um técnico de enfermagem acima de 18 anos. O exame de enzima é um exame complexo sendo feito em laboratórios específicos, que poucos laboratório de erros inatos fazem, vcs querem fazer esse exame via sus onde a margem de erro é 95 por cento, onde um paciente sendo DG pode dar negativo naturalmente pela falta de infraestrutura que o sus não tem. Acontecerá também que muitos poderiam dar positivo por erro no exame em entrar em tratamento sem ser DG.	Incabível colocar a alfa-galactosidase como 1º tratamento, pois a maioria usa imiglucerase no Brasil sendo que essa medicação não tem reação adversa sendo utilizada até para gestantes. Inadmissível vcs quererem tirar o direito dos médicos em escolher o melhor tratamento para o paciente, passando por cima da conduta médica em escolher. O médico junto com o paciente tem livre escolha em escolher o melhor tratamento, a imiglucerase no Brasil é usada por mais ou menos 650 pacientes desde bebês, crianças, adultos e idosos. A alfa-galactosidase tem mais ou menos uns 34 pacientes no Brasil, sendo que fora do Brasil está com restrição de uso já, e outra coisa mais grave essa medicação estão querendo colocar tabaco nela.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
11/04/2017	Profissional de saúde	Concordo parcialmente da recomendação preliminar	<p>Sim, Solicitar a inclusão do medicamento Eliglustate (Tartarato de Eliglustate) - Inibidor da síntese de substrato - autorizado pela Anvisa cujo registro foi publicado em 13/03/2017 em Diário Oficial da União. Atualmente tenho cinco pacientes em uso do Eliglustate desde janeiro de 2012, quando entraram no estudo clínico. Com final do estudo em agosto de 2015, os pacientes permanecem em uso do medicamento por expansão do estudo. Os cinco pacientes permanecem com resposta ótima tanto clínica como laboratorial, confirmando a excelente eficácia e segurança do referido medicamento. Consideramos incoerente e inaceitável a não inclusão do Eliglustate no atual protocolo, uma vez que já está aprovado no Brasil, e que assim como os nossos, vários pacientes estão em uso em outros Centros de Referência em Doença de Gaucher no nosso país. Ressalto ainda a necessidade de inclusão no atual momento, considerando que a próxima revisão deste PCDT está prevista somente em dois anos. No entanto, a PCDT atual (outubro/2011) está sendo revisada após cinco anos.</p>	<p>No item 5.1 b): Ressaltar que as respostas ósseas são bem mais demoradas que os outros parâmetros, não sendo prudente a substituição de tratamento após seis meses de uso de uma primeira opção em doses máximas, devido a avaliação de resposta de doença óssea. Sugerimos que para resposta óssea esse prazo seja de doze a vinte quatro meses. No item 5.1 Critérios Maiores b): Sugerir que não seja aceito a dosagem de Beta Glicocerbosidase em papel de filtro, uma vez que apresenta uma alta incidência de falso negativo e positivo, e que um aumento significativo da quitotriosidase não valida o exame, já que é uma enzima de fase aguda, podendo estar significativamente elevada em situações como estado inflamatório, gravidez, neoplasia, entre outras. Pessoalmente tivemos paciente com valores acima de 25 vezes o maior valor de referência, não resultante da Doença de Gaucher. Exs.: uma das gestantes chegou a níveis de 3.500 de quitotriosidase, outra paciente com níveis &gt;500 nmol/h/mL teve diagnóstico de hígado-carcinoma; (valor de referência máximo 132 nmol/h/mL).</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
11/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
11/04/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
11/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	<p>Tendo em vista a experiência ao longo de 20 anos de tratamento com imiglucerase, seus benefícios e a segurança comprovados nos pacientes de Doença de Gaucher, incluindo crianças e mulheres grávidas, tenho como minha opinião que a livre escolha do médico e do paciente deve ser respeitada.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
11/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
11/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
11/04/2017	Paciente	Concordo parcialmente da recomendação preliminar	Não	Não entendo por que esse assunto tão importante e de total interesse do paciente é tratado assim escondido, sim, pois a maioria dos pacientes não tem conhecimento do que está acontecendo, e nem como acessar essas informações. Um artigo de 57 páginas, é serio isso?! Para pessoas leigas... Isso é um total descaso, por que isso não é falado pelos médicos durante a consulta ou uma pesquisa direta feita com alguém que saiba explicar de maneira clara e fácil de entender o que será feito com a vida daquele paciente que necessita dessa medicação para sobreviver. Me desculpe mas vocês não estão preocupados com nossa opinião.	
11/04/2017	Profissional de saúde	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	Sim, Como voces continuam insistindo na Taliglucerase se o próprio laboratório que criou a molécula estao desistindo dela.	Governo deveria rever a maneira de legislar, ja que as leis complementares na área da saúde nao estão surgindo efeito.	
11/04/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Continuam insistindo numa molécula que o próprio laboratório que a desenvolveu esta deixando de lado.Pesquisando outra molécula. Esta na hora de desenvolver tecnologia biomolecular própria para economizar.Não sacrificar os pacientes que tanto sofrem, com negociações estapafúrdias.	
11/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
11/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, -Considero temerária a indicação de Alfataliglicerase alfa para crianças a partir de 4 anos. A Imiglicerase é muito mais segura (por seu tempo de uso, e pelo número de publicações científicas a respeito), e deveria continuar a ser utilizada em crianças e adolescentes;- Também considero temerária -e desumana- a exclusão de bebês com doença de Gaucher tipo 2 do protocolo de tratamento. Estas crianças também precisam, e merecem, receber tratamento para seus sintomas viscerais e hematológicos;- Sugiro que o protocolo indique laboratórios públicos para a realização de exames diagnósticos para a doença de Gaucher, atividade que, atualmente, é empreendida apenas pelas indústrias farmacêuticas.	- Acredito que a maioria dos pacientes, e seus familiares, não foram suficientemente informados e esclarecidos a respeito desta consulta pública. Imagino que poucos conhecem, ou compreendem, o teor deste documento e o impacto das alterações sugeridas, e suas consequências para suas vidas, e a de seus familiares;- aguardo, também, justificativas mais claras, por parte do Conitec, que demonstrem a necessidade de alterações do protocolo vigente (elaborado em 2014);- Sugiro a prorrogação do prazo desta consulta, para que os pacientes e seus familiares possam se informar melhor, opinar conscientemente e adequadamente, sobre as mudanças propostas.	
11/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Quero continuar com o mesmo medicamento que estou tomando, pq ele me faz bem.		
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, pois nos pacientes temos o direito de continuar com o nosso tratamento e benefícios que foi nos concedido desde de inicio.		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Nao	
12/04/2017	Paciente	Concordo parcialmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	O médico tem o direito de escolher o melhor tratamento para seu paciente sempre.As medições disponíveis são as melhores, o exame que querem colocar no SUSÉ bem completo e devem colocar , manter , em clínica especializada.	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	O médico tem direito de escolher o melhor tratamento para seu paciente sempre. As medicações disponíveis são as melhores, o exame que querem colocar no sus é bem completo e devem continuar em clínicas especializadas.	
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Como mãe de um paciente adulto , que foi tratado precocemente com altas doses de reposição enzimática aos 3 anos de idade, insisto que o tratamento ( tipo e doses de medicamento) deve ser avaliado caso a caso e baseado na avaliação médica individual ( médicos especialistas em DG), em centros de excelência. O resultado deste processo com fraturas patológicas graves na infância , além de outros sintomas , é um adulto clinicamente saudável , inserido no mercado de trabalho e tratamento de manutenção com as doses mais baixas recomendadas do medicamento Cerezyme , revelando a importância do " investimento" inicial . Medicamentos com longo histórico de evidências de sucesso devem ser mantidos nos casos em que o médico considerar que este é a melhor opção para a saúde do paciente.	
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Os pacientes poderiam fazer o tratamento em casa com auxílio de enfermeira	O exame de enzimas deve continuar sendo feito nos laboratórios específicos pois é bastante complexo e o SUS não está preparado além da probabilidade da margem de erros	
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Os pacientes poderiam fazer o tratamento em casa com auxílio de enfermeiros	O exame enzimático deve continuar sendo feito nos laboratórios específicos pois é bastante complexo e o SUS não está preparado além da probabilidade de erros	
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Os pacientes poderiam fazer o tratamento em casa com auxílio de enfermeiros	O exame enzimático deve continuar sendo feito nos laboratórios específicos pois é bastante complexo e SUAS não está preparado além da probabilidade de erro. O tratamento com a primeira opção de ser a alfataliglucerase é incabível pois o médico junto ao paciente deve escolher o melhor tratamento ( Imiglucerase)	
12/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Os pacientes poderiam fazer o tratamento em casa com auxílio de enfermeiros	O exame enzimático deve continuar sendo feito nos laboratórios específicos pois é bastante complexo e o SUS não está preparado além da probabilidade de erro e o alfataliglucerase como primeira opção é incabível pois o médico e paciente deve escolher qual é o melhor tratamento (Imiglucerase)	
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Paciente	Concordo parcialmente da recomendação preliminar	Sim, O respectivo protocolo clínico também deveria tratar sobre locais de infusões do medicamento, como: Treinamento de novas equipes em outros centros de saúde e, disponibilidade de outros centros de saúde próximos da residência do paciente, para melhor comodidade e "desafogar" os centros de referência.	Faço tratamento com imiglucerase a aproximadamente 15 anos. Atualmente, tenho dificuldades com os dias da infusão, pois resido longe do Hospital e isso atrapalha em minhas atividades profissionais. Nunca tive nenhuma reação alérgica ou adversa ao medicamento. Aceitaria a troca do medicamento, por um período de testes, desde que tenha total liberdade para voltar ao tratamento inicial, ou um atendimento mais flexível em prol também, da qualidade de vida, não só minha como de outros pacientes que passam pelo mesmo problema.	
12/04/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, O exame enzimático deve continuar sendo feito nos laboratórios específicos pois é bastante complexo e o SUS não está preparado pois é um exame bastante complexo, a margem de erro poderá ser desastroso	A alfataliglucerase como primeira opção é totalmente incabível, pois tem várias reações e restrições, quem tem o direito de escolher o melhor tratamento é o médico e paciente.	
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Os pacientes poderiam fazer o tratamento em casa com auxílio de enfermeiros	O alfaglucerase como primeira opção é totalmente incabível pois tem várias reações e restrições quem tem que escolher qual melhor tratamento é o médico e o paciente ( Imiglucerase)	
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Profissional de saúde	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	Não	Entendo que os centros de referências em doenças raras e médicos prescritores devem ter autonomia para prescrição dos diversos tratamentos para os pacientes a depender daquilo que seja o melhor para o paciente.	
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Inclusão de todos os medicamentos para doença de Gaucher	Gostaria que fosse respeitada a livre escolha médica para prescrição	
12/04/2017	Profissional de saúde	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	Sim, Não acho prudente o uso da alfataliglicerase em pacientes pediátricos, pois o estudo envolveu um número muito pequeno de pacientes e a maioria apresentou reação de hipersensibilidade. O uso da Imiglicerase já é feito há muito tempo, com grande número de pacientes com DG tipo 1, ótima resposta clínica e com muito pouco efeito adverso á medicação.	Acho que usar a alfataliglicerase em pacientes pediátricos, sem ter um melhor estudo nessa população, colocaria em risco a vida desses pacientes e prejudicaria o tratamento.	
12/04/2017	Profissional de saúde	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	Sim, Em primeiro lugar , o médico e seu paciente devem ter liberdade para escolher o tratamento mais adequado . A taliglicerase ainda é um novo medicamento , com poucos casos no mundo e pouco tempo de avaliação clinica . Não há tempo para dizer se a eficácia é igual a da imiglicerase , há 25 anos no mercado . Além disso a taliglicerase tem comprovadamente numero bem maior de eventos adversos . Trato pacientes com Gaucher desde 1996 e vi apenas uma reação a imiglicerase e foi leve . Com a taliglicerase os eventos são muito mais frequentes e graves ., havendo na bula americana incidência de 44 a 46% de reações , em estudos com pequeno numero de pacientes , 14 no primeiro estudo e 13 no segundo estudo .	portanto . de 14 pacientes, 6 tiveram reações . Em 52 paciente que acompanho( e form mais desde 1996 , alguns se mudaram e tratam em outro local) , 1 teve reação leve , em todos esses anos . Há a recomendação de uso hospitalar , sob supervisão médica e 4 dos meus pacientes fazem infusão em outra cidade , em local com profissionais de enfermagem treinados , mas sem medico e alguns fazem infusão domiciliar . Acredito que seriam necessários mais estudo para comprovar a eficácia e segurança da Taliglicerase antes de coloca-la como primeira opção .	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/04/2017	Profissional de saúde	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	<p>Sim, 1. Recomendação de indicação da taliglucerase para crianças com idade igual ou superior a 4 anos até os 18 anos não deveria ser absoluta, deveria ser permitida a escolha da imiglucerase ou alfavelaglucerase pelo médico prescritor;2. Confirmação de reações de anafilaxia e/ou hipersensibilidade não deveriam se restringir às IgE mediadas; na alergia à proteína heteróloga, 95% é mediada por células;3. Deveriam ser incluídas as recomendações da bula do Elelyso (taliglucerase no mercado norte-americano, revisada em 2016) em relação a riscos de hipersensibilidade e anafilaxia, com atualização dos percentuais de efeitos adversos;4. Agência reguladora canadense acrescenta que em relação à taliglucerase não existem evidências robustas indicando que a taliglucerase possa prevenir crises ósseas, desfecho este considerado crucial; 5. Atualização das informações sobre imunogenicidade segundo a bula atualizada (2016) do Elelyso;6. Recomendação mais explícita de uso de dose máxima (60 U/kg/2 semanas) da TRE para crianças e adolescentes, considerando-se o pico de massa óssea e prevenção de problemas ósseos em longo prazo;7. Ênfase a importância da liberdade do médico escolher a melhor medicação para seu pacientes, para que não se infrinja o Código de Ética Médica;</p>	Inclusão do eliglustate, recentemente aprovado pela Anvisa (março de 2017) no PCDT 2017 para doença de Gaucher, como terapia de inibição de substrato de primeira linha.	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/04/2017	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	Concordo parcialmente da recomendação preliminar	<p>Sim, Nesta revisão do PCDT, no item 10.3 – Resposta Terapêutica, foi retirado o texto sobre substituição de terapia. Este mesmo foi adicionado ao item 5.1 - PARA TRATAMENTO COM TERAPIA DE REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA (TRE), porém apenas aplicado à alfatiglicerase. Acreditamos ser necessário cobrir todas as possibilidades de substituição de terapia, previstas em protocolo, tanto de alfatiglicerase para imiglucerase ou velaglucerase, quanto o inverso. Desta forma, sugerimos a manutenção do texto que estava anteriormente, com os devidos ajustes, conforme segue abaixo, sem prejuízo da manutenção do texto no item 5.1. Apenas entendemos que o PCDT deve cobrir todas as possibilidades. Proposta de manutenção do texto no item 10.3:10.3 Resposta Terapêutica“....Uma vez iniciada a TRE com um medicamento, recomenda-se que não ocorra a sua substituição, salvo nas seguintes situações:a) reação de hipersensibilidade mediada por IgE ou evento adverso grave de acordo com critérios adotados no glossário da ANVISA dos Guias de Farmacovigilância para Detentores de Registro de Medicamentos (102);b) não havendo resposta adequada, desde que excluídas outras causas para tanto, e tendo ocorrido uso da mesma enzima até a dose limite superior (60 U/kg/infusão) por pelo menos 6 meses, é possível a substituição do tipo de enzima a ser administrada, a critério médico; Atenciosamente,</p>		
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	<p>Sim, Como futura paciente. Gostaria que continuasse da forma que está. Pois o resultado está dando certo.</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/04/2017	Empresa	Concordo parcialmente da recomendação preliminar	<p>Sim, REF: Consulta Pública CONITEC/SCTIE Nº 10/2017 Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas para Doença de Gaucher A ACTELION PHARMACEUTICALS DO BRASIL LTDA. vem por meio desse documento expressar suas sugestões frente a consulta pública disponibilizada pela CONITEC a respeito do PCDT de Doença de Gaucher. A doença de Gaucher é um distúrbio genético autossômico recessivo, causado por uma deficiência na enzima glicosilceramidase, que resulta no acúmulo do substrato glicosilceramida em diversos órgãos levando a um espectro de manifestações clínicas: hepáticas, esplênicas, renais, hematológicas (redução da contagem de plaquetas e sangramentos) e ósseas (desde osteopenia até necrose e fraturas patológicas). A doença de Gaucher é a principal doença de depósito lisossômico e afeta 1 em cada 40.000 nascidos vivos. Clinicamente, pode ser classificada em tipo 1 (não neuropática - forma mais frequente, correspondendo a 95% dos casos), tipo 2 (neuropática aguda - afeta lactentes e crianças e causa dano cerebral extenso e progressivo), e tipo 3 (neuropática crônica - afeta crianças e adolescentes com quadro neurológico variável, porém menos grave do que a forma 2). Seu tratamento consiste em recuperar o equilíbrio metabólico do organismo, evitando o acúmulo excessivo do substrato (glicosilceramida) dentro das células. Esse reequilíbrio pode ser obtido através da suplementação de enzimas ativas (Terapia de Reposição Enzimática - "TRE"), através da redução da quantidade de substrato (Inibição da Síntese de Substrato - "ISS"), ou através do aumento da atividade da enzima nativa defeituosa. Somente as duas modalidades terapêuticas inicialmente citadas estariam disponíveis pelo atual PCDT. Estariam, pois o miglustate, medicamento que atua sobretudo na ISS, comprovadamente também tem efeito de aumento da função da enzima nativa defeituosa (conhecido como "efeito chaperona") em mutações genéticas na Doença de Gaucher<sup>1</sup>. Portanto, o miglustate possui efeito tanto na ISS como no aumento da atividade da enzima nativa defeituosa. Entretanto, algumas considerações de melhorias podem ser instituídas no documento em questão, de forma a</p>		<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>garantir um melhor manejo clínico de seus portadores:No que diz respeito aos critérios menores para inclusão, o uso de miglustate não deve ser restrito à falha terapêutica ao Tratamento de Reposição Enzimática (TRE). O medicamento deve ser incluído também como primeira linha de tratamento para pacientes com doença leve a modera, conforme consensos internacionais<sup>2</sup>. Além disso, não só condições médicas, mas também condições sócios-econômicas e particulares de cada paciente, tais como, dificuldade para locomoção até centros de infusão, medo de agulha, regimes de trabalho que não permitem ausência dos pacientes para receber infusão e até a recusa do paciente em receber a infusão enzimática, devem também ser consideradas para escolha do miglustate como opção terapêutica tanto em primeira linha quanto em segunda linha de tratamento<sup>1</sup>. Inclusão no tratamento da Doença de Gaucher tipo 3, conforme as séries de casos descritas na literatura médica<sup>2-6</sup>, da dose de 200 mg via oral a cada 8 horas, ou seja, o dobro da dose utilizada para tratamento da Doença de Gaucher tipo 1, conforme o atual PCDT. A TRE é incapaz de prevenir o desenvolvimento de complicações do sistema nervoso central (SNC), uma vez que sua molécula seja maior do que 60kDa, o que impede sua passagem através da barreira hemato-encefálica. Em 2002, miglustate foi disponibilizado para utilização em pacientes portadores da doença de Gaucher. Diferentemente da TRE, miglustate, devido ao tamanho reduzido de sua molécula, consegue penetrar no SNC através da barreira hemato-encefálica, podendo interferir na história natural da doença neurológica de Gaucher, como observado em séries de casos posteriormente disponibilizadas em literatura médica<sup>3-6</sup>. Porém, doses maiores são utilizadas nessa indicação, o que faz necessária a adaptação do texto do PCDT em vigência. Inclusão da opção da combinação de TRE + IIS (miglustate) para pacientes com doença grave, sobretudo com manifestações ósseas, quando o tratamento com monoterapia com TRE, mesmo em dose máxima, não seja eficaz<sup>2,7</sup>. Alguns pacientes</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>portadores de Gaucher apresentam fenótipo mais agressivo, com comprometimento grave ósseo e doença debilitante. Tais pacientes mantem deterioração do quadro clínico mesmo em doses altas de TRE associadas a bifosfonato. Relatos de casos revelam benefícios quando a associação de TRE e ISS é instituída em combinação, devendo então ser considerada<sup>2,7</sup>.Entretanto, tal combinação não está disponível no PCDT atual e necessita ser revisado.Certos de que essas medidas serão avaliadas para benefício do paciente e seus tratadores e familiares, encerramos nossos comentários.Anexas as referências. 1. Alfonso et al. Haematologica / The Hematology Journal. 2005; 90 (52); 2992. Cox et al. J Inherit Metab Dis. 26(2003) 513-5263. Capablo et al. Epilepsia. 2007 Jul; 48(7):1406-84.Cox et al. J Inherit Metab Dis. (2008) 31: 7455.Mehtha et al. European Journal of Internal Medicine 17 (2006) S13–S156.Pastores et al. Semin Hematol 41(suppl 5):4-14. 20047.Pastores et al. Current Medical Research and Opinion. Vol. 25, No. 1, 2009, 23–378.Giraldo, Pilar. La afectación Ósea enm la Enfermedad de Gaucher. España. Fundación Española para el Estudio y Terapéutica de la enfermedad de Gaucher. 2009. 179p.9. Miglustate: bula do produto10.http://www.ema.europa.eu/index.jsp?curl=pages/medicines/human/meidcines/003724/human_med_001840.jsp&amp;mid=WC0bo1ac058001d124&gt;</p>		
12/04/2017	Paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Interessado no tema	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/04/2017	Paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Profissional de saúde	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	O médico deve ter a liberdade na escolha do melhor tratamento para o paciente. Os exames tem que ser feitos em clínicas especializadas	
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Não	
12/04/2017	Interessado no tema	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Empresa	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Discordo totalmente pois todo paciente deve ter seus direitos sempre respeitados e junto com seu médico escolher qual melhor tratamento, pois vidas não tem preço		
12/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Profissional de saúde	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Sou paciente de Gaucher desde 2003 é desde então tenho tido bons resultados com o imiglucerase, não creio que seria uma boa mudança uma vez que já faço o tratamento a muitos anos com o imiglucerase.	
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Inclusão de droga oral eliglustate no PCDT	Livre escolha para prescrição médica.	
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, Que todo paciente tem seus direitos respeitados e que junto ao seu médico possam ver qual a medição melhor para seu tratamento, quanto aos exames serem feitos na rede publicaSUS vai ter muitos diagnóstico errados, são exames adequados para se chegar ao diagnóstico correto, daqui a pouco o que vai acontecer pessoas com diagnóstico errados tomando remédios sem ter a doença		
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/04/2017	Profissional de saúde	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	<p>Sim, Dispomos de 3 enzimas para o tratamento da DG. O texto, sob a justificativa (não referenciada e, a meu ver, insuficientemente discutida, de necessidade de garantir autonomia nacional na produção da TRE), opta, apaixonadamente, ("tecnologia inovadora!") por uma delas. E baseia-se em um estudo muito pequeno (31 pacientes, sendo 5 pediátricos), com seguimento, tal qual, curto (9 meses) para concluir como sendo segura a troca.O que pretende o país a longo prazo?</p> <p>Responsabilizar-se e buscar a autonomia na produção da TRE em todas as doenças raras para as quais haja (e venha a haver) tratamento? Porque não conheço razão específica para foco na DG.Esse claro direcionamento, na ausência de critérios clínicos ou fármaco-econômicos indiscutíveis, entendo, fere de maneira eticamente proibitiva a autonomia do profissional prescriptor, último responsável pela saúde do seu paciente.Não vejo a "garantia da autonomia nacional" como justificada (se houver justificativa, que não alcanço no momento, esta deve, em minha modesta opinião, ser incluída no texto - ou ser regra para todas as patologias) sob o ponto de vista ético, buscando a sustentabilidade do sistema.Entendo que não deva haver, dados os resultados disponíveis na literatura atual, direcionamento para nenhuma das 3 enzimas disponíveis.</p>	Agradeço a oportunidade de, muito respeitosamente, colocar minha opinião.Espero ter, de alguma maneira, contribuído para as discussões que levarão à versão final do documento.	
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	<p>Sim, Não concordo com a mudança de remédio no qual eu tomo, eu utilizo o imiglucerase , creio q é desnecessária a mudança pois o meu organismo tem uma ótima resposta para com o mesmo.</p>		
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	<p>Não</p>	<p>Faço uso da Imiglucerase há mais de 15 anos nunca tive problemas com a medicação, pude usa-la durante minha gravidez sem risco algum para a saúde do meu filho, que hoje esta forte e saudável. E com a imiglucerase tenho a opção de estar fazendo o tratamento em casa com um enfermeiro capacitado sem a necessidade de sair da minha casa de madrugada a cada quinze dias para fader tratamento em outra cidade.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
12/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Faço uso da Imiglucerase há mais de 15 anos nunca tive problemas com a medicação, pude usa-la durante minha gravidez sem risco algum para a saúde do meu filho, que hoje esta forte e saudável. E com a imiglucerase tenho a opção de estar fazendo o tratamento em casa com um enfermeiro capacitado sem a necessidade de sair da minha casa de madrugada a cada quinze dias para fader tratamento em outra cidade.	
12/04/2017	Profissional de saúde	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	A t	
12/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Faz bem aos meus dois irmãos que toma ele ha muito tempo.	
12/04/2017	Paciente	Concordo parcialmente da recomendação preliminar	Não		
13/04/2017	Profissional de saúde	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Todos medicamentos aprovados pela ANVISA deveriam ser incorporados e a decksao de qual medicacao a see utilizada deve ser do medico e o paciente.	
13/04/2017	Profissional de saúde	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Todos medicamentos aprovados pela ANVISA deem ser incorporados e a decisao de qual medicamento sera utilizado, deve ser do medico responsavel.	
13/04/2017	Profissional de saúde	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Incorporacao de todos medicamentos aprovados pela ANVISA e a decisao sempre ten que ser do medico e do paciente.	
13/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Incoporacao de todos medicamentos disponiveis e decisao ten que ser do medico responsavel	
13/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	decisao ten que ser do medico em conjunto com o paciente.	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
13/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
13/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
13/04/2017	Paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, que permaneça a infusão via imiglucerase	sim. porque o médico acompanhante é quem deve autorizar a troca do medicamento	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/04/2017	Profissional de saúde	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	<p>Sim, Indicação da afa-taliglicerase como medicamento de escolha gera preocupação porque a bula americana desse medicamento tem uma advertência grave (Warning Box) quanto ao risco de reações graves e recomenda seu uso em ambiente hospitalar. Essa séria advertência não faz parte da bula brasileira. E seria muito importante em um país como o Brasil com condições tão diferentes nos estabelecimentos de saúde que pelo menos o médico fosse alertado quanto ao risco de uma reação anafilática como edema de glote, que o sucesso da intervenção nessa reação depende da presença do médico e uma conduta já pré-estabelecida no momento da reação. Pelo DATASUS observamos que já houve um maior número de pacientes utilizando a alfa-taliglicerase no Brasil e este número caiu significativamente e isso ocorre por reações adversas e falha de resposta terapêutica. É importante a manutenção de outros enzimas para o terapêutica para que o médica tenha opção para continuar o tratamento do paciente. A experiência brasileira com a imiglucerase no tratamento de doença de Gaucher foi e continua sendo muito feliz pela segurança e eficácia do medicamento utilizado no mundo todo há mais de 20 anos e é difícil aceitar o uso de um outro medicamento que gera insegurança no prescritos quanto a segurança e eficácia. Se precisamos ter essa experiência no Brasil que ela venha com orientação suficiente aos médicos para não colocarmos, por exemplo uma paciente do interior do Amazonas, risco de reação grave, anafilática que representa risco de morte se nano houver uma conduta rápida e precisa. Embora não existam publicações sobre as reações adversas graves com alfa-taliglicerase nos chama a atenção que número de usuários já foi bem maior do que hoje, porque??? E também ouve-se dos profissionais que tiveram essa experiência com seus pacientes e tiveram que voltar ao tratamento com imiglucerase.</p>	<p>Poderia ser incluído nas opções terapêuticas desinibidos de substrato para maiores de 18 anos o Tratarato de Eliglustat que recentemente obteve o registro pela ANVISA e este medicamento teve estudo clínico e mais de 5 anos com mais de 200 pacientes no mundo com controle de ressonância de fêmures e coluna vertebral e dosagem de substância inflamatórias, sendo evidenciada sua eficácia tanto a doença óssea como a diminuição dos níveis dos biomarcadores inflamatórios. O medicamento é a mis inovadora opção por ser via oral eficaz como a terapia de reposição enzimática com imiglucerase com número muito pequeno de reações adversas e representa uma melhora significativa na qualidade dos pacientes adultos.</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
13/04/2017	Profissional de saúde	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	<p>Sim, É um tratamento de extrema importância para minimizar o risco de amputação e complicações no paciente diabético.</p>	<p>Com esta terapia pode otimizar a recuperação e gastos ao tratamento</p>	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
13/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
13/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
13/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		
13/04/2017	Interessado no tema	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/04/2017	Profissional de saúde	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	<p>Sim, No PCDT 2011 foi incluído no texto o uso de " Taliglucerase Alfa " mesmo sem aprovação da Anvisa e com pouca experiência de uso no Brasil: segue o texto da época " PARA TALIGLUCERASE ALFA Em virtude de a taliglucerase alfa ainda não estar aprovada e registrada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), este protocolo prevê sua utilização para tratamento da DG somente em casos excepcionais.". Para a atualização desse PCDT foi ignorado o uso de hemitartrato de eliglucate como opção terapêutica real para o tratamento da Doença de Gaucher alegando que o mesmo não havia conseguido o registro na Anvisa e por isso não foi considerado nas buscas metodológicas, mesmo o produto estando presentes em várias das revisões bibliográficas citadas. Sendo assim, ficou óbvio que as razões para a não inclusão do medicamento na atualização desse protocolo não foram técnicas ou científicas. A reunião da Conitec ocorreu em 8 e 9 de março de 2017 e o Registro do Eliglucate na Anvisa ocorreu em 10 de março do mesmo ano. Na plenária da Conitec há representantes da Anvisa e do CFM e mesmo assim não foi incluído o uso do hemitartrato de eliglucate que já estava conquistando posições dentro do processo de concessão do registro na Anvisa desde 2016 e que culminou com a publicação do registro no dia seguinte à publicação da consulta pública. Também não foi considerado que no Brasil existem aproximadamente 30 pacientes que já fazem uso dessa medicação desde 2010, com sucesso. No Rio de Janeiro são 15 pacientes que por estarem dentro do programa de acesso ao medicamento pós estudo não estão impactando no orçamento do SUS com dispensação de medicamentos específicos para o tratamento da Doença de Gaucher desde 2010 (em média de tempo). Enfim, por questões já apresentadas solicito a inclusão do uso de hemitartrato de eliglucate nas opções terapêuticas na categoria de inibidores da síntese de substrato, de acordo com o texto publicado na Resolução - RE nº 625 de 10 de março de 2017 que prevê o uso de hemitartrato de eliglucate para o Tratamento de longo prazo para portadores de Doença</p>	<p>No PCDT 2011 foi incluído no texto o uso de " Taliglucerase Alfa " mesmo sem aprovação da Anvisa e com pouca experiência de uso no Brasil: segue o texto da época " PARA TALIGLUCERASE ALFA Em virtude de a taliglucerase alfa ainda não estar aprovada e registrada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), este protocolo prevê sua utilização para tratamento da DG somente em casos excepcionais.". Para a atualização desse PCDT foi ignorado o uso de hemitartrato de eliglucate como opção terapêutica real para o tratamento da Doença de Gaucher alegando que o mesmo não havia conseguido o registro na Anvisa e por isso não foi considerado nas buscas metodológicas, mesmo o produto estando presentes em várias das revisões bibliográficas citadas. Sendo assim, ficou óbvio que as razões para a não inclusão do medicamento na atualização desse protocolo não foram técnicas ou científicas. A reunião da Conitec ocorreu em 8 e 9 de março de 2017 e o Registro do Eliglucate na Anvisa ocorreu em 10 de março do mesmo ano. Na plenária da Conitec há representantes da Anvisa e do CFM e mesmo assim não foi incluído o uso do hemitartrato de eliglucate que já estava conquistando posições dentro do processo de concessão do registro na Anvisa desde 2016 e que culminou com a publicação do registro no dia seguinte à publicação da consulta pública. Também não foi considerado que no Brasil existem aproximadamente 30 pacientes que já fazem uso dessa medicação desde 2010, com sucesso. No Rio de Janeiro são 15 pacientes que por estarem dentro do programa de acesso ao medicamento pós estudo não estão impactando no orçamento do SUS com dispensação de medicamentos específicos</p>	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>de Gaucher tipo I : metabolizadores pobres (MP), intermediários (MI) ou extensos (ME) do CYP2D6</p> <p>.Considerações sobre o item 5.1 para o tratamento de reposição enzimática onde considera-se que “ Uma vez em tratamento com alfatiglicerase, recomenda-se que não ocorra a substituição, salvo nas seguintes situações a) Reação de Hipersensibilidade a alfatiglicerase mediada por IgE ou evento adverso grave de acordo com critérios adotados no glossário da Anvisa .....”:1)Acredito que a mesma orientação sobre a substituição de medicamentos deve ser adotada no uso da imiglicerase, uma vez que outras questões devem ser consideradas: segurança de produto, tempo e resposta ao tratamento, preferência do paciente, autonomia no ato médico. 2)Outro ponto inadequado é em relação à proposta de identificação de IgE para documentar a hipersensibilidade a droga, uma vez que esse teste ainda não está integrado no rotina de coleta de exames e com protocolo de tempos de coleta não totalmente definidos ainda pelo laboratório responsável pela distribuição do produto, sem contar o tempo de meses até recebermos o resultado desse exame que é feito no exterior. Assim, consideramos que devem ser excluídos os pacientes com reações de hipersensibilidade apenas, sem exigência do resultado de IgE positivo. Sabemos que o exame é importante e deve ser coletado, mas não podemos deixar o paciente meses sem tratamento até o resultado definitivo e nem expô-lo novamente à droga, mesmo com pré medicamentos.3)Considero também inapropriado o uso de como critério de exclusão apenas eventos adversos graves. De acordo com a definição : EVENTO ADVERSO GRAVE: são consideradas graves as situações apresentadas a seguir:— Óbito.— Ameaça à vida: Há risco de morte no momento do evento.— Hospitalização ou prolongamento de hospitalização já existente:Hospitalização é um atendimento hospitalar com necessidade de internação.Também inclui um prolongamento da internação devido aum evento adverso.Incapacidade significativa ou persistente: É uma interrupção substancial da habilidade de uma pessoa conduzir as funções de sua vida normal.— Anomalia</p>	<p>para o tratamento da Doença de Gaucher desde 2010 (em média de tempo).Enfim, por questões já apresentadas solicito a inclusão do uso de hemitartrato de eliglustate nas opções terapêuticas na categoria de inibidores da síntese de substrato, de acordo com o texto publicado na Resolução - RE nº 625 de 10 de março de 2017 que prevê o uso de hemitartrato de eliglustate para o Tratamento de longo prazo para portadores de Doença de Gaucher tipo I : metabolizadores pobres (MP), intermediários (MI) ou extensos (ME) do CYP2D6 .Considerações sobre o item 5.1 para o tratamento de reposição enzimática onde considera-se que “ Uma vez em tratamento com alfatiglicerase, recomenda-se que não ocorra a substituição, salvo nas seguintes situações a) Reação de Hipersensibilidade a alfatiglicerase mediada por IgE ou evento adverso grave de acordo com critérios adotados no glossário da Anvisa .....”:1)Acredito que a mesma orientação sobre a substituição de medicamentos deve ser adotada no uso da imiglicerase, uma vez que outras questões devem ser consideradas: segurança de produto, tempo e resposta ao tratamento, preferência do paciente, autonomia no ato médico. 2)Outro ponto inadequado é em relação à proposta de identificação de IgE para documentar a hipersensibilidade a droga, uma vez que esse teste ainda não está integrado no rotina de coleta de exames e com protocolo de tempos de coleta não totalmente definidos ainda pelo laboratório responsável pela distribuição do produto, sem contar o tempo de meses até recebermos o resultado desse exame que é feito no exterior. Assim, consideramos que devem ser excluídos os pacientes com reações de hipersensibilidade apenas, sem</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>congenita.— Qualquer suspeita de transmissão de agente infeccioso por meio de um medicamento— Evento clinicamente significativo: É qualquer evento decorrente do uso de medicamentos que necessitam intervenção médica, a fim de se evitar óbito, risco à vida, incapacidade significativa ou hospitalização. Considero que esses eventos são muito graves na prática clínica e por isso por questões de segurança deve ser ampliado o critério para eventos não graves também associados à infusão, tais como prurido, rash cutâneo, placas urticariformes, pico hipertensivo, dor retroesternal importante, mesmo que resolvidos apenas com a interrupção da infusão, sem que haja necessidade de intervenção médica. Em síntese devemos ter opção de troca de medicamento em caso de reações de hipersensibilidade a drogas mesmo sem critérios de gravidade e sem necessidade de laudo de IgE positivo. Considero ainda que o uso de alfatilglicerase para crianças como medicamento de escolha para o tratamento de Doença de Gaucher no âmbito do SUS deveria estar restrito para pacientes novos, considerando que os demais pacientes que já se encontram com resposta adequada a imiglucerase devem ser mantidos no tratamento de escolha até que estejam esclarecidos os mecanismos de hipersensibilidade e estabelecidos fluxos e protocolos de investigação e acompanhamento dessas reações. Assim garantiria a igualdade de tratamento para as enzimas disponíveis no Brasil para o uso pediátrico.</p>	<p>exigência do resultado de IgE positivo. Sabemos que o exame é importante e deve ser coletado, mas não podemos deixar o paciente meses sem tratamento até o resultado definitivo e nem expô-lo novamente à droga, mesmo com pré medicamentos. 3) Considero também inapropriado o uso de como critério de exclusão apenas eventos adversos graves. De acordo com a definição: EVENTO ADVERSO GRAVE: são consideradas graves as situações apresentadas a seguir:— Óbito.— Ameaça à vida: Há risco de morte no momento do evento.— Hospitalização ou prolongamento de hospitalização já existente: Hospitalização é um atendimento hospitalar com necessidade de internação. Também inclui um prolongamento da internação devido a um evento adverso. Incapacidade significativa ou persistente: É uma interrupção substancial da habilidade de uma pessoa conduzir as funções de sua vida normal.— Anomalia congênita.— Qualquer suspeita de transmissão de agente infeccioso por meio de um medicamento— Evento clinicamente significativo: É qualquer evento decorrente do uso de medicamentos que necessitam intervenção médica, a fim de se evitar óbito, risco à vida, incapacidade significativa ou hospitalização. Considero que esses eventos são muito graves na prática clínica e por isso por questões de segurança deve ser ampliado o critério para eventos não graves também associados à infusão, tais como prurido, rash cutâneo, placas urticariformes, pico hipertensivo, dor retroesternal importante, mesmo que resolvidos apenas com a interrupção da infusão, sem que haja necessidade de intervenção médica. Em síntese devemos ter opção de troca de medicamento em caso de reações de</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
				<p>hipersensibilidade a drogas mesmo sem critérios de gravidade e sem necessidade de laudo de IgE positivo.Considero ainda que o uso de alfataliglicerase para crianças como medicamento de escolha para o tratamento de Doença de Gaucher no âmbito do SUS deveria estar restrito para pacientes novos, considerando que os demais pacientes que já se encontram com resposta adequada a imiglucerase devem ser mantidos no tratamento de escolha até que estejam esclarecidos os mecanismos de hipersensibilidade e estabelecidos fluxos e protocolos de investigação e acompanhamento dessas reações. Assim garantiria a igualdade de tratamento para as enzimas disponíveis no Brasil pra o uso pediátrico.</p>	
13/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	<p>O médico tem o direito de escolher o melhor tratamento para seu paciente sempre,As medicações disponíveis são as melhores, e os exames que querem colocar pelo sus e bem completo e devem continuar em Clínica especializada lá.</p>	
13/04/2017	Profissional de saúde	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	<p>Sim, É importante ressaltar que não há estudos enfatizando o potencial reatogênico da taliglucerase. A própria bula nacional da ANVISA não descreve a porcentagem de eventos adversos relacionados à infusão. Há uma safety information do FDA, relatando que 29% (21 de 72 pacientes) apresentaram reações adversas, sendo que 2,8% (2 de 72 pacientes) apresentaram anafilaxia (evento adverso grave). Quanto ao quesito segurança, acredito que a imiglucerase seja mais segura.</p>		<a href="#">Clique aqui</a>
13/04/2017	Profissional de saúde	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/04/2017	Profissional de saúde	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não	1. Dar liberdade de escolha do tratamento pelo médico e paciente é de suma importância; 2. Experiência de 20 anos no Brasil de uso da imiglucerase em adultos e crianças; com eficácia no tratamento durante o todo o período e insegurança da troca; 3. Redução da doença óssea (comprovada com imiglucerase); 4. Evidência de crescimento das crianças diagnosticadas com o uso de imiglucerase; 5. Imiglucerase pode ser administrada em domicílio por um profissional de saúde na impossibilidade do paciente comparecer na unidade de atendimento de saúde; 6. Relatados casos de eventos adversos grave ou moderado com o uso de Taliglucerase.	
13/04/2017	Interessado no tema	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		
13/04/2017	Profissional de saúde	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Sim, Que esse tratamento deveria ter na própria cidade do cliente mora e não destaque para outras capital	Sim!! Deveria ter mais profissional nessa área de saúde.	
13/04/2017	Profissional de saúde	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Sim, Que esse tratamento deveria ter na própria cidade do cliente mora e não destaque para outras capital	Sim!! Deveria ter mais profissional nessa área de saúde.	
13/04/2017	Profissional de saúde	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Incorporação de todas as medicações disponíveis e decisão tem que ser médica.	
13/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Decisão tem que ser do médico qual medicação utilizar. Desde que a medicação tenha aprovação da ANVISA.	
13/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Incorporação de todas as medicações disponíveis no mercado. Desde que sejam aprovadas pela ANVISA.	
13/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Decisão de qual medicação deve ser utilizada deve ser médica.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Tenho familiar que usam a mais de 15 anos e está dando certo então sou contra essa mudança minha sobrinha pode tomar durante a gravidez não teve nenhum problema nem para ela nem pro bebe e pelo grau da doença nela ficar sem o remédio teria complicações	
13/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Tenho familiar que faz uso do medicamento há mais de 15 anos e o tratamento tem dado certo Já esse que o go verão quer que os pacientes tomam e duvidoso Pois não sabemos dos efeitos colaterais que ele vai causar ao longo dos anos E o da cé rezai né já conhecemos e é bem aceito meu familiar toma há anos e não tevento nenhum efeito colateral até hoje então pra que trocar o certo pelo incerto	
13/04/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Não	Tenho familiar que faz uso do medicamento há mais de 15 anos e o tratamento tem dado certo Já esse que o go verão quer que os pacientes tomam e duvidoso Pois não sabemos dos efeitos colaterais que ele vai causar ao longo dos anos E o da cé rezai né já conhecemos e é bem aceito meu familiar toma há anos e não tevento nenhum efeito colateral até hoje então pra que trocar o certo pelo incerto	
13/04/2017	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	Discordo totalmente da recomendação preliminar	Sim, No document anexo, a Sanofi apresenta sua contribuição à Consulta Pública nº 246/2017 do relatório referente a atualizar as recomendações sobre o tema, em face Relatório de Recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC – 264 - de ampliar de uso da alfataliglicerase para uso pediátrico na Doença de Gaucher, restringindo o uso de imiglucerase apenas para pacientes com idade inferior a 4 anos.	Documento anexo	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/04/2017	Profissional de saúde	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	Sim, o pcdt nao contempla tratamento de crianças co doença de gaucher tipo 3 uma vez que só permite tratamento com redução de substrato para indivíduos maiores de 18 anos, condenando as crianças a ter piora da doença neurológica pois a terapia com enzima nao ultrapassa a barreira hematoencefalica.	como doença rara muitas vezes nao tem grande evidencia com serie de casos, a dg3 nao foi abordada em revisao de bibliofrafia de forma suficiente a ser apresentado um pcdt para o tratamento dessa doença, ficando incompleta a orientação. segundo, `e importante fazer um pcdt ressaltando os efeitos das medicaçoes e não uma imposição governamental sem embasamento científico, com um claro conflito de interesse a favor de alguma empresa farmaceutica	
13/04/2017	Profissional de saúde	Concordo parcialmente da recomendação preliminar	Sim, Não há dados robustos com ressonância magnética para avaliar o grau de comprometimento da doença óssea na utilização da taliglucerase, velaglucerase e miglustat. como médica prescritora, fico insegura sobre o efeito desses medicamentos na doença óssea.Outra consideração é que, uma vez controlada a visceromegalia e citopenias, o maior impacto na vida do paciente em longo prazo será a doença óssea, e acho fraco estabelecermos como desfecho apenas diminuição de crise de dor e fraturas, sem colocar a necessidade de realizar a ressonância magnética para acompanhamento.	Uma grande preocupação minha é com relação à ocorrência de reações adversas à infusão do medicamento, principalmente as que são mediadas por IgE. A imiglucerase tem dados de farmacovigilância que elas ocorrem em menos de 1%, mas não achei informações sobre esse tipo de reação para a Taliglucerase.O artigo recente com a experiência brasileira com Taliglucerase (em anexo) cita que 3 dos 35 pacientes tiveram reação grave à infusão (8,6%), 2 dos quais já tinham tido reação à imiglucerase, restando 1 (2,9%) com reação específica à Taliglucerase. Essa porcentagem já é o dobro do medicamento que a maioria de nós tem experiência, que é a imiglucerase.	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/04/2017	Profissional de saúde	Discordo totalmente da recomendação preliminar	<p>Sim, A Imiglucerase é uma enzima recombinante que está há 25 anos no mercado. Tem perfil de segurança e eficácia complicados. As outras enzimas disponíveis para o tratamento da Doença de Gaucher estão aprovadas há poucos anos, com poucos trabalhos de equivalência, principalmente no quesito segurança. Na maioria das publicações, a comparação não é feita ao medicamento referência, e com certa confusão em relação ao aspecto da reação. É importante deixar claro as diferenças entre evento adverso e reação adoceras. A gravidade das reações devem ser explicadas de maneira clara. É sabido que o FDA, órgão norte americano colocou a imposição de um aviso de segurança na bula da taliglucerase. Com isso, acredito que estudos de imunogenicidade mais específicos, principalmente realizados na nossa população, para avaliar formação de anticorpos contra essa nova enzima deve ser realizado antes da imposição de troca da enzima. É importante lembrar que a tecnologia para produção da taliglucerase é a partir de células vegetais o que pode ocasionar instabilidade. Além disso, aminoácidos vegetais estão presentes nesse farmaco. A conformação proteica vegetal pode apresentar reatividade cruzada com outros vegetais, pólenes, latex, substâncias comuns na natureza que podem levar a formação de imunoglobulina E que reagem a essas diferentes componentes. Essa pode ser uma das razões para a maior prevalência de reações adversas graves relacionadas a taliglucerase.</p>	Já referido	
13/04/2017	Profissional de saúde	Discordo parcialmente da recomendação preliminar	<p>Sim, Devemos considerar e relevante a experiência de cada profissional Que profissional tratador tenha livre escolha de opção terapêutica Trabalho com Doença de Gaucher há 18 anos , incluindo pacientes graves e com bons resultados</p>		
13/04/2017	Profissional de saúde	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	<p>Sim, Os medicamentos devem acompanhar em sua descrição a farmacogenética de uma forma acessível e clara aos pacientes e profissionais para que no futuro próximo com o tratamento baseado em uma medicina terapêutica individualizada com a farmacogenômica, possamos minimizar os efeitos colaterais das terapias.</p>	Não.	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
13/04/2017	Profissional de saúde	Concordo totalmente com a recomendação preliminar	Não		