

Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Laronidase para mucopolissacaridose tipo I - CONITEC

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/05/2017	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Por se tratar de uma doença genética rara, é importante que estes pacientes tenham uma sobrevida, através do acesso ao tratamento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
19/05/2017	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. o medicamento é de suma importância no tratamento dessa doença 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, 5ª - Não	
21/05/2017	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. A laronidase está aprovada há mais de uma década por diversas agências regulatórias ao redor do mundo, incluindo FDA, EMA e a própria ANVISA. 2ª - Sim, https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC3036139/#!po=21.9697 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, http://edition.cnn.com/2017/05/12/health/ryan-dant-college-graduation-mps-rare-disease-profile/ https://youtu.be/fo_UedN-vZ4	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/05/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Única opção terapêutica para tratamento da Mucopolissacaridose Tipo I, para os 3 níveis de acometimento. Sabe-se que a melhora na qualidade de vida das pessoas acometidas pela MPS I, quando tratadas com Laronidase e de forma mais precoce possível, muda de forma exponencial e é necessária para que estes indivíduos possam ter uma vida de qualidade e com dignidade. Muitos dos indivíduos que tiveram o benefício do tratamento com Laronidase, tiveram sua história natural modificada, sendo hoje indivíduos produtivos e alguns constituíram família, algo que não se tinha perspectiva antes da vinda do tratamento com este medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Acredito que com a incorporação do Laronidase à lista de medicamentos excepcionais do SUS, a negociação de valores deverá ser mais justa para todos.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/05/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/05/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Sou da época em que fazíamos o diagnóstico com muita dificuldade e depois assistíamos o paciente piorar gradativamente , com muitas comorbidades, intercorrências, e nada podíamos fazer além do aconselhamento genético. Embora a medicação não cure o paciente a doença tende a não progredir ou progredir lentamente com a medicação, melhorando muito a qualidade de vida do paciente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/05/2017	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. tenho seis pacientes cujas vidas dependem do tratamento com laronidase 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/06/2017	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. No presente documento, a Sanofi apresenta sua contribuição à Consulta Pública nº23/2017 do relatório referente ao pedido de incorporação de laronidase como terapia de reposição enzimática na mucopolissacaridose tipo I. A Sanofi concorda totalmente com a recomendação preliminar.</p> <p>2ª - Sim, O manejo da MPS I deve ser feito por uma equipe multidisciplinar e consiste em i) tratamento de suporte e com base nos sintomas, como oxigênio suplementar, cirurgia ortopédica, aparelhos auditivos e fisioterapia, e ii) terapias modificadoras da doença. Duas terapias modificadoras da doença estão atualmente disponíveis para MPS I: a terapia de reposição enzimática (TRE) com laronidase e o transplante de células-tronco hematopoiéticas (TCTH), este segundo indicado apenas até os dois anos de vida (1).A laronidase demonstrou, em estudos clínicos, a capacidade de atender a necessidade não atendida daqueles pacientes que, ou não possuem indicação de serem submetidos ao TCTH (o TCTH não é, geralmente, considerado uma opção para pacientes com quadro moderado a leve, e é realizado de maneira limitada no Brasil em pacientes graves, uma vez que o procedimento deve ser realizado antes dos dois anos de idade e muitos pacientes são diagnosticados muito próximos ou depois da idade indicada) ou estão aguardando o mesmo (2,3).A Cochrane publicou uma revisão da eficácia e segurança do uso da laronidase no tratamento da mucopolissacaridose tipo I. Um estudo multicêntrico, duplo-cego, randomizado e controlado com placebo com 45 pacientes foi incluído na revisão e foi considerado de boa qualidade e abrangente, incluindo todos os desfechos pretendidos pelo grupo de estudos da Cochrane. O grupo da laronidase demonstrou melhora estatisticamente significativa em relação ao placebo na capacidade vital forçada e no teste de caminhada de seis minutos. Os pacientes tratados com laronidase também apresentaram redução dos glicosaminoglicanos na urina, melhora na hepatomegalia, apneia do sono e hipopneia. Além disso, o medicamento mostrou-se seguro, com eventos adversos leves e sem a necessidade de intervenção médica ou interrupção da infusão em ambos os grupos (4). Além de dados de ECR, temos dados de mundo real no longo prazo a partir do registro global chamado Global MPS-I registry (clinicaltrials.gov NCT00144794). Os dados do estudo foram obtidos de um banco de dados internacional, observacional, voluntário, destinado a rastrear a história natural, os padrões de tratamento e o estado clínico dos pacientes com MPS-I nos diversos países participantes. Um estudo publicado sobre a população de pacientes da América Latina mostrou que, de fato, o atraso diagnóstico nestes países é responsável pelo baixo índice de pacientes submetidos ao TCTH, de maneira que a maior parte dos pacientes (cerca de 81%) é submetido apenas a TRE (5). Apesar de a laronidase estar disponível desde 2003, o tempo entre diagnóstico e início de tratamento permanece substancialmente alto (1). Devido à natureza progressiva da doença, o tratamento com laronidase deve iniciar-se tão logo seja feito o diagnóstico da doença, para evitar maior deterioração do estado clínico do paciente (6). Estudos de casos com irmãos portadores de MPS I mostrou que o diagnóstico e o início precoce da TRE com laronidase modificam substancialmente a história natural da doença, prevenindo ou retardando seu início (7,8). Como uma TRE modificadora de doença para uma doença rara, laronidase oferece melhora nos resultados clínicos e em qualidade de vida. Devido à raridade da MPS I, a população prevalente de pacientes que necessitam da terapia de reposição enzimática com laronidase é previsível e foi endereçada na consulta pública, assim como seu impacto orçamentário.</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		3ª - Não	
		4ª - Não	
		5ª - Sim, Atualmente, a laronidase é reembolsada em 48 países, incluindo França, Itália, Austrália e Reino Unido. O medicamento também é reembolsado em economias em desenvolvimento da América Latina como Argentina, Chile, México e Colômbia.	Clique aqui