

Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Idursulfase para mucopolissacaridose tipo II - CONITEC

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Prevenção de complicações</p> <p>2ª - Sim, Participo de cursos internacionais e o uso vem sendo feito em diversos países e temos resultados de estabilidade de agravos bastante interessantes, o uso precoce então acarreta num outro padrão de gravidade da doença.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/08/2017	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Eu concordo com a incorporação do tratamento, haja vista que com a referida incorporação, o tratamento ficará muito mais barato para o Estado, que virá a gastar muito mais com as ações judiciais que tem que arcar. Na verdade, a doença pode vir a ser epidêmica, com prevalência no Norte e Nordeste do país, haja vista a transmissão genética. Este é o único tratamento eficaz existente para estes doentes, que precisam do remédio sob pena de morrerem. Não há outro tratamento que possa impedi-los de morrer, senão este. Além disso, há estudo comprovando a total eficácia do remédio. Afora a incorporação para tratamento, entendo por extremamente necessária uma pressão do Governo acerca da negociação com os laboratórios, que fazem o remédio em um preço astronômico, o que causa prejuízo a todos, inclusive aos doentes e ao cidadão comum. O laboratório, visando unicamente ao lucro, não pode deter a vida e a morte. O remédio precisa ter seu preço negociado para viabilizar o uso aos cidadãos doentes, que precisam desse tratamento para se manterem vivos! Destarte, entendo como muito inteligente sob o ponto de vista dos Direitos Fundamentais a incorporação do tratamento, devendo existir ainda o enfoque negocial com a indústria farmacêutica.</p> <p>2ª - Sim, O estudo com os maiores especialistas na área da genética brasileira é enfático acerca da eficácia total do remédio, que modifica radicalmente o panorama da doença, dando décadas a mais de vida aos doentes. Além disso, é enfático ao ressaltar a inexistência de outro tratamento para esses cidadãos.</p> <p>3ª - Sim, A avaliação econômica se dá através da negociação governamental com o laboratório, de forma a impedir que imponham um lucro exagerado e prejudicial à nação. O medicamento é indispensável. Desta forma, Governo e indústria devem entender tal fato, e chegar a um meio termo.</p> <p>4ª - Sim, O impacto orçamentário será muito menor com a incorporação do tratamento, uma vez que o preço cai muito com a referida incorporação, tendo assim uma maior margem de negociação do remédio, a exemplo dos tratamentos incorporados para hepatite C. Não podem esperar a doença ficar epidêmica para oferecer o único tratamento para esses doentes. Há necessidade de acompanhamento genético (aconselhamento) nas regiões com prevalência da doença, o que o SUS não tem feito a contento, gerando maiores problemas para o próprio órgão governamental.</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
07/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Análise técnica bem elaborada. De acordo com os critérios de inclusão e exclusão colocados.</p> <p>2ª - Sim, Critérios de alta na vida adulta poderão ser revistos a partir de dados futuros de literatura.; considerando que o impacto maior do uso do medicamento se dá, de acordo com a revisão da literatura até o momento apresentada, na infância e adolescência, período do desenvolvimento e crescimento naturais.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/08/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. meu filho tem mucopolissacaridose tipo II, e a doença atingiu a parte neurológica dele. ele se comunica, gosta de música tem uma vida ativa, participa e estuda, tem opinião entendi tudo o que se fala, aí vcs vem me dizer que criança que teve a neuro atingida pela doença não tem direito mais a medicação. todos necessitam da medicação sei que os valores são altos, mas a vida não tem preço. será que alguém de vcs tem filhos ou alguém na família com esta síndrome acho que não, o que pra vcs é número e valores para nós é filho é direito a vida. o que vcs estão decidindo é quem deve viver menos e quem deve viver mais. que Deus abençoe vcs.</p> <p>2ª - Sim, divulgar o que o governo nos oferece de acordo com consultas como esta.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Percebo melhor equilíbrio do meu paciente ao deambular, faz TRE há quase 1 ano em nossa unidade, mas já fazia em centro de referência na capital do nosso estado</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Acredito que esta medicação fornecida pelo SUS reduziria custos, pois atualmente, gasta-se com associações e setor jurídico para conseguir essas medicações de alto custo junto ao SUS para a TRE em ambientes públicos. Acredito que sendo liberada para uso pelo SUS, reduziria custos.</p> <p>5ª - Sim, Em relação aos critérios de exclusão da TRE, não concordo em excluir pacientes com a forma regressão neurológica, devendo-se ter uma avaliação mais criteriosa nesses casos, visto que os pacientes com MPS tipo II terão comprometimento neurológico em 2/3 dos casos. E mais, muitas pesquisas estão em andamento para administração de medicações intratecais e/ou outras substâncias que permitam atravessar a barreira hemato-encefálica para maior benefício dos pacientes neuronopáticos. Então, em virtude de tudo isso, não concordo excluir pacientes com comprometimento cognitivo qualquer da TRE com indursulfase, pois a TRE traz melhor qualidade de vida ao paciente.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
08/08/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Concordo parcialmente pois, Se for padronizado pelo SUS vai ser uma maravilha, mais esses critérios são desumano, nenhuma criança pediu para nascer com a síndrome de Hunter, se existe uma medicação, com certeza ela deve receber esse tratamento, independente que chegue a sua parte central neurológica ou não, todos nós temos direito a saúde isso é Lei Constitucional, só quem convive com essas crianças é quem sabe o quanto elas sofrem, mais não permitimos que matem elas, se tem um tratamento tem que ser beneficiado sim, não importa a situação que ela vivencia. Se fosse o filho do representante do nosso país, se fosse o filho do representante do nosso Ministério da saúde, temos que ser mais humano e nos colocar no lugar do outro. Temos Que ter Deus no coração, plantar a sementinha do amor, porque infelizmente hoje no nosso Brasil, o mais importante é o capital, infelizmente nossos governantes não são solidários, são desumanos, e a única coisa que levamos dessa vida é o bem que fazemos para o nosso próximo, quantas famílias não teem conhecimento, quantos sofrimento essas crianças passam , Por favor mais amor, menos ganacia, a vida não é feita somente de luxos, precisamos fazer o bem, e Deus quer que sejamos simples e humilde de coração, apenas isso, Por favor mais amor e comoção com esses pequenos anjos que não pediram pra vim ao mundo, se veio é pra mudar algo, pois Deus não faz nada por acaso, tudo tem um porque, essas crianças pode ter vindo, para nos mostrar que Deus existe, e ele pode realizar o impossível, até mesmo em sua vida pra mudar até mesmo o seu coração. Se coloque no lugar dessas famílias, seja mais humano, a vida não tem preço, diga sim a vida, essas pessoas são anjos iluminados por Deus, que veio com intuito de mudar muitos corações nessa terra, pense no que estão fazendo. O meu filho é portador dessa doença, não importa como ele esteja, ele é minha razão de viver, é minha escola diária, com ele eu aprendo a ser mais humana, e se colocar do lado do outro. Eu convivi com meu irmão que também era portador dessa doença a 28 anos atrás, nessa época não tinha tratamento, ele sofreu muito e veio a óbito, por que se tivesse um diagnóstico e um tratamento digno acredito que ele estaria vivo, então não quero esse sofrimento para meu filho, se tem o tratamento ele deve continuar sim. não deve ser interrompido,esses critérios devem ser descartado. Por favor, que sejamos mais Humano, Por favor mais Amor, por favor que sejamos mais solidários, que possamos agir com dignidade e comoção.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Não importa a quantidade de criança com a síndrome, não importa o valor que irá gastar, a vida não tem preço, eu percebo que nossos filhos para vocês são apenas números e custos, sendo assim, eles tem todo direito, porque a vida não tem preço, e além do mais quem paga esses medicamentos somos nós mesmo, trabalhadores. Vamos fazer valer a lei Constitucional em direitos a saúde.</p> <p>4ª - Sim, Não importa o valor para o tratamento, a vida não tem preço, precisamos reconhecer e ser mais humanos, nós população brasileira pagamos por todos esses custo, saem do nosso bolso, pagamos imposto a maior parte fica para os nossos governantes.</p> <p>5ª - Sim, Infelizmente o que venho dizer que essa situação é muito triste, critérios que podem acabar com a vida, lembre- se que a última palavra é a de Deus, não há poder maior que o poder de Deus, permaneço em oração!</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
08/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, SAÚDE É DIREITO DE TODOS E DEVER DO ESTADO (CF ART. 196)</p> <p>3ª - Sim, CF ART. 196</p> <p>4ª - Sim, CF ART. 196</p> <p>5ª - Não</p>	
08/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Creio que sera uma oportunidade de todos terem acesso ao medicamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
09/08/2017	Paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Pq qrem a incorporação apenas para a apresentação neurológica</p> <p>2ª - Sim, Tenho uma filha MPS VI mais convivo com mães de MPS II q podem confirmar o q digo agora ... com amenização as crianças melhoram muito o padrão respiratório ... acúmulo de secreções ... pneumonias são bem menos recorrentes ... otites ocorrem pouco ... ou seja .. as crianças têm menos internações recorrentes ... tem mães q afirmam q seus filhos melhoraram significativamente após o uso dessa medicação</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. A medicação é eficaz e influencia na melhora clínica e qualidade de vida dos pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Há evidências que a medicação influencia na melhora clínica de pacientes jovens, não apenas abaixo de um ano. Os estudos clínicos foram efetuados com pacientes maiores de 5 anos, mas a experiência acumulada desde a aprovação da medicação mostra que esse grupo também se beneficia.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, 1- Sugiro que seja mais explorada a possibilidade de transplante de células tronco hematopoiéticas para pacientes com MPS II, em especial os muito jovens. O artigo anexado contém uma revisão dos transplantes publicados, e possivelmente os resultados não foram bons devido à seleção dos casos. 2- Na página 31 é sugerido o uso da medicação apenas para formas atenuadas e naqueles pacientes diagnosticados até 12 meses de idade - raramente é possível o diagnóstico tão precoce, exceto em casos com histórico familiar prévio. 3- Na página 36, em critérios de inclusão, sugiro substituir forma grave e atenuada por neuronopática e não-neuronopática, respectivamente. 4- Em crianças muito jovens é muito difícil definir se tem a forma neuronopática ou não neuronopática. Esses pacientes deveriam poder iniciar a medicação e aguardar a evolução, sendo avaliado que tipo de MPS II são por teste formal após os 5 anos. 5- Sugiro que haja um termo de informação/consentimento a ser assinado com as famílias no início do tratamento, para ciência da necessidade de teste e definição se forma neuronopática ou não neuronopática posteriormente.</p>	<p>Clique aqui</p>
10/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. O tratamento influencia positivamente a clínica e a qualidade de vida dos pacientes com MPS II</p> <p>2ª - Sim, O tratamento melhora os sinais e sintomas e a qualidade de vida de todos os pacientes com MPS II, não somente os pacientes com menos de 1 ano</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, O transplante de células-tronco hematopoiéticas deveria ser considerado como opção terapêutica para os pacientes jovens com MPS II. É muito difícil fazer o diagnóstico de pacientes com MPS II sem história familiar antes de 1 ano de idade. E quando o diagnóstico é feito antes de 1 ano, não dá para saber (quando não há história familiar) como os pacientes vão evoluir, se para a forma grave/neuronopática ou atenuada/não-neuronopática. Por isso, não devemos limitar a indicação da idursulfase alfa somente para pacientes com a forma atenuada ou abaixo de 1 ano.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/08/2017	Paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Pq qrem a incorporação apenas para a apresentação neurológica</p> <p>2ª - Sim, Tenho uma filha MPS VI mais convivo com mães de MPS II q podem confirmar o q digo agora ... com amenização as crianças melhoram muito o padrão respiratório ... acúmulo de secreções ... pneumonias são bem menos recorrentes ... otites ocorrem pouco ... ou seja .. as crianças têm menos internações recorrentes ... tem mães q afirmam q seus filhos melhoraram significativamente após o uso dessa medicação</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/08/2017	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>	
14/08/2017	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>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Não concordo em fazer considerações quanto a opção terapêutica TCTH, acho que deve ser discutido em protocolo próprio do TCTH. Acredito que pode ser uma opção terapêutica valiosa para pacientes com comprometimento neurológico importante, como melhores resultados quanto mais jovem é o paciente. Também não concordo que a idursulfase beta seja um medicamento experimental, pois tem registro em seu local de origem. E o mais importante precisamos de outras opções terapêuticas e este medicamento está sendo usados por cerca de 150 pacientes no mundo, sem nenhum evento adverso grave e parece não ser inferior a idursulfase alfa. Claro que o medicamento precisa de registro, mas a sua entrada deve ser favorecida para não ficarmos na mão de uma única opção terapêutica e porque a concorrência pode salvar a vida de muitos pacientes que vão a óbito na segunda década de vida com quadro degenerativo muito grave, com o aparecimento de novas e melhores opções terapêuticas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Nos critérios de inclusão idade < 12meses, é muito restritiva, dificilmente o diagnóstico é feito antes dessa idade, isso gera um desespero muito grande as famílias que querem melhorar seu filho de qualquer jeito. Acho que não deveria de ter esse critério da idade. Eu acho que a interrupção do tratamento pode ser feita quando realmente o paciente já não tem mais benefício do tratamento na sua qualidade de vida, desde que seja uma decisão de comum acordo entre médico e familiares. Por esta razão os pais devem assinar um TCLE com todos os critérios de inclusão, exclusão e interrupção do tratamento, para que ele se prepare para esse momento. O grande problema é que este é o pior medicamento de todos, quando comparado com os das outras MPSs, porque realmente a neurodegeneração não sofre nenhuma influência com a Idursulfase alfa EV. Precisamos de um medicamento endovenoso que ultrapasse a barreira hematoencefálica, como o produto AGT181, para MPS I que tem resultados significativos na função neurológica dos pacientes gravemente comprometidos (Estudo clinico sendo realizado no HCPA). O AGT182 para pacientes com MPS II existe mas foi comprado por uma empresa que decidiu não iniciar estudo clínico com esse medicamento, que seria a melhor opção terapêutica para os 75% dos pacientes com MPS II com quadro neurológico degenerativo.</p>	
15/08/2017	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>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Não concordo quanto ao critério de exclusão adotado pela recomendação preliminar que não indica a Terapia de Reposição enzimática (TRE) para os pacientes com MPS 2, forma neuronopática. Desde que foi lançada no mercado, sabemos que a TRE não atravessa a barreira hematoencefálica e não visa tratar às comorbidades associadas com o sistema nervoso central (SNC), mas sim ao tratamento das várias outras manifestações sistêmicas que reduzem morbimortalidade (hepatoesplenomegalia, infecções de vias respiratórias de repetição, diarreias, dentre outras).</p> <p>2ª - Sim, Como médico geneticista, tenho experiência pessoal com 2 meninos com MPS 2 ambos com a forma neuronopática. Um deles em TRE há 3 anos e outro que não iniciou terapia por decisão familiar. Aquele que iniciou tratamento apesar da deficiência intelectual e da agitação associada com a neurodegeneração, apresenta redução significativa de comorbidades: infecções de repetição, deixou de utilizar equipamento de pressão positiva em via aérea, redução de apneia e roncos com melhora do sono. A mãe do paciente relata inclusive que se ele deixa de fazer a reposição por 1 semana, o mesmo apresenta ressurgimento de pápulas na pele comuns nos pacientes com MPS 2, além de referir importante melhora clínica. O paciente que não utiliza TRE apresenta a mesma idade do paciente anterior e enfrenta várias das comorbidades já citadas, tanto que seus pais já consideram iniciar terapia. A não inclusão desses pacientes é injusta e não é baseada em evidências. Em anexo, revisão sistemática do Colégio Americano de Genética Médica (2017) que ratifica que a TRE tem várias limitações, porém sem variáveis clínicas coerentes para avaliação de desfecho final quanto à qualidade de vida, além de não considerar a gravidade fenotípica como critério para exclusão para o tratamento. Aliás, se a recomendação for aceita plenamente, além de injusta, sem embasamento em evidências na literatura, agindo diferentemente dos outros países onde a TRE está disponível, ainda contribuiremos com ausência de dados de tratamento com TER nos pacientes com a forma neuronopática de MPS 2. A recomendação preliminar, neste aspecto, parece ter se guiado apenas sob o aspecto financeiro, já que mais da metade dos pacientes com MPS 2 tem forma neuronopática e dessa forma, reduziria os gastos. Ressaltando-se, mais uma vez, sem nenhuma evidência clínica para isso.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
15/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Acompanho pacientes com MPS II em tratamento com Idursulfase, que demonstram melhora importante na qualidade de vida e no controle do avanço da doença.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/08/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Todos os pacientes se beneficiam da Terapia de Reposição Enzimática.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Já trato pacientes com Síndrome de Hunter e observo os benefícios</p> <p>2ª - Sim, Regressão de hepatomegalia, menos infecções respiratórias, regressão de infiltrado facial e do dorso, evidente melhora da mobilidade articular, desempenho escolar satisfatório com boa interação social. Tenho dois pacientes com mais de 8 anos de tratamento</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Acho 12 meses um limite baixo, como critério de inclusão</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Concordo que este medicamento deva ser incorporado, entretanto a incorporação não deve estar restrita às formas leves da doença. Também não deve estar restrita à faixa etária indicada (até 12 meses de idade). Motivos: 1. A introdução da idursulfase alfa no tratamento de pacientes com MPS II mudou a evolução da doença e a qualidade de vida dos pacientes e familiares, através dos benefícios somáticos (melhora de sinais e sintomas e estabilização da progressão da doença em alguns sistemas). 2. Mesmo nas formas com comprometimento neurológico, a melhora ocorre de forma independente da idade de início. Certamente, o início precoce leva a melhores resultados. 3. Infelizmente ainda diagnosticamos tardiamente nossos pacientes e limitar o início do tratamento ao primeiro ano de vida será prejudicial para muitos indivíduos. 4. Acompanho a terapia de reposição enzimática desde 2006 e participei/participo do tratamento de 9 pacientes e me considero privilegiada em acompanhar a melhora que acontece. Inclusive em um paciente que iniciou seu tratamento no primeiro mês de vida, percebo que a evolução do seu desenvolvimento neurológico está sendo melhor do que os outros indivíduos já comprometidos (irmão e 2 tios). Sabemos que a barreira hemato-encefálica permite a passagem de substâncias maiores no início da vida e acho que este paciente se beneficiou com o tratamento bastante precoce. Participei de um grupo que publicou as recomendações para tratamento das mucopolissacaridoses e sugiro a consulta a estes artigos: GIUGLIANI, R. FEDERHEN, A. MUNOZ, M. V. R. VIEIRA, T. A. Osvaldo Artigalás PINTO, L. L. C. Ana Cecília Azevedo ACOSTA, A. X. Carmem Bonfim Charles Marques Lourenço KIM, C. Horovitz, D. Denize Bonfim Souza NORATO, D. Y. J. Diane Marinho Durval Palhares SANTOS, E. S. Erlane Ribeiro Eugênia Ribeiro Valadares Fábio Guarany Gisele Rosone de Lucca Helena Pimentel Isabel Neves de Souza Correa Neto, J. José Carlos Fraga, et al.; Terapia de Reposição Enzimática para as mucopolissacaridoses I, II e VI: recomendações de um grupo de especialistas brasileiros. Revista da Associação Médica Brasileira (1992. Impresso), v. 56, p. 271-277, 2010. GIUGLIANI, R. FEDERHEN, A. MUNOZ, M. V. R. VIEIRA, T. A. Osvaldo Artigalás PINTO, L. L. C. Ana Cecília Azevedo ACOSTA, A. X. Carmem Bonfim Charles Marques Lourenço KIM, C. Horovitz, D. Bonfim, D. NORATO, D. Y. J. Diane Marinho Durval Palhares SANTOS, E. S. Erlane Ribeiro Eugênia Ribeiro Valadares Fábio Guarany Gisele Rosone de Lucca Helena Pimentel Isabel Neves de Souza Correa Neto, J. José Carlos Fraga, et al.; Mucopolysaccharidosis I, II, and VI: Brief review and guidelines for treatment. Genetics and Molecular Biology (Impresso), v. 33, p. 589-604, 2010.</p> <p>2ª - Sim, Casos apresentados em congresso. Artigo de opinião feito por um grupo de especialistas brasileiros. Clique aqui</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Acrescento 2 artigos elaborados com pacientes cadastrados em uma base de dados global (HOS - Hunter Outcome Survey), onde as informações refletem a vida real destes pacientes e nos ajudam a entender a história natural da doença. Sinto-me privilegiada por poder participar do tratamento destes pacientes, pois quando me formei (1985), havia muito pouco a fazer. Clique aqui</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Porque todos os pacientes com mucopolissacaridose Tipo II, se beneficiam da Terapia de Reposição ?Enzimática com Idursulfase.</p> <p>2ª - Sim, Apresentam melhora considerável nas infecções respiratórias de repetição, na mobilidade articular e regressão na hepatomegalia.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Os pacientes que realizam a Terapia de Reposição Enzimática com Idursulfase em nosso centro de infusão, melhoraram consideravelmente a sintomatologia do quadro clínico da doença. Portanto é imprescindível a manutenção do tratamento.</p>	
17/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. NÃO EXISTE ALTERNATIVA DE TERAPIA DISPONIVEL / TRATANDO-SE DE TERAPIA ONEROSA PARA A REALIDADE DA POPULAÇÃO .</p> <p>2ª - Sim, ATUANDO EM TERAPIA DE DOENÇAS RARAS NUMA INSTITUIÇÃO PEDIATRICA POSSO CONFIRMAR QUE A MELHORA DESTES PACIENTES SE CONSTATA VISIVELMENTE E CLINICAMENTE APÓS A TERAPIA E SE PRECOCEMENTE ADMINISTRADA ,OPORTUNANDO A ESTAS FAMÍLIAS DESFRUTAR DE UMA CONSIDERAVEL QUALIDADE DE VIDA SOCIAL/AFETIVA/EMOCIONAL.</p> <p>3ª - Sim, NÃO SE DISCUTE QUE A MELHORA DAS COMPLICAÇÕES CLINICAS E CONSEQUENTEMENTE ,A DESOCUPAÇÃO DE LEITOS HOSPITALARES SE TORNA UM FATOR PRIORITÁRIO.</p> <p>4ª - Sim, POR SE TRATAR DE PACIENTES COM COMPLICAÇÕES SEVERAS E PROGRESSIVAS;O IMPACTO ORÇAMENTÁRIO DO MINISTÉRIO DA SAÚDE SERIA NEGATIVO FACE AO NÃO TRATAMENTO COM A TERAPIA DE REPOSIÇÃO DO ELAPRASE VERSUS O AVANÇO TECNOLÓGICO QUE COMPROMETERIA POR LONGAS PERMANENCIAS HOSPITALARES</p> <p>5ª - Não</p>	
18/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar</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
18/08/2017	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Sim, A TRE da MPSII já é validada por estudos clínicos e apresenta benefício ao paciente, quando iniciado precocemente. A inclusão desse medicamento no SUS ajudará a diminuir as comorbidades desses pacientes 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
18/08/2017	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
18/08/2017	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
18/08/2017	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
18/08/2017	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
18/08/2017	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
18/08/2017	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. O Transplante de Células-Tronco Hematopoéticas (TCTH) é a modalidade terapêutica utilizada no tratamento de inúmeras doenças do sangue, benignas ou malignas, hereditárias (que passam de pai para filho) ou adquiridas ao longo da vida. Nesse sentido, acreditamos que as opções terapêuticas devam ser amplamente debatidas em protocolo próprio do TCTH. Acreditamos que a opção possa ser uma opção terapêutica valiosa para pacientes com comprometimento neurológico. Ressaltando ainda que, os melhores resultados são alcançados em relação a idade do paciente, ou seja, quanto mais jovem for o paciente, maiores probabilidades de um resultado positivo. Também não concordamos que a idursulfase beta seja um medicamento experimental, pois possui registro em seu local de origem e apresenta estudo clínico que apontam evidências de resultados e eficácia. Não defendemos, em hipótese alguma, o monopólio de mercado, em especial na área de tratamentos essenciais. Sabemos que a concorrência pode gerar o aparecimento de novas e melhores opções terapêuticas. salvando a vida de muitos pacientes. No mais, o medicamento, atualmente, é utilizado por cerca de 150 pacientes no mundo e não há nenhuma ocorrência de evento adverso que apresentasse seu impedimento para uso e comercialização. A associação de pacientes defende que todos os medicamentos devam passar pela análise e registro junto aos órgãos regulatórios no Brasil, no caso a ANVISA. Mas também acreditamos que esses procedimentos ocorram de forma célere para que os pacientes não dependam apenas de uma opção terapêutica medicamentosa.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Nos critérios de inclusão idade < 12 meses, torna-se muito restritiva. Dificilmente o diagnóstico é feito antes dessa idade. Desta forma, tais critérios gera um desespero muito grande as famílias que querem buscar melhor qualidade de vida para seu filho. Assim, apresentamos nossa discordância com o critério de idade. A interrupção do tratamento, excepcionalmente, poderia ocorrer quando comprovadamente o paciente já não tem mais benefício do tratamento na sua qualidade de vida, desde que seja uma decisão de comum acordo entre médico e familiares. Por tal razão, os pais devem assinar um TCLE com todos os critérios de inclusão, exclusão e interrupção do tratamento, para que se preparem para esse momento. Note que, quando comparado com os tratamentos das outras MPSs, o medicamento idursulfase é muito inferior aos demais, porque de fato, quando o paciente está acometido neurologicamente o tratamento acima indicado não gera nenhum benefício clínico para impedir a neurodegeneração. É certo que necessitamos de um medicamento endovenoso que ultrapasse a barreira hematoencefálica, como o produto AGT181, para MPS I que tem resultados significativos na função neurológica dos pacientes gravemente comprometidos (Estudo clínico sendo realizado no HCPA). O AGT182 para pacientes com MPS II existe mas foi comprado por uma empresa que decidiu não iniciar estudo clínico com esse medicamento, que seria a melhor opção terapêutica para os 75% dos pacientes com MPS II com quadro neurológico degenerativo.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
18/08/2017	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. O medicamento idursulfase tem atingido todas as expectativas benéficas para os pacientes portadores de MPS do tipo II. Porém, muitos pacientes enfrentam grandes dificuldades de acesso ao medicamento, por isso, é de extrema importância que ele seja disponibilizado pelo SUS, para minimizar as dificuldades e facilitar o tratamento para esses pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Acreditando na qualidade de vida dos pacientes e confiando no trabalho desenvolvido pela CONITEC</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Dificilmente os pacientes conseguem ser diagnosticados abaixo dos 12 meses de idade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/08/2017	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>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
20/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Sim sou favoravel mas tenho considerações a serem realizadas:a idursulfase é a unico medicamento especifico para a síndrome de hunterO diagnostico tardio dos pacientes e o pequeno numero é o um fator importante que influenciou negativamente nos resultados. Um fator complicador dos estudos é o fato de que os pacientes com a forma neuropata nao tem condições de realizar os testes de desfecho adequadamente, como por exemplo, teste da caminhada, espirometria.. Se o diagnostico fosse incorporado na triagem neonatal seria possivel realizar o diagnostico precoce, mas o diagnostico na maioria dos pacientes nao é realizado antes dos 12 meses. Sugiro prolongar a indicação da TRE para o momento do do diagnostico independente da idade e considerando a avaliacao clinica do paciente.O TCTH segundo a literatura nao é uma opção terapeutica indicada para os pacientes com síndrome de HunterA idursulfase deve ser indicada em todos os pacientes o mais precoce possivel independente da forma atenuada ou grave. A forma grave nao deve ser um fator de exclusao, mas sim em qual momento da doença (criterios de gravidade) esse paciente se encontra para ser indicado o inicio do tratamento.Devem ser aplicados questionarios de vida especificos para as mucopolissacridosesUma sugestao de terminologia seria para a forma grave como neuronopata e a atenuada como nao neuronopata.</p> <p>2ª - Sim, Sim sou favoravel mas tenho considerações a serem realizadas:a idursulfase é a unico medicamento especifico para a síndrome de hunterO diagnostico tardio dos pacientes e o pequeno numero é o um fator importante que influenciou negativamente nos resultados. Um fator complicador dos estudos é o fato de que os pacientes com a forma neuropata nao tem condições de realizar os testes de desfecho adequadamente, como por exemplo, teste da caminhada, espirometria.. Se o diagnostico fosse incorporado na triagem neonatal seria possivel realizar o diagnostico precoce, mas o diagnostico na maioria dos pacientes nao é realizado antes dos 12 meses. Sugiro prolongar a indicação da TRE para o momento do do diagnostico independente da idade e considerando a avaliacao clinica do paciente.O TCTH segundo a literatura nao é uma opção terapeutica indicada para os pacientes com síndrome de HunterA idursulfase deve ser indicada em todos os pacientes o mais precoce possivel independente da forma atenuada ou grave. A forma grave nao deve ser um fator de exclusao, mas sim em qual momento da doença (criterios de gravidade) esse paciente se encontra para ser indicado o inicio do tratamento.Devem ser aplicados questionarios de vida especificos para as mucopolissacridosesUma sugestao de terminologia seria para a forma grave como neuronopata e a atenuada como nao neuronopata.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
20/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Concordo plenamente com a incorporação da idursulfase para o tratamento da MPS 2 pois a demora do início do tratamento , uma vez que é necessário entrar com pedido de medicação de alto custo por vias judiciais, pode limitar a resposta ao tratamento , já que quanto mais precoce o início menos gag e depositado nos tecidos e menores os sintomas</p> <p>2ª - Sim, Estudos mostram que o uso da idursulfase reduz a dosagem de GAGs na urina , o volume hepático(hepatomegalia) em relação ao placebo.Melhora significativa do %CVF absoluto em comparacao ao placebo (p = 0,0011).Aumento significativo do teste de caminhada de 6 minutos (6-MWT), em relacao ao placebo (aumento de 37 metros, p = 0,013).O teste 6-MWT mede a capacidade funcional e fisica que representa a resposta integrada dos sistemas respiratorio, cardiovascular e musculoesquelético. Assim o uso da idursulfase segundo pesquisas científicas melhoram os principais sintomas limitantes da doença melhorando assim qualidade de vida dos pacientes e familiares.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Dados públicos como a tabela em anexo , mostram que o paciente judicializado custa 4x mais que os pacientes inseridos em programas já instituídos pelo Ministério da Saúde . Além disso pacientes com menos sintomas limitantes e mais ativos diminuem a chance de pegar infecções e ter outras complicações como escaras de decúbito, possuindo assim menos internações e menos gastos ao SUS.</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
21/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. A inclusão da medicação no SUS será um avanço no tratamento dos pacientes, uma vez que é importante pra uma resposta satisfatória o uso da medicação no primeiro ano de vida e principalmente uma alternativa pra uma doença com escassez de terapêutica.</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
21/08/2017	Secretaria Estadual de Saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Está recomendação é totalmente coerente e alinhada com a Política Nacional de Assistência à Pessoa com Doença Rara.</p> <p>2ª - Sim, Diagnóstico precoce</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Inclusão da MP II na Triagem Neonatal</p>	<p>Clique aqui</p>
21/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, É necessário que as empresas farmacêuticas envolvidas na produção do fármaco em questão reavaliem o custo da droga, uma vez que, se considerar que os 229 pacientes existentes, o governo terá um gasto anual de mais de 200.000.000 de reais.</p> <p>4ª - Sim, É necessário que as empresas farmacêuticas envolvidas na produção do fármaco em questão reavaliem o custo da droga, uma vez que, se considerar que os 229 pacientes existentes, o governo terá um gasto anual de mais de 200.000.000 de reais.</p> <p>5ª - Não</p>	
21/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Com incorporacao nao haveria necessidade da judicializacao; reduziria custos de aquisicao por acao judicial; minimizaria descontinuidade mesmo que temporaria o que tras prejuizos aos pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
21/08/2017	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 - Sim, Critérios de inclusão/exclusão para o uso da medicação. Acho q nenhum estágio da doença deveria ser critério de exclusão para o testamento, considerando o sofrimento causado pela ausência da infusão, com piora considerável na qualidade de vida do paciente, bem como da piora clínica do mesmo.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/08/2017	Empresa	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Além do exposto acima, o mesmo relatório da CONITEC, expressa claramente que o Hunterase é cerca de 40% mais barato que o Elaparase (frase em amarelo na página 8)</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
22/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Sou favorável a incorporação do medicamento para o tratamento de MPS II , porque uma vez feito diagnóstico, quanto mais precoce seja realizado o tratamento melhor a evolução do paciente, Mas o tratamento deve ser aplicado a TODOS os pacientes com diagnóstico e não apenas aos pacientes da forma atenuada.A maioria dos pacientes com MPS II tem a forma neurológica, não vejo justificativa para não oferecer para eles tendo em vista as vantagens e benefícios para as formas neurológicas também.E o único medicamento disponível.. porque deixar de tratar?? porque excluir esses pacientes??O direito do tratamento DEVE ser IGUAL para todas as formas.Estamos falando de qualidade de vida, de melhora de manifestações clinicas, de sobrevida, de beneficio importante para estes pacientes .Não estou de acordo que sejam incluídos para tratamento apenas pacientes de forma ATENUADA, estou de acordo que seja realizado para TODOS os pacientes , forma neurológica e forma atenuada. Não podemos tirar o DIREITO DE TRATAMENTO DE NINGUÉM. Não podemos acelerar a morte destes pacientes deixando de instaurar tratamento!</p> <p>2ª - Sim, Em anexo evidencias científicas que demonstram as vantagens do tratamento em pacientes com forma neurológica ou grave de MPS II</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
22/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. porque só querem liberar para pacientes que não tem comprometimento neurológico. e observo que a terapia melhora outros sistemas ; respiratório, osteoarticular;auditivo, visual. assim proporcionando uma melhor qualidade de vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, economizará ao não disponibilizar a enzima para os pacientes afetados, porém gastará com internações recorrentes inclusive em U.T.I com medicamentos e aparelhos de auto custo.</p> <p>4ª - Sim, Ao investir em saúde ! Haverá um retorno na qualidade de vida das pessoas com isto contribuindo de forma positiva para este orçamento.</p> <p>5ª - Sim, Que ao avaliar as propostas; não analisar só de forma técnica. Mas que além desse papel existe uma vida que mesmo com suas limitações são importantes para alguém.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Concordo, pois essa medicação tem melhorado a qualidade de vida de um paciente que acompanho</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Desejo expressar a minha opinião a respeito do paciente que acompanho as melhorias que o mesmo tem de ordem respiratória e motora .Então só vejo melhorias e qto a economia o paciente não tem internações no hospital e com certeza é mais um leito disponível para quem precisa realmente.</p>	
22/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. MPS II por se tratar de doença rara e de conhecimento pouco difundido entre os profissionais de saúde, seu diagnóstico geralmente é tardio, então preconizar a inclusão de pacientes apenas com menos de 12 meses de idade baseado em dados comparativos entre dois indivíduos (irmãos) seria deixar de lado a grande maioria dos pacientes que também se beneficiariam com a TRE, e se a justificativa para inclusão também apenas das formas atenuadas seria a menor incerteza do benefício do tratamento por estarmos diante de publicações escassas e pouco conclusivas em relação ao real benefício da TRE, o mesmo argumento pode ser usado para incluir todos os pacientes no protocolo de tratamento uma vez que não falamos em cura, mas em retardo de progressão da patologia e seu impacto psicossocial. Apesar das contribuições disponíveis na literatura apresentarem limitações sobretudo quanto ao espaço amostral e instrumentos de avaliação confiáveis, a prática clínica sem dúvidas apontariam para um real benefício na qualidade de vida dos pacientes tratados com idursulfase, sendo uma consulta direcionada aos profissionais que lidam diretamente com tal doença uma alternativa à consulta às bases de dados disponíveis. E até que as políticas públicas de diagnóstico de MPS II tornem-se eficientes e eficazes não seja estabelecido um critério de inclusão de paciente para tratamento.</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
22/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Recomendo que os dois medicamentos sejam incorporados: idursulfase beta e idursulfase, assim os pacientes não dependeriam de uma única opção terapêutica, o que acontece atualmente. Idursulfase beta não é um medicamento experimental, pois possui registro no seu local de origem e apresenta estudo clínico internacional registrado no clinicaltrials.gov, órgão do governo norte-americano. Atualmente o medicamento é utilizado por mais de 150 pacientes no mundo sem ocorrência de evento adverso ao paciente que impeça seu uso. Para esse grupo de doenças, é melhor que o tratamento e diagnóstico seja o mais precoce possível, para evitar danos irreversíveis da doença. A ANVISA como órgão regulatório deve estabelecer análise e registro de todos os medicamentos usados no Brasil.</p> <p>2ª - Sim, 1- estudo clínico internacional com o uso da idursulfase beta: https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02663024 site que mostra estudo clínico realizado com uso da idursulfase beta em pacientes. 2- Artigo mostrando a melhora das reações alérgicas após introdução da idursulfase beta. Case report of treatment experience with idursulfase beta (Hunterase) in an adolescent patient with MPS II. Ngu LH, Ong Peitee W, Leong HY, Chew HB. Mol Genet Metab Rep. 2017 May 11;12:28-32. 3- Artigo mostrando a segurança e eficácia da idursulfase beta: Safety and efficacy of enzyme replacement therapy with idursulfase beta in children aged younger than 6 years with Hunter syndrome. Sohn YB, Cho SY, Lee J, Kwun Y, Huh R, Jin DK. Mol Genet Metab. 2015 Feb;114(2):156-60. 4- Artigo mostra superioridade da idursulfase beta in vitro: Comparative study of idursulfase beta and idursulfase in vitro and in vivo. Kim C, Seo J, Chung Y, Ji HJ, Lee J, Sohn J, Lee B, Jo EC. J Hum Genet. 2017 Feb;62(2):167-174.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Nos critérios de inclusão idade <12 anos, é muito restrito. Muitos pacientes passam anos para definir um diagnóstico. A doença pode passar despercebida e o diagnóstico muitas vezes é difícil. Uso da Idursulfase beta em pacientes que apresentam reação alérgica à idursulfase faz com que o médico tenha segurança no tratamento e manejo da doença, oferecendo uma opção terapêutica ao paciente. A interrupção de qualquer tratamento deve ser de acordo com a clínica do paciente e o não benefício esperado da medicação, como paciente em estágio terminal. Idursulfase não ultrapassa a barreira hemato-encefálica, portanto não impede a neurodegeneração. Ideal seria medicação que ultrapassasse a barreira hemato-encefálica como o AGT 181 para MPS do tipo I (estudo sendo realizado no HCPA - Porto Alegre). AGT 182 para MPS II, medicamento que ultrapassaria a barreira hemato-encefálica, infelizmente foi comprado por uma empresa agressiva e por motivos não revelados não foi iniciado o estudo clínico.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/08/2017	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. A Shire é uma empresa de biotecnologia, presente no país desde 2007, cujo foco é o desenvolvimento de medicamentos para o tratamento de doenças raras. Um dos produtos que comercializa no Brasil é o medicamento Elapraxe (princípio ativo Idursulfase), indicado para o tratamento da Mucopolissacaridose do tipo 2 (MPS II), também conhecida como Síndrome de Hunter. Elapraxe® é uma formulação de Idursulfase, forma purificada da iduronato-2-sulfatase, uma enzima lisossômica. A Idursulfase é produzida por tecnologia de DNA recombinante em linhagens de células humanas. Atualmente, encontra-se disponível a terapia de reposição enzimática com Idursulfase, Elapraxe®, único medicamento aprovado para o tratamento da MPS II pelo Food and Drug Administration (FDA, Estados Unidos) em 2006 e pelo European Medicines Agency em 2007 (EMA, Europa), além de ter sido registrado na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) em 2008, tendo seu preço registrado junto à CMED também neste mesmo ano. A Shire concorda parcialmente com o Relatório Técnico de Recomendação referente à Idursulfase como terapia de reposição enzimática na MPS II, publicada no Diário Oficial da União no dia 03 de Agosto de 2017 através da Consulta Pública nº 33 e vigente entre os dias 04/08 à 23/08/2017, exceto em relação aos seguintes pontos: critérios de inclusão, critérios de exclusão e critérios de interrupção do tratamento. Discordância em relação aos critérios de inclusão e exclusão. A MPS II é uma doença multissistêmica onde as manifestações clínicas decorrem do acúmulo dos GAGs em diversos órgãos. Independente da forma clínica de apresentação, a MPS II se caracteriza pela presença de manifestações somáticas como hepatoesplenomegalia, alterações cardíacas, respiratórias, baixa estatura, alterações ósseas e articulares. A idade de início, os sintomas e a velocidade de progressão da doença são variáveis. É fato que um tratamento que modifique a história natural da doença em relação ao quadro neurológico ainda seja uma necessidade não atendida para os pacientes com MPS II. Porém, a melhora clínica dos parâmetros somáticos é inquestionável. O tratamento com Idursulfase beneficia os pacientes com MPS II independente da forma clínica da doença. A recomendação europeia de tratamento para MPS II estabelece que todos os pacientes com diagnóstico confirmado de MPS II são elegíveis para TRE (terapia de reposição enzimática), uma vez que a TRE se associa com melhora da função respiratória, diminuição das internações hospitalares, melhora da mobilidade articular e da qualidade de vida. Vale ressaltar que os pacientes com MPS II apresentam uma grande variabilidade na evolução da doença, de forma que muitas recomendações de tratamento, entre elas o painel de especialistas da América Latina, considera que os pacientes com MPS II que apresentem manifestações mais graves da doença, sejam elegíveis ao tratamento por um período de 6 a 12 meses para melhor avaliação do benefício e resposta clínica e posterior decisão sobre a manutenção da TRE2. Alguns estudos avaliaram os benefícios de Idursulfase no tratamento de pacientes com MPS II com a forma clínica neurológica. Um estudo retrospectivo de séries de caso publicado por Lampe e colaboradores avaliou 22 pacientes com MPS II que apresentavam manifestações neurológicas e todos apresentaram melhora em parâmetros clínicos avaliados (redução do volume hepático, diminuição do número de infecções hospitalares e melhora da mobilidade). A conclusão desse painel de especialistas foi a de recomendar, com base nestes achados, o uso de TRE durante um mínimo de 6 a 12 meses em pacientes com MPS II grave, mesmo que esses pacientes já tenham uma deficiência cognitiva evidente. Seriam excluídos da TRE apenas os pacientes com comprometimento neurológico grave (em estados vegetativos), aqueles alimentados com gastrostomia</p>	

(devido a uma incapacidade de engolir), assim como os pacientes que têm uma manifestação da doença ou outra condição que pode levar à morte em curto prazo .Este estudo corrobora com o painel de especialistas publicados por Muenzer e colaboradores, onde pacientes com fenótipo mais grave da doença foram avaliados. Neste estudo, 83% dos pacientes apresentaram melhora em parâmetros somáticos após 1 ano de tratamento com Idursulfase. Desta forma, a recomendação destes especialistas foi que os pacientes com MPS II, independente da forma clínica, sejam tratados e a resposta terapêutica reavaliada após 6 a 12 meses no caso de pacientes com maior gravidade. Importante mencionar que a melhora de parâmetros somáticos determinam diminuição do número de internações hospitalares com impacto na qualidade de vida do paciente e seus familiares³. Também é sabido que um dos fatores relacionados com modificação da história natural da doença em MPS II é a instituição do tratamento precocemente. Porém, o diagnóstico precoce destes pacientes ainda não é uma realidade. Como mencionado no próprio relatório de recomendação da CONITEC, no Brasil a idade média dos pacientes ao diagnóstico é de 95 meses . Sem dúvida o desenvolvimento de programas que propiciem o diagnóstico precoce em MPS II é fundamental para modificar a evolução natural da doença, porém, a determinação no critério de inclusão da idade limite de 12 meses não parece estar suportada nas recomendações atuais de tratamento , . A realização de exames de triagem neonatal possibilitaria o diagnóstico precoce, porém, ainda não é uma realidade na América Latina. Apesar da Idursulfase estar disponível desde 2008 o tempo entre o diagnóstico e início do tratamento permanece substancialmente alto. Importante mencionar que conforme já consta neste relatório, novas terapias estão em desenvolvimento (terapia gênica e terapia intratecal) e o tratamento com Idursulfase favorece que os pacientes se mantenham clinicamente estáveis e possam ser elegíveis para as futuras terapias que podem modificar a história natural da doença ,6. Desta forma, a Shire solicita que todos os pacientes com MPS II sejam elegíveis ao tratamento com Idursulfase independente da forma clínica e idade. Para os pacientes com forma clínica neuropática grave o tratamento por um período de 6 a 12 meses seria recomendado como forma de avaliar possíveis benefícios em relação aos sintomas somáticos e consequentemente melhora na qualidade de vida. Após esse período a terapia poderia ser discutida de acordo com o benefício do paciente. Esta recomendação esta em acordo com a recomendação europeia e latino americana de tratamento do MPS II^{2,3,4}. Discordância em relação aos critérios de interrupção do tratamento Considerando os benefícios do tratamento com Idursulfase, a regressão neurológica não deve ser um parâmetro isolado para determinação da suspensão do tratamento. A recomendação europeia afirma que a suspensão da TRE estaria indicada apenas em pacientes que apresentam reações infusionais graves e não tratáveis³. Já na recomendação latina americana para tratamento de MPS II, os critérios que determinam a suspensão do tratamento são: doença severa ou avançada que não responde à TRE, reações infusionais graves não tratáveis com pré-medicação, condições graves e ameaçadoras a vida, gravidez e lactação, doenças graves não relacionadas à MPS II (ex: neoplasias). Pacientes com forma grave da doença, se após 6 a 12 meses de TRE não se comprova benefício clínico a continuação da terapia poderá ser discutida. Importante mencionar que a melhora da qualidade de vida é considerado um parâmetro de resposta clínica². Desta forma, a Shire solicita que o critério de regressão neurológica não seja utilizado isoladamente para definir a suspensão da TRE.

2ª - Sim, Em linha com os estudos apresentados no relatório de recomendação da CONITEC, obtidos através de estratégia de busca nas principais bases de dados em Saúde, vale destacar duas publicações que tratam de avaliar a eficácia e segurança da Idursulfase no tratamento da MPS II. Tais artigos descrevem revisões sistemáticas da literatura e representam o melhor nível de evidência disponível na literatura científica. Silva et al., 2016, realizaram uma revisão sistemática da literatura com o objetivo de avaliar a eficácia e segurança da terapia de reposição enzimática com Idursulfase no tratamento de pacientes com MPS II. A busca bibliográfica foi realizada no The Cochrane Cystic Fibrosis e Genetic Disorders Group's Trials Register até novembro de 2015. Também foram avaliadas as bases de dados Embase, Pubmed e LILACS. Como critérios de inclusão foram considerados ensaios clínicos randomizados (ECRs) e quasi-randomizados avaliando a terapia de reposição enzimática com Idursulfase em comparação com nenhuma intervenção, placebo ou outras opções de tratamento (por exemplo, estratégias comportamentais, transplante). Foram incluídos indivíduos com MPS II de qualquer idade e qualquer grau de gravidade da doença. O estudo conduzido por Muenzer et al., 2006, com 96 participantes do sexo masculino, estava de acordo com os critérios de elegibilidade. Este foi considerado como uma evidência de boa qualidade. O estudo incluído era multicêntrico, duplo-cego, randomizado, placebo-controlado, de fase II/III, que avaliou a eficácia e segurança de Idursulfase 0,5 mg/kg administrado semanalmente ou a cada duas semanas em indivíduos com MPS II. Após 53 semanas de tratamento, os participantes do grupo que recebeu Idursulfase 0,5 mg/kg semanalmente demonstraram taxa de melhora significativa para o teste de caminhada de seis minutos (TC6min) quando comparado ao placebo, diferença média de 37,00 (intervalo de confiança [IC] 95%: 6,52 a 67,48). O grupo tratado com Idursulfase 0,5 mg/kg a cada duas semanas também demonstrou melhora, diferença média de 23,00 (IC 95%: -4,49 a 50,49), entretanto sem diferença significativa em comparação ao placebo. Não houve diferença significativa em relação ao percentual da capacidade vital forçada (CVF%) entre o grupo Idursulfase semanal versus placebo, diferença média de 2,70 (IC 95%: -2,12 a 7,52), ou entre o grupo Idursulfase a cada duas semanas versus placebo, diferença média de -0,75 (IC 95%: -4,98 a 3,49). A CVF absoluta aumentou significativamente a partir da linha de base no grupo de dosagem semanal em comparação com o placebo, diferença média de 0,16 (IC 95%: 0,05 a 0,27). Nenhuma diferença para CVF absoluta foi observada entre o grupo que recebeu Idursulfase 0,5 mg/kg a cada duas semanas e o placebo. Adicionalmente, os volumes de fígado e baço e a excreção de glicosaminoglicano na urina foram significativamente reduzidos a partir da linha de base em ambos os regimes de Idursulfase. Em relação à segurança, o uso de Idursulfase foi geralmente bem tolerado, com alguns pacientes apresentando reações de infusão. Os anticorpos Idursulfase foram detectados em 31,7% dos participantes no final do estudo e estavam relacionados a uma menor redução dos níveis de glicosaminoglicanos (GAGs) na urina. A revisão sistemática demonstrou que a terapia de reposição enzimática com Idursulfase é eficaz em relação à capacidade funcional (TC6min e CVF), volumes do fígado e baço e excreção de GAGs na urina em pacientes com MPS II quando comparado com placebo. Alegria et al., 2013, realizaram uma revisão sistemática para avaliar a eficácia e segurança da terapia de reposição enzimática com Idursulfase em pacientes com MPS II. A busca bibliográfica foi realizada nas bases de dados Pubmed/MEDLINE, Embase e LILACS até o final de novembro de 2012. Os critérios de inclusão pré-definidos foram ECRs que avaliassem a terapia de reposição enzimática versus placebo ou outro tratamento para MPS

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>II. Adicionalmente, foram incluídos ECRs abertos, ensaios clínicos não randomizados, séries de casos contemporâneas (prospectivas), desde que a amostra de pacientes fosse igual ou superior a cinco e que fosse avaliado algum desfecho relevante. No total, cinco estudos foram incluídos, sendo dois ECRs duplos-cegos comparando a Idursulfase ao placebo¹¹, e três estudos não randomizados , , . Não foi encontrado estudo que comparasse a terapia de reposição enzimática com outro tratamento. O tempo de seguimento nos artigos selecionados variou de 23 a 104 semanas. A metanálise foi realizada em dois estudos para avaliação do TC6min. Houve incremento médio de 43,5 m (IC 95%: 25,1-61,9) na distância percorrida (Figura 1). Em relação à função pulmonar, houve modificação média de 0,229 L (IC 95%: 0,028-0,429) na CVF absoluta e de 10,8% (IC 95%: 6,3-15,3) na CVF% em dois estudos avaliados para metanálise (Figura 2). Também foi encontrado risco aumentado de reações leves relacionadas à infusão. Figura 1. Efeito da Idursulfase na distância percorrida durante o TC6min. Alegria, 2013. (3) Figura 2. Efeito da idursulfase na CVF (em % do previsto). Alegria, 2013¹² Os EAs graves estiveram dentro do esperado para a história natural da MPS II e não foram relacionados ao medicamento em estudo. Cefaleia, febre, reações cutâneas, dispneia, dor abdominal e síncope vasovagal foram os EAs relacionados à infusão mais comuns. Foi possível realizar metanálise de dois estudos que avaliaram os EAs relacionados à infusão de Idursulfase. De acordo com os resultados, 63% dos pacientes apresentaram ao menos um EA relacionado à infusão. De modo geral, a Idursulfase foi considerada segura, sendo frequentes os EAs relacionados à infusão, mas passíveis de serem controlados com aumento do tempo de pré-tratamento com anti-histamínicos e/ou corticosteroides. De acordo com este estudo, conclui-se que a terapia de reposição enzimática com Idursulfase é segura e apresenta benefício potencial no tratamento da MPS II.</p>	
		<p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Com a finalidade de se estimar os gastos do Ministério da Saúde considerando a incorporação da Idursulfase (Elapraxe[®]), foi realizado um modelo de impacto orçamentário realizada pela Secretária Executiva da CONITEC, assumindo que o primeiro ano de incorporação do medicamento seria em 2018. O impacto orçamentário foi calculado para os 5 primeiros anos após a incorporação seguindo alguns pressupostos apresentados no relatório. Da mesma forma, a Shire realizou também uma análise de impacto orçamentário, assumindo-se os seguintes critérios:- A população se baseou em dados de mundo real, que representam os pacientes em tratamento com Idursulfase (Elapraxe[®]) através das demandas judiciais concedidas entre os anos 2015 e 2017. Tais dados são de conhecimento público e disponível nos Diários Oficiais da União e dos Estados, a saber, DOU e DOE. Atualmente existem 176 pacientes em tratamento com Idursulfase (Elapraxe[®]).- Uma projeção linear foi realizada a fim de se estimar o número de pacientes elegíveis ao tratamento com Idursulfase (Elapraxe[®]) nos anos subsequentes à incorporação, a partir do ano de 2018 ao ano de 2022.- O valor de Elapraxe[®] considerado na análise corresponde ao Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG), com ICMS 18%, publicado na Lista Oficial de Preços da CMED, correspondendo a RR\$ 6.441,87 por frasco-ampola de 3ml .- Dados de mortalidade também foram obtidos através das publicações em DOU e DOE, bem como durante as negociações para aquisição de Idursulfase (Elapraxe[®]) por via judicial em conjunto com o Departamento de Logística/Secretaria Executiva do Ministério da Saúde (DLOG/SE).</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
--------------	-----------------	---------------------------	------------

Pesquisa de Mercado levando em conta as mesmas fontes de referência foi obtida através da Consultoria independente da IMS .- Pelo fato de se considerar dados de mundo real para definição da população elegível ao tratamento, em linha com a conduta clínica já estabelecida nos centros de tratamento do Brasil, apenas um cenário de impacto orçamentário foi realizado. Assim, não foram estimados progressivos aumentos de pacientes em percentuais, ano após ano, como observado na análise realizada pelo Ministério da Saúde.- A dose considerada foi aquela prevista na bula do medicamento, 0,5 mg/kg por semana. Como não existem informações sobre o peso médio dos pacientes com MPSII no Brasil, optou-se por considerar o peso médio dos pacientes incluídos no estudo de Muenzer et al., 2006, que reportou um peso médio de 33,6kg¹¹. Assumiu-se que não haveria fracionamento de doses.- Foram apenas computados os gastos adicionais decorrentes da aquisição da Idursulfase, e não foram descontados custos referentes a outro tratamento a ser substituído, pois não existe nenhum medicamento incorporado no SUS para a doença.A Tabela 1 apresenta a estimativa da população a ser tratada para os próximos aos 5 anos. Para estes casos, assumiu-se que todos os pacientes com diagnóstico positivo, excluindo apenas os pacientes graves (em estado vegetativo, gastrotomizados, risco de morte em curto prazo) são elegíveis ao tratamento com Idursulfase (Elaprase®), refletindo desta forma, a atual prática clínica no país. Dados de mortalidade foram considerados em todos os anos, conforme apresentados na Tabela 2, levando em conta a base histórica que recebeu tratamento com Elaprase® através de demandas judiciais entre os anos de 2014 e 2016. Compras agrupadas e contrato anual (2015) realizados entre Shire e Ministério da Saúde foram utilizados como referência para estes dados. Uma projeção linear foi realizada a fim de determinar o número de óbitos entre os anos de 2017 e 2022.Tabela 1. Estimativa da população a ser tratada com Idursulfase (Elaprase®)Ano de tratamento

2018	2019	2020	2021	2022
------	------	------	------	------

Número de Pacientes com Dx

168	172	175	179	182
-----	-----	-----	-----	-----

Projeção linear com base em dados oficiais dos anos 2015, 2016 e 2017.Tabela 2. Dados de mortalidade entre os anos de 2015 e 2022Ano de tratamento

2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022
------	------	------	------	------	------	------	------	------

Óbitos

6	7	6	9	22	25	28	31
---	---	---	---	----	----	----	----

Projeção linear com base em dados oficiais dos anos 2014, 2015 e 2016., de acordo com compras agrupadas e contrato anual com o Ministério da Saúde para aquisição de Elaprase°.De acordo com as estimativas apresentadas acima foi possível estimar o impacto orçamentário da incorporação da Idursulfase no SUS. Levando em conta o custo do medicamento e peso médio dos pacientes destacados anteriormente, cada paciente utilizaria um total de 3 ampolas do medicamento por semana, chegando a um custo anual de tratamento de R\$ 1.004.931,72 por paciente. Os resultados dos anos analisados estão apresentados na Tabela 3.Tabela 3. Estimativa de impacto orçamentárioImpacto orçamentário

2018	2019	2020	2021	2022
------	------	------	------	------

Cenário referência

R\$168.828.528,96	R\$172.345.789,98	R\$175.863.051,00	R\$179.380.312,02	R\$182.897.573,04
-------------------	-------------------	-------------------	-------------------	-------------------

om isso, a estimativa de impacto orçamentário decorrente da incorporação da Idursulfase seria, aproximadamente R\$ 169 milhões no primeiro ano de incorporação, e entre R\$ 879 milhões para os 5 primeiros anos após a incorporação. Anexa a esta submissão, encontra-se também a análise completa de impacto orçamentário em Excel.

5ª - Sim, O estudo pós-registro de MPS II- Hunter Outcome Survey - está em andamento em 33 países, incluindo o Brasil. No Brasil existem 6 centros de pesquisa com inúmeros pacientes sendo avaliados. Este

[Clique aqui](#)

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>estudo é uma fonte importante de dados sobre pacientes em tratamento com Elaprase. Uma análise dos dados de sobrevivência em longo prazo do estudo Hunter Outcome Survey foi relatada por Burton e colaboradores . Os resultados (valores médios apresentados) foram comparados entre pacientes tratados com Idursulfase (n = 768, duração do tratamento, 55,8 meses) e pacientes não tratados (n = 96). Ambos os grupos tinham idades semelhantes no início dos sintomas (1,5 anos) e diagnósticos (3,2-3,3 anos) e prevalência semelhante de comprometimento cognitivo no início (aproximadamente 58%). A duração do seguimento foi de 12,7 anos em pacientes tratados e 13,9 anos em pacientes não tratados. As estimativas gerais de sobrevivência de Kaplan-Meier (intervalos de confiança de 95% [ICs]) foram de 33,0 anos (30,6-42,2) em pacientes tratados e 21,2 anos (18,0 para não alcançados) em pacientes não tratados (P = 0,016). As estimativas de sobrevivência foram menores no subconjunto de pacientes com comprometimento cognitivo, porém foram maiores nos pacientes tratados (20,9 anos [19,4-23,9]) do que nos não tratados (18,0 anos [15,4-21,2]). As análises ajustadas para a presença de comprometimento cognitivo, região e idades no diagnóstico e início de sintomas encontraram um risco de morte de 49% menor em pacientes tratados com Idursulfase do que naqueles que não foram tratados (IC 95%, 0,31-0,84). Esses dados corroboram com os anteriormente mencionados e que justificam o tratamento dos pacientes com MPS II independente da forma clínica. Elaprase® está registrado atualmente em mais de 50 países por meio de dados de eficácia e segurança claramente demonstradas nos ensaios clínicos randomizados realizados e publicados na literatura científica. Ademais, Elaprase® é reembolsado e está incluída em protocolos clínicos em mais de 30 países, entre eles a Austrália, Alemanha, Reino Unido, França, Suíça, Portugal, Espanha, Grécia, Turquia e Rússia .Considerando o contexto de incorporação deste medicamento no SUS, cabe informar que a Shire possui o total interesse em fazer prosperar tal cenário e diante deste fato, nos colocamos inteiramente à disposição para discutir condições comerciais diferenciadas de acordo com os termos a serem considerados e definidos pela política pública e respectivo Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas para Tratamento da Mucopolissacaridose do tipo II.</p>	

23/08/2017 Profissional de saúde

1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. concordo parcialmente pois o tratamento deve ser indicado e prescrito pela MEDICO, que deve dar sua conduta e contemplar o tratamento a todos os pacientes que preencher os critérios diagnostico da doença MPS II

2ª - Sim, O TRE tem beneficios para todos os pacientes, inclusive neurológicos (forma grave), segundo literaturaReforçar o diagnostico apenas abaixo de 12 meses não é a realidade brasileira, uma vez que não existe sreening neonatalNão se deve entrar na estrategia de definir ou não como paciente neurológico. POis, deve-se avaliara eficácia da TRE em ambos os perfis de tratamento.

3ª - Não

4ª - Não

5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/08/2017	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>	
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, O uso da idursulfase na MPS tipo II tem mostrado melhora clínica física e laboratorial, além de melhora na qualidade de vida dos pacientes.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. A CONITEC é favorável ao tratamento nos primeiros meses de vida, eu sugiro que seja liberada para todos pacientes ao diagnóstico, independente da idade. No Brasil não temos triagem neonatal para esta patologia, o que faz atrasar o diagnóstico para estas crianças.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Gostaria, embora não tenha estudos suficientes de pacientes com comprometimento neurológico o SUS trabalha com a EQUIDADE a oportunidade de tratamento para estes pacientes também não deve ser restringida. A TODOS devem ser oferecidos os mesmos direitos.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Vejo como importante a discussão no CONITEC da incorporação dos Medicamentos Orfãos. Mas gostaria de propor alguns pontos de discussão. Vejo que seria muito interessante que os Medicamentos Orfãos estivessem em uma plataforma particular. Todo o questionamento das Doenças Raras tem uma visão individualizada. Utilizar parâmetros gerais, na minha opinião pode levar a conclusões que não respeitem os princípios do SUS de equidade, universalidade e integralidade. Por outro lado acho interessante, além de ver os textos publicados, que claro como doenças raras e medicamentos orfãos são poucos, analisar a experiência de outros países que realizam o tratamento para a condição.</p> <p>2ª - Sim, Na verdade sobre a suspensão do tratamento quando do início do quadro neurológico. Acho necessário a discussão desse ponto de maneira mais aprofundada. Nos casos graves em situação terminal o consenso é maior, mas nos casos iniciais há discussão na literatura, pois ainda existe melhora e/ou estabilização clínica geral. Além disso, com o advento de novas modalidades de tratamento que passam a barreira hemato-encefálica, vejo como prudente a manutenção do tratamento dos pacientes que já realizam tratamento</p> <p>3ª - Sim, A questão da avaliação econômica e impacto orçamentário deve ser visto dentro da visão de medicamentos orfãos: Os doentes com doenças raras não podem ficar à margem do progresso feito pela ciência e pelas farmacêuticas, tendo os mesmos direitos ao tratamento como qualquer outro doente. http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutOrphanDrugs.php?lng=PT</p> <p>4ª - Sim, A questão da avaliação econômica e impacto orçamentário deve ser visto dentro da visão de medicamentos orfãos: Os doentes com doenças raras não podem ficar à margem do progresso feito pela ciência e pelas farmacêuticas, tendo os mesmos direitos ao tratamento como qualquer outro doente. http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutOrphanDrugs.php?lng=PT</p> <p>5ª - Sim, Sobre a questão dos medicamentos orfãos me ajudou muito ler o livro da Sra. Abbey S. Meyers, Ph.D, a "mãe" da "invenção". http://www.pharmexec.com/abbey-meyers-mother-invention Sugiro que os responsáveis do CONITEC pela aprovação dos medicamentos orfãos no SUS leiam esse livro. Ele é disponível para baixar pela internet: https://www.abbeymeyers.com/</p>	<p>Clique aqui</p>
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não concordo com os criterios de exclusao embora concorde com a inclusao da medicação do rool da ANES.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Evidência científica do benefício do tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Concordo com a inclusão do medicamento, mas discordo parcialmente dos critérios de inclusão e dos critérios de interrupção do tratamento.</p> <p>2ª - Sim, 1. Sobre os critérios de inclusão/exclusão:Ter diagnóstico bioquímico e/ou genético E apresentar a forma atenuada da MPS II.Comentário: A exclusão de pacientes com a forma grave da doença (neurológica) ainda em FASE INICIAL, tiraria desses indivíduos a possibilidade de obter algum benefício do tratamento. A MPS II é uma doença crônica e lentamente progressiva, e mesmo no fenótipo grave, os desfechos favoráveis poderiam ser obtidos e considerados na fase ininical da doença.2. Critérios de interrupção do tratamento: desenvolvimento de regressão neurológicaComentário: critério carece de maior detalhamento. Sugiro definir de forma precisa a maneira através da qual a avaliação do quadro neurológico será realizada. Quais parâmetros serão avaliados, de que maneira (usar preferencialmente algum score já validado), quais exames seriam necessários e os profissionais responsáveis por essa avaliação. A mesma falta de precisão existe para os critérios: redução de hepatomegalia, redução de esplenomegalia</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Concordo parcialmente com tal proposta uma vez que esta, está comtenplando apenas pacientes com apresentação não neurológica. Trabalho em um ambulatório onde realizamos a infusão de pacientes com mucopolissacaridose Tipo II, 5 pacientes com apresentação neurológica e fica clara o quanto houve uma melhora dos sintomas de todos eles. Por mais que este medicamento não atue no sistema nervoso central , os outros sistemas que são afetados pela doença apresentam melhoras significativas com o uso do medicamento, isto melhora a qualidade de vida do pacientes, diminui o número de internações, uso de antibióticos, dentre outros.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. A avaliação da regressão neurológica deveria ser melhor definida. Apesar de difícil obter pelo SUS, uma avaliação formal de desenvolvimento deveria ser o padrão para a interrupção. Um simples atraso do desenvolvimento - que atinge parte da população saudável, e pode não ser relacionado à doença - não pode ser suficiente para interromper o tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. A Terapia de Reposição Enzimática com Idursulfase deve ser incorporada para o tratamento de MPS II o mais breve possível após o diagnóstico inclusive para as formas neuropáticas! Interromper a terapia nos casos de piora neurológica é condenar as crianças à morte antes do desenvolvimento de estratégia direcionada ao Sistema Nervoso Central! Acredito que o estabelecimento de Centros de Referência em Doenças Raras deve contribuir para determinar técnicas seguras de Reposição Enzimática Intra-tecal!</p> <p>2ª - Sim, O diagnóstico precoce de doenças raras no Brasil não é uma realidade. O país falha com seus filhos! Haja vista a baixíssima cobertura da triagem neonatal. Na MPS II o tratamento tardio favorece a instalação de lesões irreversíveis em válvulas cardíacas, articulações e ossos! Por outro lado, a infiltração de GAGs em tecidos moles é reduzida em poucos meses melhorando a respiração, pela abertura das vias aéreas e redução da hepato-esplenomegalia!</p> <p>3ª - Sim, Falar em Impacto Orçamentário diante de tanta corrupção e privilégios nos três poderes é hipocrisia e um escárnio para as famílias e associações de pacientes portadores de doenças raras!</p> <p>4ª - Sim, Falar em Impacto Orçamentário diante de tanta corrupção e privilégios nos três poderes é hipocrisia e um escárnio para as famílias e associações de pacientes portadores de doenças raras!</p> <p>5ª - Não</p>	
23/08/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO QUE LHES DÊ MAIOR QUALIDADE DE VIDA.</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
23/08/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. É UM DIREITO.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Concordo totalmente com a recomendação preliminar da CONITEC, visto que não há uma alternativa de tratamento legalmente disponível e também pelo fato do medicamento em questão ser aprovado para tratamento da MPS II pelo FDA a mais de 10 anos e também pela ANVISA. Porém, recomendo que seja proposto um prazo para revisão da recomendação e reavaliação de novos estudos sobre as evidências clínicas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
23/08/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<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>	
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, SOU MEDICO, NEUROLOGISTA PEDIÁTRICO E TENHO PACIENTE PORTADOR DE MPS 2, APOS INICIO DA MEDICAÇÃO, O MESMO APRESENTOU MELHORA CLINICA, COM REDUÇÃO NO NUMERO DE INTERNAÇÕES, E GRANDE MELHORA COGNITIVA</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. concordo com a incorporação no SUS da enzima idursulfase mas não concordo que apenas possam receber o tratamento os pacientes abaixo de 12 meses de idade, condição rara, considerando que o acesso ao tratamento estará limitado apenas ao irmão de paciente afetado, que têm o privilégio de ter diagnóstico tão precoce.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Concordo e recomendo que o medicamento seja incorporado para tratamento da MPSII. Trata-se de tratamento eficaz no controle da maioria dos sinais e sintomas relacionados à doença e, em todas as formas, incluindo-se os pacientes graves, há benefícios que embasam esta decisão do ponto de vista social, econômico e de saúde propriamente ditos. Como médica geneticista com experiência no acompanhamento de um paciente em TRE há mais de 5 anos, estou plenamente convencida desta indicação.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
23/08/2017	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim,</p>	
23/08/2017	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>	