

Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Tafamidis meglumina para polineuropatia - CONITEC

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|--------------|--|---|-----------------------------|
| 04/08/2017 | Grupos/associação/orga nização de pacientes | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. concordamos plenamente com a incorporação do medicamento Tafamidis no SUS por ser a única opção de tratamento medicamentoso aprovado no mundo para a Polineuropatia Amiloidótica Familiar e por comprovar na vida real o ganho em qualidade de vida, peso e atraso na progressão da doença, entre outros.</p> <p>2ª - Sim, Estudo de eficácia e segurança no tratamento da polineuropatia amiloidótica familiar com o Tafamidis: resultado de acompanhamento de 6 anos, evidencia o ganho em qualidade de vida, peso e diminuição de progressão da doença, comparado com o estudo da história natural. Publicação no Jornal Amyloid.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p> | Clique aqui |
| 04/08/2017 | Interessado no tema | <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 |
|--------------|-----------------------|---|------------|
| 04/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. A PAF é uma doença que afeta demais a qualidade de vida do paciente e também de sua família. O transplante de fígado ainda é um procedimento muito invasivo e como todo transplante, exige cuidados e muitos medicamentos para evitar rejeição, entre outros fatores. NOvas drogas que possam atrasar o comprometimento neurológico periférico são muito benéficas ao paciente e também à sua família.</p> <p>2ª - Sim, Coelho, Teresa, et al. Tafamidis for transthyretin familial amyloid polyneuropathy A randomized, controlled trial. Neurology 79.8 (2012): 785-792. Coelho, Teresa, et al. Long-term effects of tafamidis for the treatment of transthyretin familial amyloid polyneuropathy. Journal of neurology 260.11 (2013): 2802-2814. Merlini, Giampaolo, et al. Effects of tafamidis on transthyretin stabilization and clinical outcomes in patients on-Val30Met transthyretin amyloidosis. Journal of cardiovascular translational research 6.6 (2013):1011-1020.</p> <p>3ª - Sim, Pacientes com comprometimento neurológico periférico ficam expostos a muitos acidentes, desde queimaduras como outros tipos de lesões, o que onera o sistema de saúde, seja ele público ou privado, com constantes hospitalizações e atendimentos em pronto-socorros. Além disso, devido aos sintomas da doença, também o paciente acaba fazendo uso de outros medicamentos que também oneram o sistema de saúde. Utilizando-se um medicamento que atrase a degeneração, pode-se causar uma redução dos gastos nos sistemas de saúde. Além disso, se o paciente pára de trabalhar devido aos efeitos degenerativos da doença e é aposentado pelo INSS, numa idade que seria produtiva, isso também causa um prejuízo aos cofres públicos.</p> <p>4ª - Sim, Apesar da análise de impacto orçamentário mostrar a necessidade de R\$ 18,9 milhões no primeiro ano após a incorporação e um total acumulado em cinco anos de R\$ 397,5 milhões, com certeza o custo de judicialização é bem maior que esse potencial custo. Além disso, poderia-se verificar a viabilidade de estabelecer uma PDP para transferência de tecnologia dessa droga e fazer do Brasil, um exportador para os países da América Latina e outros.</p> <p>5ª - Sim, A avó do meu marido tinha PAF e faleceu em virtude das complicações da doença. Além disso, o diagnóstico tardio fez com que um dos tios do meu marido desenvolvesse a doença e como foi diagnosticado tardiamente, atualmente vive com muitas sequelas (mesmo tendo feito o transplante). O outro tio foi diagnosticado logo depois e fez o transplante de fígado antes de ter um maior comprometimento, mas ambos perderam muita qualidade de vida e tiveram que se aposentar muito cedo.</p> | |
| 04/08/2017 | 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 |
|--------------|-----------------|--|------------|
| 04/08/2017 | Paciente | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|--------------|-----------------------|--|------------|
| 04/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As recomendações do parecer técnico da CONITEC e da Plenária parecem contraditórias do ponto de vista lógico e técnico-científico. No relatório técnico (que não abre diretamente no site da consulta pública, abre apenas a partir do documento para sociedade, ou seja, tive dificuldade em conseguir acessar) é dito que não há benefício em escalas clínicas e de qualidade de vida na análise por intenção de tratar no único estudo encontrado de maior relevância com o uso do tafamidis para a PAF. Já no documento para a sociedade é dito que há potencial benefício do tratamento no que se refere ao comprometimento neurológico e à qualidade de vida dos pacientes, conteúdo bem distinto do informado no parecer técnico. Além disso, na argumentação para a incorporação do medicamento junto à recomendação da Plenária é dito que não há opções terapêuticas para a condição (sendo este um dos motivos para incorporação) e na parte logo acima é dito que no documento apresentado o benefício comparativo do tafamidis em relação a outras opções terapêuticas não foi avaliado nos estudos disponíveis. Ou seja, há opções terapêuticas, mas que não foram consideradas e nem avaliadas para a tomada de decisão. Como especialista em doenças neurogenéticas e membro do grupo de trabalho do PCDT em PAF tive a oportunidade de revisar a evidência de alternativas farmacológicas no tratamento desta condição, e entre elas destaco o uso de diflunisal. No principal ensaio clínico que avaliou a eficácia do diflunisal os resultados foram positivos, e, diferentemente dos estudos com tafamidis, os resultados positivos foram encontrados para o desfecho primário do estudo. Cabe salientar que neste estudo foram incluídos pacientes em todas as fases da doença e com diferentes mutações no TTR, ou seja, tem uma validade externa maior do que o estudo com Tafamidis (Berk JL, et al. Repurposing diflunisal for familial amyloid polyneuropathy: a randomized clinical trial. JAMA. 2013 Dec 25;310(24):2658-67). Não há estudos com comparação direta entre tafamidis e diflunisal na literatura; entretanto ao revisar a literatura a conclusão mínima que se pode chegar é de que ambos apresentam evidência de eficácia, e que a evidência do diflunisal é mais robusta metodologicamente. O diflunisal é um medicamento anti-inflamatório não esteroide, derivado do AAS e que não tem interesse comercial específico (é um medicamento antigo). Este medicamento tem registro (ativo ou inativo?) junto a ANVISA Nº DCB 03005, Nº Registro CAS 22492-42-4 como anti-inflamatório e é comercializado em outros países. Ou seja, é um medicamento sem interesses comerciais e que já foi comercializado no país e liberado para uso por sua agência regulatória. Consultei sites no EUA, e o custo de 1 mês de tratamento com diflunisal 500mg 2x ao dia é de 39 dólares (https://www.goodrx.com/dolobid). Ou seja, revisando os custos apresentados com o tafamidis (R\$17.078,09), o custo por mês com o diflunisal considerando valor de 160 reais seria 106x inferior ao do Tafamidis. Ou seja, o impacto orçamentário anual de R\$18.940.475,15 em 2018 cairia para R\$178.683,72 reais, para atender a mesma população. Os pacientes com PAF podem apresentar também doença renal e como o diflunisal é um anti-inflamatório um dos receios com seu uso seria a piora de função renal. Entretanto, no estudo de Berk et al, que avaliou 130 pacientes com PAF, 64 destes em uso de diflunisal, o N de pacientes com evento adverso renal e também gastrointestinal (que seria outro potencial evento adverso) foi igual entre os grupos e a taxa de descontinuação do tratamento ativo foi inferior a do grupo placebo. Ou seja, mesmo que possa haver piora na função renal com o medicamento, ela não é frequente, e não justificaria que este tratamento não fosse considerado como o de primeira linha. Considerando todo o contexto nacional, de restrição de gastos e investimentos em saúde; é</p> | |

no mínimo um contrassenso a aprovação e recomendação de um tratamento de altíssimo custo, quando há opções terapêuticas eficazes de custo marcadamente menor. Entretanto, a incorporação do tafamidis, como segunda linha, em casos de eventos adversos que motivem a retirada do fármaco de menor custo, aí sim poderia ser considerada.

2ª - Sim, Ver comentário acima. Apenas saliento que na argumentação para a incorporação do medicamento junto à recomendação da Plenária é dito que não há opções terapêuticas para a condição (sendo este um dos motivos para incorporação) e na parte logo acima é dito que no documento apresentado o benefício comparativo do tafamidis em relação a outras opções terapêuticas não foi avaliado nos estudos disponíveis. Ou seja, há opções terapêuticas, mas que não foram consideradas e nem avaliadas para a tomada de decisão. Anexo referências de uma destas opções e o documento da farmacopeia com o registro do diflunisal no país.

3ª - Sim, Consultei sites no EUA, e o custo de 1 mês de tratamento com diflunisal 500mg 2x ao dia é de 39 dólares (<https://www.goodrx.com/dolobid>). Ou seja, revisando os custos apresentados com o tafamidis (R\$17.078,09), o custo por mês com o diflunisal considerando valor de 160 reais seria 106x inferior ao do Tafamidis. Ou seja, o impacto orçamentário anual de R\$18.940.475,15 em 2018 cairia para R\$178.683,72 reais, para atender a mesma população. Os pacientes com PAF podem apresentar também doença renal e como o diflunisal é um anti-inflamatório um dos receios com seu uso seria a piora de função renal. Entretanto, no estudo de Berk et al, que avaliou 130 pacientes com PAF, 64 destes em uso de diflunisal, o N de pacientes com evento adverso renal e também gastrointestinal (que seria outro potencial evento adverso) foi igual entre os grupos e a taxa de descontinuação do tratamento ativo foi inferior a do grupo placebo. Ou seja, mesmo que possa haver piora na função renal com o medicamento, ela não é frequente, e não justificaria que este tratamento não fosse considerado como o de primeira linha. Considerando todo o contexto nacional, de restrição de gastos e investimentos em saúde; é no mínimo um contrassenso a aprovação e recomendação de um tratamento de altíssimo custo, quando há opções terapêuticas eficazes de custo marcadamente menor. Entretanto, a incorporação do tafamidis, como segunda linha, em casos de eventos adversos que motivem a retirada do fármaco de menor custo, aí sim poderia ser considerada.

4ª - Sim, Ver comentário acima sobre avaliação econômica.

5ª - Sim, Considerando todo o contexto nacional, de restrição de gastos e investimentos em saúde; é no mínimo um contrassenso a aprovação e recomendação de um tratamento de altíssimo custo, quando há opções terapêuticas eficazes de custo marcadamente menor como o diflunisal. Entretanto, a incorporação do tafamidis, como segunda linha, em casos de eventos adversos que motivem a retirada do fármaco de menor custo, aí sim poderia ser considerada. Além disso, cabe salientar que a falta de um registro ativo (se for o caso) de um medicamento antigo (já sem patente) não deveria de forma alguma favorecer a implementação de uma tecnologia de custo marcadamente maior apenas por ser um fármaco novo e, portanto, com interesses comerciais. Sugiro que as agências reguladoras tenha política específica para o uso destes medicamentos já sem interesse comercial, mas que podem beneficiar milhares de brasileiros.

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|---------------------|---|--|-------------------|
| 04/08/2017 | Interessado no tema | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 04/08/2017 | Interessado no tema | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 04/08/2017 | Interessado no tema | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 04/08/2017 | Familiar, amigo ou cuidador de paciente | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 04/08/2017 | Familiar, amigo ou cuidador de paciente | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|--------------|---|---|------------|
| 04/08/2017 | Familiar, amigo ou cuidador de paciente | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 04/08/2017 | Interessado no tema | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 04/08/2017 | Familiar, amigo ou cuidador de paciente | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 04/08/2017 | Interessado no tema | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 04/08/2017 | Interessado no tema | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|--------------|-----------------------|--|-----------------------------|
| 06/08/2017 | Paciente | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 07/08/2017 | Interessado no tema | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 07/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Atualmente sobram evidências científicas referentes ao benefício do uso do Tafamidis nas formas iniciais e oligossintomáticas da PAF tipo 1/polineuropatia amiloidótica familiar ligada à transtirretina. 2ª - Sim, Contribuição em anexo com referências bibliográficas. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | Clique aqui |
| 07/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Nada acrescentar à recomendação preliminar da CONITEC. 2ª - Sim, Dados apresentados em congressos, por pesquisadores de outros países, mostram resultados positivos em relação ao uso do Tafamidis 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, Artigos de revisão evidenciam bons resultados em relação ao uso do Tafamidis. | Clique aqui |

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|--------------|-----------------------|---|------------------------------------|
| 08/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Na recomendação da CONITEC o tafamidis será indicado para tratamento da polineuropatia amiloidótica familiar (PAF) em estágio inicial. Indicação para transplante hepático tem melhores resultados também nesta fase da doença, sendo recomendado em pacientes com estágios I/II, com duração de doença inferior a 7 anos e sem desnutrição (IMC modificado > 700 no momento da avaliação para transplante). Ainda não está claro qual estratégia (transplante de fígado vs. tratamento com tafamidis) tem o melhor benefício a longo-prazo), mas o transplante de fígado deve ser indicado naqueles pacientes que apresentam progressão da doença no uso do tafamidis. Como existem barreiras no acesso ao transplante hepático em várias regiões do Brasil, é importante que todo paciente com PAF em uso de tafamidis seja referenciado para um centro de transplante para acompanhamento conjunto ou paralelo, buscando estabelecimento do melhor momento para preparação do paciente frente a eventual indicação de transplante hepático. Atualmente, PAF é responsável por 2% dos transplantes de fígado realizados no Brasil. O procedimento tem morbimortalidade muito superior ao tratamento clínico, mas se associa a estabilização da doença na grande maioria dos casos. A PAF é considerada uma situação especial sendo priorizada para transplante de fígado de acordo com a legislação vigente.</p> <p>2ª - Sim, É importante constar no PDCT os critérios para indicação de transplante de fígado incluindo dados nacionais sobre resultados, uma vez que pacientes com estágios da doença mais avançados podem não se beneficiar do procedimento cirúrgico</p> <p>3ª - Sim, Não seria interessante comparação entre custo-efetividade do transplante de fígado e do uso do tafamidis ?</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p> | |
| 08/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Casuística nacional sobre resultados do transplante hepático para a doença</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 |
|--------------|-----------------------|--|------------|
| 08/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Considerando que no Brasil haveria apenas um número em torno de 4.800 pacientes, com prevalência 2,33/100.000 habitantes, e que o custo é muito inferior ao de se fazer transplante hepático em todos (além da indisponibilidade de órgãos para doação), acredito veementemente de que a incorporação do medicamento é a única saída para proporcionar a esses pacientes um tratamento que lhes traga a perspectiva de retardar a evolução da doença, que é extremamente grave quando não tratada.</p> <p>2ª - Sim, Em casos de doenças raras nem sempre dispomos de evidências tão claras como em doenças bem conhecidas, como as cardiovasculares e neurovasculares, por exemplo. Por esse motivo, é fundamental permitir que as pessoas recebam o tratamento e, a seguir, fazer novas avaliações de efetividade futuras com o objetivo de rever se o protocolo se mantém adequado. Se esperarmos por evidências inabaláveis isso levará ao sofrimento de muitos brasileiros que ficariam sem outro tipo de tratamento exceto o transplante hepático.</p> <p>3ª - Sim, O custo do tratamento é muito inferior ao de se fazer transplante hepático em todos os casos, além da indisponibilidade de órgãos para doação, que impediria o tratamento cirúrgico. A incorporação do medicamento é a única saída para proporcionar a esses pacientes um tratamento que lhes traga a perspectiva de retardar a evolução da doença, que tem consequências devastadoras.</p> <p>4ª - Sim, Deixar os casos de polineuropatia amiloidótica familiar sem tratamento implica também em custos altos, que entretanto não aparecem nas contas dos sistemas de saúde porque são difíceis de serem contabilizadas de forma separada, pela problemática própria envolvida na informatização da saúde no Brasil. Esses custos provavelmente superam os do tratamento medicamentoso, além do custo não financeiro, ligado ao sofrimento humano causado pela doença. Por fim, conforme exposto acima, o custo do tratamento ainda é muito inferior ao de se fazer transplante hepático em todos os casos (além da indisponibilidade de órgãos para doação).</p> <p>5ª - Não</p> | |
| 08/08/2017 | 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 |
|--------------|-----------------------|---|------------|
| 08/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. A PAF é doença de caráter genético, crônico e que leva a incapacidade progressiva e ainda não dispõe de tratamento nenhum.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p> | |
| 08/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, SAÚDE É DIREITO DE TODOS E DEVER DO ESTADO (CF ART. 156)</p> <p>4ª - Sim, ART 196 da CF</p> <p>5ª - Sim, CF ART. 196</p> | |
| 08/08/2017 | 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> | |
| 09/08/2017 | 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> | |
| 09/08/2017 | 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 |
|--------------|---|--|------------------------------------|
| 10/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Tendo em vista a eficácia da medicação e a possibilidade de retardar progressão de casos, vejo a indicação como adequada</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p> | |
| 10/08/2017 | Familiar, amigo ou cuidador de paciente | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Concordo, por que tem muitas pessoas que precisam do medicamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p> | |
| 10/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. sim ja tive oportunidade de acompanhar pacientes em Portugal que fazem uso do medicamento</p> <p>2ª - Sim, o artigo anexo</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, se estes pacientes conseguirem ficar mais tempo tratando desoneram o serviço publico em relação a realizacao do transplante precocemente</p> | <p>Clique aqui</p> |
| 11/08/2017 | Familiar, amigo ou cuidador de paciente | <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> | |

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|--------------|---|---|------------|
| 11/08/2017 | Familiar, amigo ou cuidador de paciente | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Gostaria que estivesse tratamento aqui em recife 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 13/08/2017 | Interessado no tema | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 13/08/2017 | Familiar, amigo ou cuidador de paciente | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 13/08/2017 | Paciente | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Nossa vida vale muito! Precisamos muito!! É uma esperança. 2ª - Sim, Precisamos muito de ajuda 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|--------------|-----------------------|--|---|
| 13/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. A droga em questão apresenta evidência nos estudos clínicos realizados até o momento com perfil seguro em termos de efeitos adversos. Nos centros europeus (onde seu uso já está disponível desde 2011), os dados de longo prazo reforçam os dados de eficácia em uma proporção significativa dos casos. Em nosso país, a incorporação desta nova tecnologia representará um ganho para o manejo dos pacientes com PAF e uma oportunidade de tratamento para muitos que não tem acesso em tempo hábil ao transplante hepático.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Considero fundamental o papel dos centros nacionais de referência em PAF para o gerenciamento do tratamento dos pacientes, especialmente se a incorporação se confirmar. Os centros universitários reúnem condições para um diagnóstico e estadiamento preciso da doença, garantindo assim que o fornecimento da medicação seja feita ao público-alvo para o qual ela tem benefício e evitando desperdício de recursos.</p> | |
| 14/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Ada a comentar</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 - Discordo totalmente da 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 - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação mostrou melhora no quadro clínico do paciente e diminuição de infecções respiratórias.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim,</p> | <p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p> |

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|--------------|---|--|-----------------------------|
| 14/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Ada a comentar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 15/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 15/08/2017 | Empresa fabricante da tecnologia avaliada | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. A Pfizer concorda totalmente com a decisão preliminar da CONITEC, visto que a disponibilização do tratamento da PAF-TTR com tafamidis meglumina contribuirá para o atraso da progressão neurológica em pacientes no estágio inicial da doença. 2ª - Sim, Por meio desta Consulta Pública, a Pfizer apresenta sugestões pontuais no atual relatório técnico publicado no site da CONITEC no dia 2 de agosto de 2017. Assim, no documento anexado, são apresentadas as sugestões em relação às evidências científicas, a avaliação econômica e ao impacto orçamentário, juntamente com as referências utilizadas para embasar tais contribuições. 3ª - Sim, As contribuições em relação à avaliação econômica estão no documento anexado a este formulário. 4ª - Sim, As contribuições em relação ao impacto orçamentário estão no documento anexado a este formulário. 5ª - Não | Clique aqui |
| 15/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. È UMA DOENÇA RARA MAS QUE O TRATAMENTO PRATICAMENTE MELHORA BASTANTE O PROGNOSTICO DO PACIENTE 2ª - Não 3ª - Sim, O TRATAMENTO APESAR DE CARO EVITA COMPLICAÇÕES TARDIAS QUE, AO LONGO PRAZO, LEVARIA O ESTADO A UM DISPÊNDIO MUITO MAIOR! 4ª - Não 5ª - Não | |

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|--------------|-----------------------|---|------------|
| 15/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 15/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Sim, Acho válido investir em um tratamento que não seja apenas sintomático, e que seja promissor pra melhoria da qualidade de vida do paciente. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 16/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 16/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Tafamidis é a primeira droga a mostrar uma expectativa de vida melhor para os pacientes com amiloidose familiar.A adesão será maior devido a apresentação oral e comodidade posológica 2ª - Sim, Achei interessante o parecer favorável da CONITEC para a incorporação do medicamento ao SUS 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 17/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|--------------|-----------------------|--|------------------------------------|
| 17/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, orientação dos pacientes</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p> | |
| 17/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. 1 - Prevalência de amiloidose familiar no Brasil é alta, devido a nossa colonização Portuguesa. 2 - Uma opção terapeutica é o transplante hepático, no entanto não há doadores suficientes, não ha centros de transplante suficientes, os custos são altos e os riscos associados ao procedimento são altos.3 - Diversos estudos com tafamidis demonstraram eficacia nos parametros motores dos pacientes. 4 - Essa é uma doencã que pode levar a óbito.</p> <p>2ª - Sim, 1 - E uma droga comprovadamente segura para uso a longo praso2 - Diminui a progressão da doença e melhora qualidade de vida</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p> | |
| 18/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, pacientes com paf tem grandes chances de evoluir pra morte e tratando vão ter uma melhora e sobrevida além de melhora dos sintomas .</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p> | |
| 18/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Medicação que quando bem indicada dentro do diagnóstico estabelecido tem mostrado resultados favoráveis na melhoria da qualidade de vida dos doentes afetados por essa rara doença.</p> <p>2ª - Sim, Como médico especialista em neuropatias periféricas, penso que a oferta de uma medicação como o Tafamidis tem tudo para oficializar o tratamento da neuropatia amiloidótica familiar no Brasil. Já há vários estudos que indicam sua eficácia em estabilizar a doença e postergar uma eventual indicação de transplante.</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 |
|--------------|---|---|------------------------------------|
| 20/08/2017 | 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> | |
| 20/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, auxílio no diagnóstico precoce da PAF</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p> | |
| 20/08/2017 | Grupos/associação/orga nização de pacientes | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Concordamos plenamente com a indicação pois devemos ter mais um tipo de tratamento disponível para os pacientes, que em sua maioria tem entre 20 e 40 anos e o único tratamento disponível é o transplante hepático que tem risco de vida, havendo vários casos de morte de pessoas novas com famílias e filhos, ao passo que o remédio é altamente seguro e com eficácia comprovada, assim devemos dar acesso a esse tipo de medicamento tão importante para essas pessoas. É o único tratamento medicamentoso aprovado para essa doença no Brasil e no mundo, em países como Portugal, Espanha, França, Itália, Argentina, Alemanha ele já é distribuído para os pacientes pelo sistema de saúde.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, segue o abaixo-assinado onde foram coletadas 4.708 assinaturas durante os últimos 3 anos, entre pacientes, familiares e amigos. Essas assinaturas representam pessoas de todo o Brasil. Este abaixo-assinado confirma a importância dessa medida, de incluir o medicamento Vyndaqel - Tafamidis no SUS para que os pacientes tenham acesso a esse importante tipo de tratamento, pois é o único remédio aprovado para essa doença no Brasil e no mundo.</p> | <p>Clique aqui</p> |

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|--------------|-----------------------|---|------------------------------------|
| 21/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. O tafamidis já é atualmente utilizado e mostra bons resultados</p> <p>2ª - Sim, O Tafamidis já é utilizado para pacientes com amiloidose familiar e mostra que retarda a progressão da doença por se ligar à proteína amiloide (mutante).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p> | <p>Clique aqui</p> |
| 21/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Trata-se de doenças de potencial letal, de evolução longa e caracterizada por grande comprometimento da qualidade de vida. Além as incapacidades geradas pela doença trazem demanda de recursos ao serviço de saúde. Portanto, o tratamento que já se mostrou eficaz em abortar a progressão da doença é de grande tanto calor considerando o indivíduo afetado quanto considerando o SUS que terá menos demanda de assistência paliativa.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p> | |
| 22/08/2017 | Profissional de saúde | <p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Tafamidis é um tratamento inovador e absolutamente mais cômodo que a proposta terapêutica sugerida até então para polineuropatia amiloidótica familiar - o transplante hepático. É uma droga que tem se demonstrado efetiva no tratamento da doença e vem afetando de modo decisivo a evolução e desfecho clínico dos doentes que já a utilizam.</p> <p>2ª - Sim, Os artigos abaixo apenas ensinam o que já foi observado clinicamente, em alguns casos que pessoalmente conheci e testemunhei o seguimento clínico-neurológico: a medicação é segura, altera a evolução da doença e o faz com resultados consistentes. https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/28758793 https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/28393570</p> <p>3ª - Sim, A medicação tem como principal inconveniente seu alto custo, no entanto acredito que por se tratar de doença rara e estar abrindo margem pra novo nicho terapêutico, dentro em breve teremos opções novas e de menor custo, teremos futuramente a possibilidade de, com isso, reduzir custos a longo prazo.</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 totalmente com a recomendação preliminar. Tendo em vista a análise do estudo relacionado no parecer técnico, acredito no benefício em retardar progressão da sintomatologia e consequente perda da qualidade de vida. Acho que a desaceleração da evolução da doença também abriria maiores possibilidades de realização de transplante de fígado em fases mais precoces e com resultados mais positivos no controle da doença.</p> <p>2ª - Sim, A escassez de estudos clínicos dificulta a análise detalhada do problema, no entanto as informações obtidas até então sugerem significativo benefício no retardo da perda de qualidade de vida, que ao meu ver, é um ponto fundamental da morbidade da doença. O sofrimento crescente e perspectiva de morte com o passar do tempo de doença nos faz ter a urgência de estabelecer medidas efetivas de diagnóstico e tratamento. Portanto, acredito que a incorporação e disponibilidade da medicação é uma importante ferramenta de manejo e controle da morbidade.</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 totalmente com a recomendação preliminar. Considerando o Brasil como nação que teve grande aporte populacional vindo de Portugal e, sendo essa nação endêmica para polineuropatia amiloidótica familiar, é razoável entender o porquê nosso país possui tantos casos da doença. Ainda assim é uma condição bastante rara, longe de acometer uma parcela significativa do nosso povo. Aqueles que convivem com a doença enfrentam uma condição altamente limitante e que acomete vários sistemas orgânicos. O uso do tafamidis meglumina como tratamento, está disponível em outros países há vários anos e mostro-se capaz de retardar a doença e suas complicações. Desta maneira, o oferecimento dessa opção de tratamento para aqueles que vivem com a doença é não somente tecnicamente correto, mas ética e humanitariamente recomendável.</p> <p>2ª - Sim, Desde a publicação dos estudos mostrando a eficiência do tafamidis em retardar a progressão do quadro neurológico dos pacientes com polineuropatia amiloidótica familiar em 2012(1), uma vasta gama de evidências favoráveis ao medicamento se acumulou. Avaliações de longo prazo de uso do medicamento mostrou segurança após longo tempo de uso (2,3), além de uma redução do dano neurológico e neurofisiológico (2,3,4) e ainda uma preservação da composição corporal (5). Tais dados, são prova de que tal medicamento é importante para o tratamento desse grupo de pacientes.1 - Coelho T, Maia LF, Martins da Silva A, Waddington Cruz M, Planté-Bordeneuve V, Lozeron P, Suhr OB, Campistol JM, Conceição IM, Schmidt HH, Trigo P, Kelly JW, Labaudinière R, Chan J, Packman J, Wilson A, Grogan DR. Tafamidis for transthyretin familial amyloid polyneuropathy: a randomized, controlled trial. <i>Neurology</i>. 2012 Aug 21;79(8):785-92. doi: 10.1212/WNL.0b013e3182661eb1. Epub 2012 Jul 25.2- Keohane D, Schwartz J, Gundapaneni B, Stewart M, Amass L. Tafamidis delays disease progression in patients with early stage transthyretin familial amyloid polyneuropathy: additional supportive analyses from the pivotal trial. <i>Amyloid</i>. 2017 Mar;24(1):30-36.3- Barroso FA, Judge DP, Ebede B, Li H, Stewart M, Amass L, Sultan MB. Long-term safety and efficacy of tafamidis for the treatment of hereditary transthyretin amyloid polyneuropathy: results up to 6 years. <i>Amyloid</i>. 2017 Jul 31:1-11. doi: 10.1080/13506129.2017.1357545.4- Planté-Bordeneuve V, Gorram F, Salhi H, Nordine T, Ayache SS, Le Corvoisier P, Azoulay D, Feray C, Damy T, Lefaucheur JP. Long-term treatment of transthyretin familial amyloid polyneuropathy with tafamidis: a clinical and neurophysiological study. <i>J Neurol</i>. 2017 Feb;264(2):268-276. doi: 10.1007/s00415-016-8337-3.5- Cortese A, Vita G, Luigetti M, Russo M, Bisogni G, Sabatelli M, Manganelli F, Santoro L, Cavallaro T, Fabrizi GM, Schenone A, Grandis M, Gemelli C, Mauro A, Pradotto LG, Gentile L, Stancanelli C, Lozza A, Perlini S, Piscosquito G, Calabrese D, Mazzeo A, Obici L, Pareyson D. Monitoring effectiveness and safety of Tafamidis in transthyretin amyloidosis in Italy: a longitudinal multicenter study in a non-endemic area. <i>J Neurol</i>. 2016 May;263(5):916-924. doi: 10.1007/s00415-016-8064-9.</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 | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 23/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Muitos trabalhos na literatura demonstram que esta droga muda a história natural desta doença incapacitante e letal 2ª - Sim, Muitos estudos multicêntricos confirmam que o tafamidis contribui para amenizar a doença e alentecer a progressão. A maioria deles já citados no documento técnico-científico. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, Para uma correta utilização da droga e seguimento clínico do paciente, portador de uma doença de didicil manuseio, sugiro que o seguimento seja feito em centros universitários credenciados | |
| 23/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 23/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Ha evidências de redução da programação da poli neuropatia a,lloilo to a familiar nos pacientes tratados precocemente. 2ª - Sim, Esta redução descrita acima foi comprovado em estudos a longo prazo. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, | <p data-bbox="1912 1034 2051 1062">Clique aqui</p> <p data-bbox="1912 1177 2051 1206">Clique aqui</p> |
| 23/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |

| Dt. contrib. | Contribuiu como | Descrição da contribuição | Referência |
|--------------|-----------------------|--|-----------------------------|
| 23/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 23/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | |
| 23/08/2017 | Profissional de saúde | 1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. única forma de tratamento disponível sem ser o cirurgico (transplante hepatico) muito mais agressivo 2ª - Sim, Medicação importante para controle da doença em pacientes com disautonomia e dor, que usam atualmente só medicações para analgesia porém com baixa resposta. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não | Clique aqui |