

Contribuições da Consulta Pública - PCDT - Mucopolissacaridose Tipo II - CONITEC

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
29/11/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
29/11/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
29/11/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
30/11/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
02/12/2017	Especialista no tema do protocolo	Muito boa	Não		
04/12/2017	Profissional de saúde	Regular	Não		
04/12/2017	Especialista no tema do protocolo	Regular	Sim, Evidências de degeneração neurológica nem sempre são fatores definidores de contra-indicação da reposição enzimática, pois os ganhos são significativos sistêmicos e mesmo a literatura é duvidosa na referência à estabilidade da progressão neurológica. Ainda considerando que todos terão esse momento, alguns já apresentam atraso dito de "saída"- com sintomas neurológicos desde o início do quadro, não vejo como plausível esse aspecto do item critérios de		
04/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Acredito que o fato de ser diagnosticado com essa terrível doença , que é multissistêmica e incurável .Deveria dar ao paciente o direito de se tratar. Até que haja outra forma de tratamento.	Até que uma medicação com penetração neurológica seja lançada os pacientes tem que ter direito ao tratamento existente .	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
05/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Olá referente a proposta achei ótima.No nosso Município tem um protocolo, porem utilizamos recurso exclusivamente municipal.Trabalho com o protocolo municipal e percebo um marketing abusivo das industrias e profissionais de saúde promovendo essas fórmulas.Acredito que com um protocolo patronizado ira minimizar essas situações.	
05/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
05/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	Sim, A média de idade dos pacientes com diagnóstico geralmente é alta, acima de 5 anos; vale ressaltar que 2/3 dos pacientes apresentam a forma grave da doença com comprometimento neurológico importante, se forem seguidos os critérios propostos em tal protocolo um grande número de pacientes não serão beneficiados com a terapia de reposição enzimática. Isto repercute diretamente na sobrevida dos mesmos e na qualidade de vida destes, uma vez que a enzima tem grandes resultados diminuindo a progressão da doença; fato este já descrito Na literatura e relatado diariamente pelos responsáveis.	O consenso latino americano recomenda que os pacientes sejam submetidos a pelo menos 6-12 meses de tratamento e, se provando os benefícios somáticos o tratamento deve permanecer.	Clique aqui
06/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
06/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
06/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	A oportunidade de tratamento é para todos.	
06/12/2017	Profissional de saúde	Regular	Sim, BaSeria importante ressaltar que concordo parcialmente .Pois da forma que vocês estão sugerindo a grande parte dos pacientes ficaram sem direto a tratamento.	Baseado em evidências pacientes que perderam seu tratamento corre maior risco de Morte eminente do que os que hoje realizam o tratamento.	Clique aqui
06/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não	Lembrar a importância do tratamento e continuidade deste tratamento sem interrupções, o que pode levar sérios danos aos pacientes.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
06/12/2017	Especialista no tema do protocolo	Boa	Não	Sabemos que em algum momento o comprometimento neurológico destes pacientes vai evoluir , porém em quanto tratamento com a enzima temos melhora da qualidade de vida do paciente e cuidadores redução dos agravos dos outros sistemas. O convívio social e afetivo torna se visível e fortalecido.	
06/12/2017	Profissional de saúde	Regular	Não		
06/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Concordo parcialmente . E que da forma que eles sugerem a grande parte dos pacientes ficaram sem direto a tratamento.		
06/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não		
06/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
07/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não		
07/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não	Sabe se que a maior parte dos pctes são neuronopatas e em algum momento vão apresentar regressão neurológica, apesar de sabermos que o benefício do medicamento em questão é sintomático e não neurológico poderíamos dar a esse paciente melhor condição clínica de vida com menos infecções e internações é provável maior sobrevida (também diminuição dos custos de internações)	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
07/12/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Regular	<p>Sim, Como entidade cuidadora das pessoas acometidas pela Síndrome de Hunter desde 2001 e acompanhando estas famílias e este tratamento desde sua pesquisa em janeiro de 2004, sabemos da importância do mesmo e se possível precoce, para assim diminuir o impacto da doença e o avanço da avassalador da mesma. Restringir o tratamento para somente os acometidos de forma não neuropata, é o mesmo que determinar a morte de 60% dos paciente em tratamento hoje. Sugiro a alteração deste critério para que os pacientes tenham direito ao tratamento, colocando como critério de exclusão, os pacientes que já não respondem ao tratamento, indivíduos acamados e cuja terapia, não traz mais benefício clínico. Outro detalhe a ser revisto, sendo um dos critérios de inclusão, pacientes até 12 meses, faz-se necessário então, a inclusão na Triagem Neonatal Expandida para Mucopolissacaridose visto que, em geral, salvo quando na família já consta um ente acometido, estas crianças somente são diagnosticadas, após os 24 meses de vida.</p>	<p>Conforme relatado em artigo de um grupo de especialistas, coordenado pelo Dr Roberto Giugliani, pesquisador da UFRGS, traz a seguinte constatação, "A TRE intravenosa, bastante efetiva em algumas áreas (...)</p> <p>Diversos consensos internacionais de especialistas abordaram esse aspecto, e a opinião predominante e que os benefícios somáticos justificam não só o tratamento dos casos não neuropáticos, como também dos neuropáticos (com a possível exceção dos casos já em fase avançada). Essa conclusão leva em conta a melhoria na qualidade de vida do paciente (com menos internações, melhor padrão do sono, mais resistência, melhor estado geral), quer neuropata ou não neuropata, e também o fato de que a TRE não deve ser vista como um tratamento curativo, mas sim uma forma de terapia que permita ao paciente conviver com a sua condição com menos complicações e menos sequelas, algo considerado fundamental enquanto novos tratamentos são desenvolvidos."</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
07/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	<p>Sim, Os critérios de inclusão, exclusão e interrupção de tratamento praticamente não mudaram. O protocolo quer claramente restringir o tratamento para quem tem a forma atenuada, como descrito na seção 4.1.1 que é elegível ao tratamento quem a) tem a forma atenuada (ou seja, forma não associada a regressão neurológica) OU b) quem tiver sido diagnosticado em idade inferior a 12 meses. Porém inúmeros estudos não falam apenas dos benefícios neurológicos da terapêutica mas sim dos benefícios da qualidade de vida dos pacientes e familiares, minimizando sequelas que aumentam internação e oneram o serviço público de saúde. Exemplos desses estudos são: O consenso latino americano recomenda que os pacientes sejam submetidos a pelo menos 6-12 meses de tratamento e, em se provando os benefícios somáticos, o tratamento deve permanecer. Outros estudos relevantes são: Muenzer J, Wraith JE, Beck M, et al. A phase II/III clinical study of enzyme replacement therapy with idursulfase in mucopolysaccharidosis II (Hunter syndrome). Genet Med 2006;8(8):465-473. , que demonstrou aumento significativo do teste de caminhada de 6 minutos (6-MWT), em relação ao placebo (aumento de 37 metros, p = 0,013); demonstrou também melhora significativa do %CVF absoluto em comparação ao placebo (p = 0,0011), e redução significativa dos níveis de GAGs na urina quando comparado ao grupo placebo. Segundo o artigo de revisão Na nossa experiência, o primeiro sinal de eficácia na maioria dos pacientes jovens (pré-púberes) geralmente é um sentimento de bem-estar e maior energia, manifestando-se como uma maior habilidade para participar das atividades diárias normais. Aos 2 meses, a maioria dos pacientes tem níveis de GAG &#8203;&#8203;urinários aproximando-se do intervalo normal e geralmente há evidências de redução do tamanho do fígado e do baço. Após um mês mais de terapia, há muitas vezes uma melhora nas contrações articulares de tecidos moles e no início de um surto de crescimento. Aos 6 meses de tratamento, a maioria dos pacientes melhorou a distância que eles podem alcançar no teste de caminhada de 6 minutos e a</p>	<p>A phase II/III clinical study of enzyme replacement therapy with idursulfase in mucopolysaccharidosis II (Hunter syndrome). Randomized controlled trial Muenzer J, et al. Genet Med. 2006. Referência bibliográfica Eur J Pediatr (2008) 167:267–277 DOI 10.1007/s00431-007-0635-4 REVIEW Mucopolysaccharidosis type II (Hunter syndrome): a clinical review and recommendations for treatment in the era of enzyme replacement therapy J. Edmond Wraith & Maurizio Scarpa & Michael Beck & Olaf A. Bodamer & Linda De Meirleir & Nathalie Guffon & Allan Meldgaard Lund & Gunilla Malm & Ans T. Van der Ploeg & Jiri Zeman Não consegui anexar os Arquivos por isso coloquei as referências aqui</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
07/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	<p>maioria mostra estabilização (se não melhora) em testes de função pulmonar. A maior parte da melhoria ocorre nos primeiros 12-18 meses.(J. Edmond Wraith et.al,Eur J Pediatr (2008) 167:267–277).Logo visto as evidências de que não apenas os sintomas neurológicos do paciente se beneficiam da terapia , este não pode ser um limitante para a mesma , uma vez que a melhora motora e da qualidade de vida do paciente e familiares também é significativa segundo os estudos .</p>	<p>Quem deve definir o tratamento é o consenso entre médico e família visando os outros benefícios que a TRE oferece, independente da forma neurológica da doença que por sua vez representa quase 70% dos MPS2, portanto todos esses pacientes não estariam elegíveis ao tratamento segundo este protocolo.</p>	
07/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
07/12/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Regular	Sim, Como entidade que acolhe associações de pacientes de pessoas com MPS e muitas delas acometidas pela Síndrome de Hunter, sabemos da importância do mesmo e se possível precoce, para assim diminuir o impacto da doença e o avanço da avassaladora da mesma. Restringir o tratamento para somente os acometidos de forma não neuropática, é o mesmo que determinar a morte de 60% dos paciente em tratamento hoje. Sugiro a alteração deste critério para que os pacientes tenham direito ao tratamento, colocando como critério de exclusão, os pacientes que já não respondem ao tratamento, indivíduos acamados e cuja terapia, não traz mais benefício clínico. Outro detalhe a ser revisto, sendo um dos critérios de inclusão, pacientes até 12 meses, faz-se necessário então, a inclusão na Triagem Neonatal Expandida para Mucopolissacaridose visto que, em geral, salvo quando na família já consta um ente acometido, estas crianças somente são diagnosticadas, após os 24 meses de vida.	Conforme relatado em artigo de um grupo de especialistas, coordenado pelo Dr Roberto Giugliani, pesquisador da UFRGS, traz a seguinte constatação, "A TRE intravenosa, bastante efetiva em algumas áreas (...) Diversos consensos internacionais de especialistas abordaram esse aspecto, e a opinião predominante e que os benefícios somáticos justificam não só o tratamento dos casos não neuropáticos, como também dos neuropáticos (com a possível exceção dos casos já em fase avançada). Essa conclusão leva em conta a melhoria na qualidade de vida do paciente (com menos internações, melhor padrão do sono, mais resistência, melhor estado geral), quer neuropata ou não neuropata, e também o fato de que a TRE não deve ser vista como um tratamento curativo, mas sim uma forma de terapia que permita ao paciente conviver com a sua condição com menos complicações e menos sequelas, algo considerado fundamental enquanto novos tratamentos são desenvolvidos."	
07/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Não	Não considero justo que apenas bebês sejam contemplados. Mesmo não ultrapassando a barreira do cérebro a enzima melhora a qualidade de vida dos pacientes, mesmo os com comprometimentos.	
07/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, PARA ONDE CAMINHAMOS, SOU TOTALMENTE CONTRA POIS SE APROVADO SERIA DOS PIORES E MAIS CRUEIS PRECONCEITOS		
07/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Como profissional da saúde, sinto vergonha de saber desta absurda discriminação.		
07/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, sou totalmente contra, discriminação é crime		
07/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, como profissional da saúde Médico sou totalmente contra		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
07/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
07/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Sou médica e achei um total absurdo, discriminar este ou aquele.		
07/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Todos os portadores de mucopolissacaridose merecem receber tratamento para melhor qualidade de vida	
08/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
08/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
08/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Todos os pacientes com MPS II, independente de terem comprometimento neurológico, merecem receber o medicamento. Ele dá qualidade de vida para os pacientes e isso é um direito de todos!		
08/12/2017	Especialista no tema do protocolo	Muito boa	Não		
08/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
08/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Sim, Registrar a extrema importância deste infusão para a estabilidade clínica do paciente e redução das complicações sistêmicas que ocorrem e permitindo a socialização e oportunidade sobrevivência reduzindo intercorrências hospitalares		
08/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Ocorre que, da forma em que se encontra hoje a Consulta Pública, vários pacientes com essa enfermidade ficarão fora do tratamento. Como se trata de doença grave, crônica e de acúmulo, quando os pacientes têm seus diagnósticos, já manifestam muitas sequelas neurológicas, sendo estas um dos comprometimentos mais sérios desta patologia. Desta forma, não podemos deixar de fora os pacientes com quadro neurológico, pois estaremos fazendo uma discriminação a estas crianças, entregando-as à sua própria sorte.	Todos por força de lei devem ter o mesmo tratamento, ou seja, direito a vida. como podemos ver da lei do SUS ela prima pela equidade e não pela exclusão	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
08/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Ocorre que, da forma em que se encontra hoje a Consulta Pública, vários pacientes com essa enfermidade ficarão fora do tratamento. Como se trata de doença grave, crônica e de acúmulo, quando os pacientes têm seus diagnósticos, já manifestam muitas sequelas neurológicas, sendo estas um dos comprometimentos mais sérios desta patologia. Desta forma, não podemos deixar de fora os pacientes com quadro neurológico, pois estaremos fazendo uma discriminação a estas crianças, entregando-as à sua própria sorte.		
08/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Ocorre que, da forma em que se encontra hoje a Consulta Pública, vários pacientes com essa enfermidade ficarão fora do tratamento. Como se trata de doença grave, crônica e de acúmulo, quando os pacientes têm seus diagnósticos, já manifestam muitas sequelas neurológicas, sendo estas um dos comprometimentos mais sérios desta patologia. Desta forma, não podemos deixar de fora os pacientes com quadro neurológico, pois estaremos fazendo uma discriminação a estas crianças, entregando-as à sua própria sorte.		
08/12/2017	Interessado no tema	Muito boa	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
08/12/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Ruim	Sim, Como associação de paciente, sabemos da importância de um tratamento precoce, para assim diminuir o impacto da doença e o seu avanço . Restringir o tratamento para somente os acometidos de forma não neuropata, é o mesmo que determinar a morte de mais da metade dos pacientes em tratamento hoje. Sugiro a alteração deste critério para que os pacientes tenham direito ao tratamento, colocando como critério de exclusão, os pacientes que já não respondem ao tratamento, indivíduos acamados e cuja terapia, não traz mais benefício clínico, quando avaliado por um médico especialista.	Conforme relatado em artigo de um grupo de especialistas, coordenado pelo Dr Roberto Giugliani, pesquisador da UFRGS, traz a seguinte constatação, "A TRE intravenosa, bastante efetiva em algumas áreas (...) Diversos consensos internacionais de especialistas abordaram esse aspecto, e a opinião predominante e que os benefícios somáticos justificam não só o tratamento dos casos não neuropáticos, como também dos neuropáticos (com a possível exceção dos casos já em fase avançada). Essa conclusão leva em conta a melhoria na qualidade de vida do paciente (com menos internações, melhor padrão do sono, mais resistência, melhor estado geral), quer neuropata ou não neuropata, e também o fato de que a TRE não deve ser vista como um tratamento curativo, mas sim uma forma de terapia que permita ao paciente conviver com a sua condição com menos complicações e menos sequelas, algo considerado fundamental enquanto novos tratamentos o desenvolvidos."	
08/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Sim, Como mãe, sei da importância de um tratamento precoce, para assim diminuir o impacto e avanço da doença. Restringir o tratamento para somente os acometidos de forma não neuropata, é o mesmo que determinar a morte de mais da metade dos pacientes em tratamento hoje. Sugiro a alteração deste critério para que todos tenham direito ao tratamento.	Meu filho, assim como meu irmão eram pacientes MPS II neurológicos, e a medicação melhorou o fígado, baço, coração e a vias respiratórias. Proporcionando assim uma melhor qualidade de vida para ambos.	
08/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
08/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Como profissional da saúde e trabalhando diretamente com esses pacientes, acho de extrema importância o tratamento com idursulfase para a melhora e desenvolvimento desses pacientes ,muito difícil e sintomático ficar sem o medicamento.		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
08/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
08/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não		
09/12/2017	Paciente	Ruim	Sim, Eu como paciente, fico responsável de falar por mim e pelo meu Tio que também é paciente MPs2. Nós entendemos que há uma grande importância de quanto mais cedo começar as precauções para o tratamento melhor será no futuro a vida do tal paciente portado. Primeira mente graças a Deus e aos medicamentos temos algumas melhoras. Mas acreditamos se tivéssemos começado mais cedo. Talvez umas melhoras a mais. Por isso, como paciente pesso que reanalisasse essa demandas feitas. Não deixem acontece o pior primeiro pra depois querem mudar alguma coisa pra dizer que está com arrependimento. Se da pra melhor agora. Então que seja agora.	Não	
09/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
10/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
10/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não		
10/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
10/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Como mãe de uma criança acometida pela síndrome de Hunter, sabemos da importância do mesmo e se possível precoce, para assim diminuir o impacto da doença e o avanço da avassalador da mesma. Restringir o tratamento para somente os acometidos de forma não neuropata, é o mesmo que determinar a morte de 60% dos paciente em tratamento hoje. Sugiro a alteração deste critério para que os pacientes tenham direito ao tratamento, colocando como critério de exclusão, os pacientes que já não respondem ao tratamento, indivíduos acamados e cuja terapia, não traz mais benefício clínico. Outro detalhe a ser revisto, sendo um dos critérios de inclusão, pacientes até 12 meses, faz-se necessário então, a inclusão na Triagem Neonatal Expandida para Mucopolissacaridose visto que, em geral, salvo quando na família já consta um ente acometido, estas crianças somente são diagnosticadas, após os 24 meses de vida.	Sem elapraxe os pacientes acometidos pela síndrome na forma neurológica serem prejudicados chegando a obito antes do tempo diminui a estatística de vida dele. Elapraxe tras varios beneficios para vida desses pacientes melhora a qualidade de vida dele prologando asdim a seu tempo de vida .	
10/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Que tivesse mas medicação a disposição		
11/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Como cuidadora das pessoas acometidas pela Síndrome de Hunter, sabemos da importância do mesmo e se possível precoce, para assim diminuir o impacto da doença e o avanço da avassalador da mesma. Restringir o tratamento para somente os acometidos de forma não neuropata, é o mesmo que determinar a morte de 60% dos paciente em tratamento hoje. Sugiro a alteração deste critério para que os pacientes tenham direito ao tratamento, colocando como critério de exclusão, os pacientes que já não respondem ao tratamento, indivíduos acamados e cuja terapia, não traz mais benefício clínico. Outro detalhe a ser revisto, sendo um dos critérios de inclusão, pacientes até 12 meses, faz-se necessário então, a inclusão na Triagem Neonatal Expandida para Mucopolissacaridose visto que, em geral, salvo quando na família já consta um ente acometido, estas crianças somente são diagnosticadas, após os 24 meses de vida.	Analisando a proposta do pcdt os pacientes acometidos pela forma neurológica está condenado a morte sem por der usar a Elapraxe, que traz melhorias para a vida deles melhorar a respiração a pele impede qie a doença avance mais rapido com o uso da elapraxe eles tem uma vida mais prolongada, evitando atrofiamento dos órgão muscolos, ossos	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
11/12/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Regular	<p>Sim, Sabemos da importância do tratamento para as pessoas acometidas pela síndrome de Hunter e se possível precoce, para assim diminuir o impacto da doença e o avanço da avassalador da mesma. Restringir o tratamento para somente os acometidos de forma não neuropata, é o mesmo que determinar a morte de 60% dos paciente em tratamento hoje. Sugiro a alteração deste critério para que os pacientes tenham direito ao tratamento, colocando como critério de exclusão, os pacientes que já não respondem ao tratamento, indivíduos acamados e cuja terapia, não traz mais benefício clínico. Outro detalhe a ser revisto, sendo um dos critérios de inclusão, pacientes até 12 meses, faz-se necessário então, a inclusão na Triagem Neonatal Expandida para Mucopolissacaridose visto que, em geral, salvo quando na família já consta um ente acometido, estas crianças somente são diagnosticadas, após os 24 meses de vida.</p>	<p>Conforme relatado em artigo de um grupo de especialistas, coordenado pelo Dr Roberto Giugliani, pesquisador da UFRGS, traz a seguinte constatação, "A TRE intravenosa, bastante efetiva em algumas áreas (...)</p> <p>Diversos consensos internacionais de especialistas abordaram esse aspecto, e a opinião predominante e que os benefícios somáticos justificam não só o tratamento dos casos não neuropáticos, como também dos neuropáticos (com a possível exceção dos casos já em fase avançada). Essa conclusão leva em conta a melhoria na qualidade de vida do paciente (com menos internações, melhor padrão do sono, mais resistência, melhor estado geral), quer neuropata ou não neuropata, e também o fato de que a TRE não deve ser vista como um tratamento curativo, mas sim uma forma de terapia que permita ao paciente conviver com a sua condição com menos complicações e menos sequelas, algo considerado fundamental enquanto novos tratamentos são desenvolvidos."</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
11/12/2017	Interessado no tema	Regular	<p>Sim, Restringir o tratamento para somente os acometidos de forma não neuropata, é o mesmo que determinar a morte de 60% dos paciente em tratamento hoje. Sugiro a alteração deste critério para que os pacientes tenham direito ao tratamento, colocando como critério de exclusão, os pacientes que já não respondem ao tratamento, indivíduos acamados e cuja terapia, não traz mais benefício clínico. Outro detalhe a ser revisto, sendo um dos critérios de inclusão, pacientes até 12 meses, faz-se necessário então, a inclusão na Triagem Neonatal Expandida para Mucopolissacaridose visto que, em geral, salvo quando na família já consta um ente acometido, estas crianças somente são diagnosticadas, após os 24 meses de vida.</p>	<p>Conforme relatado em artigo de um grupo de especialistas, coordenado pelo Dr Roberto Giugliani, pesquisador da UFRGS, traz a seguinte constatação, "A TRE intravenosa, bastante efetiva em algumas áreas (...) Diversos consensos internacionais de especialistas abordaram esse aspecto, e a opinião predominante e que os benefícios somáticos justificam não só o tratamento dos casos não neuropáticos, como também dos neuropáticos (com a possível exceção dos casos já em fase avançada). Essa conclusão leva em conta a melhoria na qualidade de vida do paciente (com menos internações, melhor padrão do sono, mais resistência, melhor estado geral), quer neuropata ou não neuropata, e também o fato de que a TRE não deve ser vista como um tratamento curativo, mas sim uma forma de terapia que permita ao paciente conviver com a sua condição com menos complicações e menos sequelas, algo considerado fundamental enquanto novos tratamentos são desenvolvidos."</p>	
11/12/2017	Interessado no tema	Regular	<p>Sim, Sou jornalista da área da saúde e pude acompanhar de perto as dificuldades enfrentadas por pessoas com MPS tipo II. Sou a favor da proposta de PCDT, porém sugiro a reavaliação de alguns dos critérios de elegibilidade para início/continuidade da terapia de reposição enzimática com Indursulfase Alfa. O primeiro ponto é referente à exclusão dos portadores de MPS II com a forma neurológica da doença. Isso traria um impacto muito negativo, já que há um número elevado de pessoas nessas condições em tratamento atualmente. A sugestão é para que todos os pacientes tenham direito ao tratamento, salvo aqueles que não respondem mais à terapia ou que não compareceram ao número de consultas recomendado no documento (50%).</p>	<p>Uma possibilidade que traria redução de custos em médio/longo prazo seria a ampliação das doenças triadas pelo teste do pezinho. Caso fossem incorporados 53 exames, a triagem neonatal custaria por volta de US\$50 por pessoa (aproximadamente R\$165) – valor certamente menor do que os custos com hospitalização de pacientes com MPS II não diagnosticados precocemente.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
11/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, A inclusão de pacientes neurologicamente afetado ao tratamento, tendo em vista que a maioria dos pacientes com MPS II são afetado neurologicamente, não seria justo esses pacientes não terem os mesmos direitos dos outros.	Sim, meu filho é MPSII, é neurologicamente afetado, tem 19 anos e vive até hoje graças a Deus e a disponibilidade da enzima elapase.	
11/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Os pacientes com comprometimentos neurológicos não devem ser excluídos do tratamento.	Os pacientes com comprometimentos neurológicos não devem ser excluídos do tratamento.	
11/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Não concordo que os pacientes com comprometimento neurológicos sejam excluídos do tratamento	não	
11/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Os pacientes com comprometimento neurológico não devem ser excluído do tratamento.		
12/12/2017	Especialista no tema do protocolo	Muito boa	Não	temos 9 pacientes recebendo TRE	
12/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	Sim, O paciente com MPS2 em sua maioria tem regressão neurológica e se benéfica em vários aspectos com o tratamento de reposição enzimática, portanto não se deve excluir estes pacientes do acesso a medicação!	O diagnóstico geralmente ocorre após os 5 anos de vida, uma vez que se trata de uma doença genética rara.	Clique aqui
12/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Não concordo com a exclusão de tratamento de pacientes com comprometimento neurológico.		
12/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	Sim, O paciente com MPS2 em sua maioria tem regressão neurológica e se benéfica em vários aspectos com o tratamento de reposição enzimática, portanto não se deve excluir estes pacientes do acesso a medicação!	O diagnóstico geralmente ocorre após os 5 anos de vida, uma vez que se trata de uma doença genética rara.	Clique aqui
12/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Pq exclui os pacientes com complicação neurológica	
12/12/2017	Profissional de saúde	Regular	Não	Todos devem ter acesso ao tratamento, até a forma neurológica	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/12/2017	Profissional de saúde	Regular	Não	Mesmo sem o benefício da melhoria do sistema neurológico o ganho nas questões respiratória confirmam a grande importância do tratamento com Elaprase em qualquer quadro clínico.	
12/12/2017	Interessado no tema	Muito boa	Não		
12/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Inclusão dos pacientes com comprometimento neurológico no direito ao tratamento	Todos devem ter acesso e direito a tratamento e, se os pacientes com comprometimento neurológicos ficarem sem tratamento, teremos um número muito elevado de óbito desses pacientes, pelo qual está sendo negado o direito de lutar pela vida	
12/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Caso o medicamento seja incorporado no SUS, os pacientes com mais de 12 meses com cognitivo preservado e com o diagnóstico após esse período, não poderão se beneficiar do tratamento oferecido que faz toda a diferença na qualidade de vida. Ou seja, mediante a comprovação do diagnóstico de MPS II, os pacientes que não se enquadram nos critérios estabelecidos na consulta, ficarão sem o tratamento, uma vez que na grande maioria, os pacientes com diagnóstico de doenças raras, geralmente possui o diagnóstico tardio, m ou seja acima de 12 meses.		
12/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
12/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não		
12/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	Não		
12/12/2017	Interessado no tema	Muito boa	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Regressão neurológica, ou seja, perda dos marcos do desenvolvimento neuropsicomotor confirmada por avaliação formal com neurologista	A regressão neurológica faz parte do quadro clínico, coloca-la como critério de exclusão prejudicaria os pacientes com comprometimento neurológico. Poderia ser colocado de outro forma, como por exemplo: A regressão neurológica, não explicada por outra doença que não seja a MPS.	
12/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
12/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Nao	
12/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
12/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Sim, Não excluir a forma neuronopatica da TRE, pois os ganhos sistêmicos e até cognitivos são significativos.	De um modo geral é um documento bem abrangente e bem elaborado. Eu como otorrinolaringologista fiquei feliz pela inclusão da protetização auditiva para este grupo. Apenas a questão da exclusão dos pacientes de forma neuronopatica não me agrada.	
12/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não		
12/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não		
12/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
13/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
13/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
13/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
13/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
13/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
13/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	Sim, A grande maioria dos pacientes com MPS2 tem regressão neurológica, porém todos que fazem reposição enzimática se beneficiam em outros aspectos clínicos!	A incorporação deve ser para todos os pacientes diagnosticados com MPS2 sem restrição.	Clique aqui
13/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Todo o paciente diagnosticado precocemente deve ter direito a receber o tratamento até que se defina se tem ou não comprometimento neurocognitivo. Caso evolua com a forma não neuronopática deve continuar recebendo a terapia de reposição enzimática (TRE). Caso evolua com a forma neuronopática, o médico assistente deve conversar com a família/responsável explicando que o tratamento não tem efeito sobre a neurodegeneração e, em comum acordo, decidir sobre a manutenção ou suspensão da TRE.		Clique aqui
13/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Não	Essa proposta deixa muitos pacientes fora, acredito que todos devem ter direito ao tratamento.	
14/12/2017	Profissional de saúde	Regular	Sim, Concordo parcialmente com a proposta do Protocolo clínico e diretrizes terapêuticas de MPS tipo II	O benefício obtido pelos pacientes tratados com TRE de MPS tipo II é importante para melhorar a qualidade de vida dos pacientes e, mesmo sabendo da eficácia limitada, deve ser administrada aos portadores de MPS tipo II.	
14/12/2017	Profissional de saúde	Regular	Sim, Concordo parcialmente com a proposta do Protocolo clínico e diretrizes terapêuticas de MPS tipo II	O benefício obtido pelos pacientes tratados com TRE de MPS tipo II é importante para melhorar a qualidade de vida dos pacientes e, mesmo sabendo da eficácia limitada, deve ser administrada aos portadores de MPS tipo II.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/12/2017	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	Ruim	<p>Sim, Posicionamento acerca da recomendação preliminar da CONITEC A Shire considera RUIM a proposta do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas de Mucopolissacaridose tipo II (MPS II), publicada no Diário Oficial da União no dia 28 de Novembro de 2017 através da Consulta Pública nº 61 e vigente entre os dias 29/11 à 18/12/2017, em relação aos seguintes pontos: critérios de inclusão para início de TRE com Idursulfase alfa (4.1.), critérios de exclusão para início de TRE com Idursulfase alfa (4.2.) e tempo de tratamento / critérios de interrupção (6.4.).Discordância em relação aos critérios de inclusão e critérios de exclusão:A MPS II é uma doença multissistêmica onde as manifestações clínicas decorrem do acúmulo dos glicosaminoglicanos (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 variáveis1.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 terapia de reposição enzimática (TRE), uma vez que a TRE se associa com melhora da função respiratória, diminuição das internações hospitalares, melhora da mobilidade articular e da qualidade de vida2. 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</p>		Clique aqui

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>do benefício e resposta clínica e posterior decisão sobre a manutenção da TRE¹. 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 os pacientes apresentaram melhora em parâmetros clínicos avaliados (redução do volume hepático, diminuição do número de infecções hospitalares e melhora da mobilidade)³. Um painel de especialistas que trataram clinicamente um total de 66 pacientes com MPS II grave estabeleceu um consenso em relação à TRE em pacientes com comprometimento cognitivo⁴. Os pacientes apresentavam comprometimento cognitivo variável (perda de fala, alterações comportamentais e degeneração do desenvolvimento, ou seja, regressão neurológica) e idade entre 2 e 24 anos. Após pelo menos 1 ano de TRE os pacientes demonstraram melhora somática (redução das infecções respiratórias e volume do fígado, melhorias na mobilidade e na apneia do sono). As reduções observadas no volume do fígado (redução da hepatomegalia) foram clinicamente relevantes, pois puderam melhorar o conforto geral do paciente a partir de sintomas como dispnéia, saciedade precoce ou refluxo gastroesofágico. A maioria dos pacientes (61 de 66) continuou a terapia devido à melhora clínica. A conclusão desse painel de especialistas foi a de recomendar, com base nestes achados, o uso de TRE durante um período mínimo de 6 a 12 meses em pacientes com MPS II grave, mesmo que esses pacientes já tenham uma deficiência cognitiva evidente (regressão neurológica). Seriam excluídos da TRE apenas os pacientes com comprometimento neurológico grave (em estados vegetativos), aqueles alimentados com gastrostomia (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 prazo⁴. É importante mencionar que novas terapias estão em desenvolvimento (terapia gênica e terapia intratecal) e o</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>tratamento com Idursulfase favorece que os pacientes se mantenham clinicamente estáveis e possam ser elegíveis para as futuras terapias que poderão modificar a história natural da doença^{5,6}. Desta forma, a Shire solicita que mesmo os pacientes com MPS II e regressão neurológica sejam elegíveis ao tratamento com Idursulfase. O tratamento por um período de 6 a 12 meses seria recomendado como forma de avaliar possíveis benefícios em relação aos sintomas somáticos e conseqüentemente melhora na qualidade de vida. Após esse período, a terapia poderia ser rediscutida entre médico e familiar do paciente, de acordo com o benefício apresentado pelo paciente. Esta recomendação está em acordo com a recomendação latino americana e europeia de tratamento da MPS II^{1,2} e com um painel de especialistas em tratamento da MPS II⁴. Discordância em relação ao tempo de tratamento / critérios de interrupção 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 tratáveis². Já na recomendação latina americana para tratamento de MPS II¹, os critérios que determinam a suspensão do tratamento são: doença grave ou avançada que não responde à TRE, reações infusionais graves não tratáveis com pré-medicação, condições graves e ameaçadoras à vida, gravidez e lactação, doenças graves não relacionadas à MPS II (ex: neoplasias). Para pacientes com a forma grave da doença, se após 6 a 12 meses de TRE não se comprova benefício clínico, a continuação da terapia poderia ser discutida entre o médico e o familiar do paciente. Importante mencionar que a melhora da qualidade de vida é considerado um parâmetro de resposta clínica¹. Desta forma, a Shire solicita que o critério de regressão neurológica não seja utilizado isoladamente para definir a suspensão da TRE em pacientes com MPS II. Referências Bibliográficas¹. Giugliani R, Villarreal ML, Valdez CA, Hawilou AM, Guelbert N, et al. Guidelines for</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>diagnosis and treatment of Hunter Syndrome for clinicians in Latin America. Genet Mol Biol. 2014 37(2): 315-329.2. NSCAG, Vellodi A., Wraith J.E, Joseph E, Cleary M.A., et al. Guidelines for the investigation and management of mucopolysaccharidosis type II. <http://www.dh.gov.uk/en/Publicationsandstatistics/Publications/PublicationsPolicyAndGuidance/DH_073341> Acessado em Dezembro de 2017.3. Lampe C, Bosserhoff AK, Burton BK, Giugliani R, de Souza CF, Bittar C, Muschol N, Olson R, Mendelsohn NJ. Long-term experience with enzyme replacement therapy (ERT) in MPS II patients with a severe phenotype: an international case series. J Inherit Metab Dis 2014. 37:823–829 DOI 10.1007/s10545-014-9686-7.4. Muenzer J, Bodamer O, Burton BK, Clarke J, Frenking GS, et al. The role of enzyme replacement therapy in severe Hunter syndrome—an expert panel consensus. J Paediatr Child Health 2012. 171, 181-188.5. Motas S, Haurigot V, Garcia M, Marcó S, Ribera A, Roca C, et al. CNS-directed gene therapy for the treatment of neurologic and somatic mucopolysaccharidosis type II (Hunter syndrome). JCI Insight. 2016;1(9):e86696.6. Muenzer J, Hendriksz CJ, Fan Z, Vijayaraghavan S, Perry V, Santra S, et al. A phase I/II study of intrathecal idursulfase-IT in children with severe mucopolysaccharidosis II. Genet Med. 2016;18(1):73-81.</p>		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Uso em todos os pacientes		
15/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Que todos os pacientes tenham acesso à medicação.		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Tratamento para todos os pacientes com indicação clínica, independente de condição atual de saúde.	O médico é quem deve decidir quem pode se beneficiar com o tratamento, não um protocolo do governo.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Os pacientes com comprometimento neurológico precisam ter o direito de receber medicamentos que melhorem a sua qualidade de vida.		
15/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Não podemos descartar os pacientes com problemas neurológicos.		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Empresa	Muito boa	Não	Não.	
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Este tratamento deve ser possível para todos os portadores da doença.		
15/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Ruim	Sim, Como associação de paciente e mãe de um paciente em tratamento com 31 anos, sabemos da importância de um tratamento precoce, para assim diminuir o impacto da doença e o seu avanço . Restringir o tratamento para somente os acometidos de forma não neurológica, é o mesmo que determinar a morte de todos os pacientes de Minas Gerais em tratamento hoje, e eu como presidente e mãe não posso deixar aqui minha indignação com este critério. Sugiro a alteração deste critério para que todos os pacientes tenham direito ao tratamento, independente do seu quadro clínico atual.	Alem dos tratamentos com a TRE, solicito a inclusão pelo sistema SUS o direito do paciente de acompanhamento de equipe médica e materiais adequados na aplicação do medicamento.	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Sim, Como mãe de um paciente em tratamento com 31 anos, sabemos da importância de um tratamento precoce, para assim diminuir o impacto da doença e o seu avanço . Restringir o tratamento para somente os acometidos de forma não neurológica, é o mesmo que determinar a morte do meu filho em tratamento hoje, e eu como mãe não posso deixar de colocar aqui minha indignação com este critério. Sugiro a alteração deste critério para que todos os pacientes tenham direito ao tratamento, independente do seu quadro clínico atual.	Alem dos tratamentos com a TRE, solicito a inclusão pelo sistema SUS o direito do paciente de acompanhamento de equipe médica e materiais adequados na aplicação do medicamento.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Fornecimento para paciente com sintomas neurológicos		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
15/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Seria importante não ser restrita apenas a este públuco. Deve ser ampliada		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Dar acesso à medicação para todos os pacientes, independente da condição em que se encontra. O uso ou não deve ser uma decisão do paciente, família em acordo com os médicos que acompanham o paciente.		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, A medicação precisa ser liberada para todos os pacientes portadores de mucopolissacaridose tipo II		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não atende a necessidade de todos os pacientes.	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Que o tratamento deve ser para todos os pacientes, inclusive os afetados neurologicamente. A vida deles também importa!!		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Tem uma filha que foi diagnosticada com a tipo 3B, com 5aninhos em 2015. E até hoje Ela não tem um acompanhamento e eu não tenho quem me ajudar. Eu tenho que me virar pra levar ela em médicos particular, os quais não conhece por ser rara. São poucos que ouviu falar. Minha filha e portadora da tipo 3 b, e a cada dia que passa está se agravando. Preciso de orientação de ajuda para poder da uma qualidade de vida melhor para ela. Uma criança de 7 anos, que acaba vivendo isolada mesmo cercada de crianças, por ser inquieta e agressiva. Isso é muito triste, não ter ajuda de profissionais capacidade para lidar com essa mucopolisacaridose.	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, É injusto liberar a medição desta forma.	Todos devem ter acesso a medição, pois pode como já sabemos auxiliar em problems físicos e respiratórios	
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não	O tratamento deveria ser pra todos os níveis da doença, desde o início mais chances de melhoras na vida do paciente	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Tratamento liberado a TODOS que necessitam.	Tratamento a todos os.que precisam.	
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Que a medicação seja fornecida a todo e qualquer paciente portador da doença e deficiência MPS II independente de já estar com quadro neurológico afetado.		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Todos TODOS todos devem ter acesso ao medicamento.	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, O medicamento tem que ser para todos!!!!		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Que o medicamento fosse ampliado a todos que necessitem.		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Que a medicação seja distribuída para todos os pacientes c está doença,pois,melhora e muito sua qualidade de vida.	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, A proposta precisa ser para todos que precisam e não apenas uma parte dela		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Medicação deveria ser distribuída a todos os estágios das doenças		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito boa	Não		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Inclusão de pacientes com problemas neurológicos.		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Remédio liberado a todos os pacientes que necessitarem.		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, O medicamento não deveria ser restrito a pacientes sem comprometimento neurológico, já que pode melhorar a qualidade de vida de todos os portadores		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Que as medicações deveram ser disponibilizadoas para qualquer tipo de pessoa. Independente do grau de lesão neurológica		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não!	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	Sim, No ítem 4.1. CRITÉRIOS DE INCLUSÃO PARA INÍCIO DE TRE COM IDURSULFASE ALFA Para serem elegíveis para TRE com Idursulfase alfa, os pacientes devem: - apresentar confirmação do diagnóstico de MPS II de acordo com os critérios acima relacionados E não apresentar regressão neurológica. Muitas vezes o paciente chega para investigação com 4 anos ou mais, porque ainda não tinha sido feita a suspeita diagnóstica. Sendo assim, não acho correto colocar sem regressão neurológica, pois alguns pacientes ainda em idade de crescimento, podem se beneficiar do tratamento, mas com um pouco de regressão neurológica. E ainda no texto, quando fala: - apresentar confirmação do diagnóstico de MPS II de acordo com os critérios acima relacionados E ter sido diagnosticado em idade < 12 meses, uma vez que a magnitude dos benefícios do tratamento parece estar diretamente relacionada à idade de início do tratamento. Volto a repetir a maioria dos pacientes que chega para avaliação genética com suspeita de MPSII tem mais de 2 anos de idade.	Pacientes com mais de 10 anos com quadros leves, deveriam ter a possibilidade de tratar, pois muitas vezes a lesão cardíaca ainda não se manifestou, e o tratamento poderia melhorar a condição de vida desses pacientes. Além disso, muitos pacientes diagnosticados com mais de 10 anos, quando tratados, informam a melhora das dores articulares e a melhora na qualidade de vida.	
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Liberar para todos dos		
15/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	A medicação deveria ser fornecida para todos os pacientes, mesmo os com comprometimento neurológico pois melhora a qualidade de vida e sobrevida dos pacientes.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Gostaria de falar que todas as crianças portadoras desta síndrome tem o direito de receber o tratamento adequado que convém a cada uma. Pois é uma necessidade e não um capricho. Gostaria que se colocassem no lugar destes pais que estão aflitos pela melhora dos seus filhos.	
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Gostaria que o direito ao medicamento fosse estendido a todos os portadores.		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Incluir acesso a pacientes com comprometimento neurológico	Incluir acesso a pacientes com comprometimento neurológico	
15/12/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Muito ruim	Sim, A ABRAFF entende, que todos os pacientes com diagnóstico de MPSII se beneficiam da TRE(Terapia de Reposição Enzimática), pois além de proteger os órgãos alvos, proporciona uma maior qualidade de vida aos pacientes e familiares.Os critérios de inclusão propostos nesse PCDT, não refletem a realidade do nosso país, pois existe uma grande dificuldade em diagnóstico e tratamento das doenças raras, por falta de Centro de Referências e equipes multidisciplinar capacitadas.O fato de restringir a TRE para pacientes neurológicos, é um absurdo, estamos falando de uma doença genética e progressiva. Não se pode tratar apenas pacientes não neurológicos, e com diagnóstico até 12 meses, sendo que nem o teste do pezinho é possível oferecer para triagem das doenças raras.Essa PCDT impacta diretamente na vida destes pacientes, uma linha de corte que vai dizer quem vai viver ou morrer...	nao	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, A medicação tem que ser liberada para todos os portadores, independente do estágio da doença.		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Todos os pacientes,são pacientes e sofrem! Logo,todos merecem tratamento acessível.	Sim! São vidas. Não se deve decidir quem deve viver ou morrer.	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Manter o tratamento para todos inclusive os neurológicos		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Muita boa .maravilhosa.	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Restringir para os pacientes não neuropatas é determinar a morte de mais de 60% dos portadores de Mps 2. A terapia precoce é importante sim para diminuir os efeitos degenerativos da doença eu como familiar de Mps 2 que iniciou o tratamento logo cedo sei da importância que a terapia fez na vida do meu filho que hoje tem dez anos e está muito bem.	Restringir a terapia para pacientes de Mps dois com forma neuropata não me parece uma forma ética, pois se a criança com dois anos de idade já diagnosticada com tal forma da doença se negado a ela a terapia sua vida será certamente bem precoce e cheia de sofrimento cometidos pela patologia.	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Não	
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, A medicação deve ser liberada para TODOS os pacientes que possuem a doença, independente do quadro clínico		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito boa	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	É importante liberar o medicamento para todos os pacientes.	
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, não sou 100% favorável pois todos os pacientes tem direito e com a medicação tem melhoras no seu estado clínico	todos os pacientes independente da idade tem o mesmo direito ao tratamento de forma igual	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
15/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Liberar o medicamento para "todos" os pacientes com MPS II.Sem segregação por terem problemas neurológicos.	
15/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Tudo tem que ser para todos, somos todos uma unidade,se fosse um filho com doença neurológica dos autores dessa proposta ele não iria excluir, pois melhora significativamente a qualidade de vida desses pacientes	Vivemos num país muito rico, são valores insignificantes em comparação a corrupção e troca de favores que vemos constantemente para quererem excluir algum paciente	
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
16/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não pode se escolher a tratar apenas um grupo de portadores de MPS, baseados nos preceitos do SUS o atendimento deve ser IGUALITÁRIO e com EQUIDADE.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
16/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, O remédio deve ser distribuído para todos os tipos de pacientes		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Que os medicamentos possam ser liberados para todos os pacientes e não somente para aqueles com problemas neurológicos. Desta forma, todos podem viver mais e melhor.		
16/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Investir em medicamentos para doenças raras é investir na vida. Esse recurso é o auxílio a pessoas que veem na medicação uma forma de amenizar o sofrimento diante da luta diária. Quem estiver lendo imagine-se no lugar das famílias que não tiveram escolha diante da enfermidade, e o tratamento depende deste remédio ... a nossa voz pede piedade e compreensão. É injusto apenas alguns terem direito, a vida destes nossos anjos precisar seguir ... trata-se da motivação para seguir em frente diante de tantas adversidades. A gente luta pela sobrevivência ...	O auxílio financeiro para esta classe enferma da sociedade é fundamental, todos somos cidadãos, precisamos ter direitos iguais	
16/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Que o medicamento seja liberado pelo SUS para todos os pacientes que dele necessitam.		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Já passou da hora de pensar em todos os cidadãos na questão de saúde e educação.... E não apenas em alguns....	
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	muito importante a medicação para a saúde de Luiz Augusto Pietroski e outros pacientes que necessitam. Gratidão	
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Acho que TODOS tem direito ao medicamento independente de sua condição.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Só queria que se colocassem no lugar de familiares. É muito triste sermos roubadoa por noasos representantes, mas pior ainda é perceber o descaso com a vida dessas pessoas q sofrem pela doença, pelo preconceito e agora sao sentenciados a conviverem com suas dores sozinhos. Quem faz estas proposicoes ou nao conhece o problema ou nao tem coração. É muito triste a sensação de abandono e de insiferença. Que Deus perdoe!!!		
16/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Liberar para todos os pacientes não só os graves		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Incluir pacientes com sintomas neurológicos. Ou maior explicação do porque não inclui--los no uso da medicação.		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não devem discriminar.	
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Que seja disponibilizado a todos que necessitam		
16/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Interessado no tema	Muito boa	Não		
16/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Todos os pacientes com Mucopolissacaridose tipo II devem ter a medicação liberada, com ou sem comprometimento neurológico, pois o medicamento melhora muito a qualidade de vida de todos os pacientes, que vivem muito mais e melhor.		Clique aqui
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Não		
16/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
16/12/2017	Especialista no tema do protocolo	Boa	<p>Sim, PROponho que as seguintes alterações sejam incluídas no texto: No item 4.1:- alterar “ E não apresentar regressão neurológica” por “e não estar em situação terminal.- suprimir o texto “OU apresentar confirmação do diagnóstico de MPS II de acordo com os critérios acima relacionados E ter sido diagnosticado em idade < 12 meses, uma vez que a magnitude dos benefícios do tratamento parece estar diretamente relacionada à idade de início do tratamento [36–40]. No item 4.2:- suprimir o item "Regressão neurológica, ou seja, perda dos marcos do desenvolvimento neuropsicomotor confirmada por avaliação formal com neurologista"; No item 6.4:- suprimir o item 1As razões para estas propostas estão comentadas no texto incluído no item 8 deste formulário (a seguir)</p>	<p>Li atentamente o documento relativo ao PCDT para MPS II, assim como já tinha lido o PCDT para MPS I. É visível que ambos os documentos foram frutos de ampla revisão e de pesquisa minuciosa, sendo, na maioria das suas colocações, muito apropriados, razão pela qual cumprimento seus autores. No entanto, por estar envolvido com o estudo das mucopolissacaridoses desde 1972, me causou profunda estranheza a diferença de tratamento contida nos dois documentos em relação aos pacientes com as formas graves das duas condições. Enquanto o PCDT para MPS I prevê, de forma muito correta, o tratamento de todos os pacientes enquanto puderem ser esperados benefícios, mesmo que parciais, o PCDT para MPS II exclui os pacientes que apresentam regressão neurológica. Essa diferença não me parece correta, e representa uma falta de equidade entre dois grupos de pacientes extremamente semelhantes do ponto de vista bioquímico, fisiopatológico e clínico. Como está detalhado nos documentos, a MPS II resulta de uma mutação no gene IDS, que resulta na deficiência da enzima iduronato-2-sulfatase, que com isso deixa de remover um grupo sulfato na cadeia lateral dos glicosaminoglicanos, impedindo que a degradação dessas cadeias continue. Já a MPS I resulta de uma mutação no gene IDUA, que resulta na deficiência da enzima alfa-iduronidase, que com isso deixa de realizar uma hidrólise na mesma molécula, impedindo que o processo de degradação continue. As duas reações têm lugar na mesma parte da molécula e são sequenciais, de modo que qualquer uma delas que falhe a consequência será a mesma: acúmulo de dermatan-sulfato e de heparan-sulfato. O</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
				<p>artigo de Langereis et al (2015) mede com métodos muito precisos (espectrometria de massas in tandem) a quantidade específica de cada um dos glicosaminoglicanos nas duas condições, demonstrando que o acúmulo dessas moléculas, base para o processo fisiopatológico, é muito semelhante na MPS I e na MPS II. Ambas as condições têm um espectro de variabilidade clínica, com formas mais graves e formas mais atenuadas. Em ambas as condições, a regressão neurológica se instala nas formas graves de forma insidiosa, sendo muitas vezes difícil de prever nos primeiros anos de vida qual o curso que a doença irá tomar. Já há na MPS II trabalhos publicados indicando benefícios do tratamento específico mesmo para os pacientes que tem a forma grave, o que resulta em benefícios também para a família (melhora no padrão de sono, diminuição de hospitalizações, etc) (Lampe et al, 2014). Também me causou estranheza no PDCT para MPS II o fato do período de "incerteza" ser de apenas 12 meses, uma vez que a maioria dos pacientes com MPS ser diagnosticado bem mais tarde. Estudos de abrangência global (Wraith et al, 2008) apontam que o diagnóstico é realizado em média 2 anos após o início dos sintomas, ao redor dos 3,5 anos de idade. Num trabalho do nosso grupo, o único realizado no Brasil até agora, revisamos a história de 113 famílias com casos de MPS, tendo em nossos pacientes o diagnóstico sido feito em média 4,8 anos após o início dos sintomas (Vieira et al, 2008). Logo, o exíguo período de "tolerância" de 12 meses não se sustenta do ponto de vista clínico e apenas irá beneficiar pouquíssimos pacientes (possivelmente apenas os casos em que já há outro familiar afetado, nos quais a forma clínica pode ser</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
				<p>identificada de modo antecipado em função da história familiar, e que por isso não precisariam desse período de “tolerância). Assim, a minha proposta é que o documento seja alterado de modo a dar aos pacientes com a forma grave de MPS II o mesmo tratamento dado aos pacientes com a forma grave de MPS I, uma vez que não há uma base bioquímica, fisiopatológica ou clínica que justifique essa diferença. Por outro lado, existem evidências, tanto para MPS I quanto para MPS II, de que o tratamento específico das formas graves se acompanha de benefícios palpáveis para o paciente e para a família. A limitação do tratamento específico (critério de exclusão) poderia ficar aos pacientes nos quais o tratamento já não traz benefícios mensuráveis, que é o que ocorre nas fases mais avançadas da doença, quando já deixa de haver ganhos com o tratamento para o paciente e familiares em relação à qualidade de vida (isso já está previsto no PCDT para MPS I) Lembro que, ao contrário da MPS I, na qual estão bem demonstrados os benefícios do transplante de células hematopoiéticas para a forma grave, os pacientes com MPS II não contam outra alternativa de tratamento que não a terapia de reposição enzimática. A subtração dos afetados pela forma grave dessa oportunidade de tratamento os deixa órfãos de qualquer possibilidade de obter um benefício, mesmo que somático apenas e limitado no tempo, que traga redução de complicações e um pouco menos de sofrimento ao paciente e sua família. Finalizando, reitero que o já escrevi em algumas publicações, de que a terapia de reposição enzimática não deve ser encarada como a cura da MPS II mas sim como uma ponte que auxilia o paciente a cruzar um rio</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
				<p>turbulento e sobreviver nas melhores condições possíveis enquanto terapias inovadoras para os problemas não atendidos estão sendo desenvolvidas. Como disse a poetisa chilena Gabriela Mistral, “o futuro das crianças é hoje, amanhã será tarde”.Referências:Lampe C et al. Long-term experience with enzyme replacement therapy (ERT) in MPS II patients with a severe phenotype: an international case series. J Inherit Metab Dis 37:823–829, 2014.Langereis E et al. A multiplex assay for the diagnosis of mucopolysaccharidoses and mucopolipidoses. PLoS One 10(9): e0138622. doi:10.1371, 2015. (anexado a este formulário)Vieira T et al. Mucopolysaccharidoses in Brazil: what happens from birth to biochemical diagnosis? Am J Med Genet 146A: 1741-7, 2008. Wraith JE et al. Initial report from the Hunter Outcome Survey. Genet Med 10: 508-516, 2008.</p>	
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Todos somos seres humanos e merecemos medicamentos, independente de qualquer coisa.	Por favor vamos Brasil, investir e saúde e educação em primeiro lugar.	
16/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não		
16/12/2017	Interessado no tema	Boa	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Que a medicação seja para todos que necessitam. Uma vez que os resultados terapêuticos foram bons nos pacientes sem acometimento neurológico, porque também não ajudar os afetados neurologicamente?	Se saúde é direito de todos e dever do Estado, TODOS deveriam receber a medicação.	
16/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Liberar o medicamento somente para alguns pacientes é muito ruim, precisam liberar para todos.	
16/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
16/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Que todos com a doença sejam contemplados com o medicamento.		
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
17/12/2017	Paciente	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Que fosse para todos os pacientes, com comprometimento neurológico ou não.	Não	
17/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Incluir todos os medicamentos para o tratamento da doença,	Nao adianta salvar algumas vidas e perder outras, acho que deve ser liberado todos os medicamentos e nao so alguns.	
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Interessado no tema	Muito boa	Não		
17/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não		
17/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Todos os pacientes com a doença devem ter acesso ao medicamento.	Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
17/12/2017	Especialista no tema do protocolo	Regular	<p>Sim, Acredito que a TRE deva estar disponível para todos os pacientes com MPS II independente da idade do diagnóstico. Reforço aqui que o diagnóstico precoce antes do 12 meses somente acontece se tem história na família, sendo a maioria dos casos o diagnóstico mais tardio. Como a forma neurológica é a mais frequente considero que esse pacientes devem ter acesso a TRE mas com critérios que devem ser estabelecidos e orientados as famílias. Também sugiro que deva ser iniciada a TRE ainda que com quadro neurológico presente mas com reavaliações mais frequentes dos exames. Somente deverão ser excluídos e cada caso deve ser avaliado individualmente os casos que não responderem clinicamente e laboratorialmente a TRE; os casos que estiverem com doença neurológica muito avançada como por exemplo acamados e com provável evolução desfavorável nos próximos 6 meses a 1 ano de prognóstico de vida; casos que não respondem a TRE ou baixa adesão. Dessa maneira sugiro reformular os critérios de inclusão ao baixo Para serem elegíveis para TRE com Idursulfase alfa, os pacientes devem:- apresentar confirmação do diagnóstico de MPS II de acordo com os critérios acima relacionados E não apresentar regressão neurológica; OU- apresentar confirmação do diagnóstico de MPS II de acordo com os critérios acima relacionados E ter sido diagnosticado em idade < 12 meses, uma vez que a magnitude dos benefícios E dos critérios de exclusão sugiro rever esse abaixo- Regressão neurológica, ou seja, perda dos marcos do desenvolvimento neuropsicomotor confirmada por avaliação formal com neurologista;</p>	Reforço a necessidade de ter protocolos como esse para facilitar o acesso aos medicamentos de alto custo e parabenizo a iniciativa de incluir o medicamento para doenças genéticas	
17/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
17/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Fornecimento Medicação pelo SUS a TODOS os portadores de Mucopolissacaridose independe de comprometimento neurológico ou não. A medicação melhora mto a qualidade De vida dos portadores.		
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Que o tratamento fosse acessível a todos os pacientes com MPS, sem restrições.		
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	É uma injustiça, pois pacientes mesmo com comprometimento neurológico podem ter melhora em sua qualidade de vida	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
17/12/2017	Profissional de saúde	Regular	<p>Sim, Gostaria de falar sobre o critério de inclusão, se for somente criança com menos de 12 meses, será muito restritivo, pois nem sempre é feito o diagnóstico com 12 meses, na maioria das vezes com idade superior a 12 meses, e assim a criança com idade superior será deixada de lado. Como diz o Dr Roberto Giugliani há diversos consensos internacionais de especialistas abordaram esse aspecto, e a opinião predominante é que os benefícios somáticos justificam não só o tratamento dos casos não-neuronopáticos como também dos neuronopáticos (com a possível exceção dos casos neuronopáticos já em fase avançada). Essa conclusão leva em conta a melhora na qualidade de vida do paciente (menos internações, melhor padrão de sono, mais resistência, melhor estado geral), quer neuronopata ou não-neuronopata, e também o fato de que a TRE não deve ser vista como um tratamento curativo, mas sim uma forma de terapia que permite ao paciente conviver com a sua condição com menos complicações e menos sequelas, algo considerado fundamental enquanto novos tratamentos são desenvolvidos. Já estão em ensaios clínicos diversas novas alternativas terapêuticas, especialmente para os aspectos neurológicos da MPS II: terapia de reposição enzimática intratecal (possivelmente disponível já em 2019), terapia de reposição enzimática intracerebroventricular, terapia de reposição enzimática intravenosa com proteínas de fusão que ultrapassam a barreira sangue-cérebro, terapia de redução de substrato, terapia para melhoria da tradução do RNA. Adicionalmente, outras terapias estão em estágio pré-clínico e logo devem ser testadas em pacientes, como a terapia de transferência gênica e a terapia de edição gênica. Dessa forma, tem sido proposto iniciar e manter a TRE mesmo nos casos de MPS II que apresentam forma neuronopática, com o objetivo de proporcionar melhores condições clínicas ao paciente, permitindo a ele e a sua família uma melhor qualidade de vida, e mantendo a esperança de que o indivíduo afetado por MPS II possa estar apto a receber uma das novas terapias direcionadas para sua</p>	<p>Gostaria de falar sobre outra possibilidade de tratamento médico como o Transplante de medula óssea, pois sabemos que são realizados em outros países, e inclusive que já foi realizado aqui no Brasil, com sucesso, e este tratamento é a cura definitiva para o paciente. Como no artigo N.S. Majhail et al/ Biol Blood Marrow Transplant xxx (2015)</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			afecção neurológica assim que elas estiverem disponíveis. referencia Muenzer J, Bodamer O, Burton B, Clarke L, Frenking GS, Giugliani R, Jones S, Muñoz-Rojas MV, Scarpa M, Beck M, Harmatz P. The role of enzymereplacement therapy in severe Hunter syndrome – an expert panel consensus. Eur J Pediatr 2012; 171: 181-188. Giugliani R, Federhen A, Vairo F, Vanzella C, Pasqualim G, da Silva LM, Giugliani L, de Boer AP, de Souza CF, Baldo G. Emerging Drugs for the treatment of mucopolysaccharidoses. Expert Opin Emerg Drugs 2016; 21: 9-26. Lampe C, Bosserhoff A-K, Burton BK, Giugliani R, SouzaCF, Bittar C, Muschol N, Olson R, Mendelsohn N. Long-term experienced with enzyme replacement therapy (ERT) in MPS II patients with a severe phenotype: an international case series. J Inherit MetabDis 2014; 37: 823-829.		
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Porque não fornecer o medicamento a TODOS? Como fica a isonomia, a igualdade???	
17/12/2017	Interessado no tema	Muito boa	Não		
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Que o medicamento fosse disponibilizado a todos os pacientes .		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
17/12/2017	Profissional de saúde	Boa	<p>Sim, O período do início da regressão neurológica até a evolução para o quadro clínico de gravidade maior pode ser longo. A manutenção da reposição enzimática em estágios iniciais da regressão neurológica e sua continuidade até que o quadro evolua para estágio de maior gravidade, pode resultar em melhor funcionamento dos sistemas orgânicos e com isso, o paciente ter mais saúde e qualidade de vida.No meu ponto de vista, apresentar regressão neurológica não seria o bastante para suspender a reposição enzimática. Ex.: o paciente começa a apresentar diminuição de força em membros inferiores e é diagnosticada compressão medular. Fazendo a correção cirúrgica com bom resultado, o paciente pode restabelecer a função e deambular por mais algum tempo (que seria imprevisível). A não interrupção da reposição enzimática será adequada em manter a estabilização da doença em alguns aspectos.Seria contra-indicação a regressão neurológica grave, ou seja, se o paciente estiver em estágio muito avançado da doença, naturalmente não teria indicação de fazer reposição enzimática. Nem toda regressão neurológica seria contra-indicação para início da reposição enzimática.Mantenho opinião em não limitar a <12meses como condição de início da reposição enzimática.</p>	Ausência de benefício clínico.Muitas vezes a estabilização da doença é um benefício clínico, que não está indicado nas opções fornecidas.	Clique aqui
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
17/12/2017	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
18/12/2017	Especialista no tema do protocolo	Boa	Sim, Recomendo que a data de início do tratamento, para o tipo neurológico, seja elevada até 24 meses de vida, uma vez não haver muitas evidências na literatura quanto a mudanças significativas quanto a não eficácia nesse intervalo, e podendo excluir pacientes ainda em idade muito precoce, dentro de uma razoável janela terapêutica.	Sim, quanto a importancia do diagnóstico precoce e atendimento multidisciplinar essenciais para o cuidado integral do paciente com MPSII.	Clique aqui
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	E muito importante o estado se responsabilizar pelo pleno tratamento de doenças genéticas.	
18/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	E muito importante o estado se responsabilizar pelo pleno tratamento de doenças genéticas.	
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	E muito importante o estado se responsabilizar pelo pleno tratamento de doenças genéticas.	
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	E muito importante o estado se responsabilizar pelo pleno tratamento de doenças genéticas.	
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	E muito importante o estado se responsabilizar pelo pleno tratamento de doenças genéticas.	
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	E muito importante o estado se responsabilizar pelo pleno tratamento de doenças genéticas.	
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	E muito importante o estado se responsabilizar pelo pleno tratamento de doenças genéticas.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	E muito importante o estado se responsabilizar pelo pleno tratamento de doenças genéticas.	
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	E muito importante o estado se responsabilizar pelo pleno tratamento de doenças genéticas.	
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	E muito importante o estado se responsabilizar pelo pleno tratamento de doenças genéticas.	
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	E muito importante o estado se responsabilizar pelo pleno tratamento de doenças genéticas.	
18/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não		
18/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		Clique aqui
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	É de grande importância a adesão ao medicamento a lista do sus	
18/12/2017	Especialista no tema do protocolo	Regular	Sim, O tratamento baseado na TRE deve ser instituído se possível precocemente, para diminuir o impacto desse distúrbio. A restrição do tratamento para os acometidos de forma não neuropata da MPS II pode acelerar o óbito de muitos pacientes. Seria interessante discutir este critério, assegurando a continuidade do tratamento para esta forma de MPSII.		
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Socorro urgente tem crianças morrendo	Crianças morrendo por falta de assistência falta dos remédios gente pelo amor de Deus tenha misericórdia desses anjos eles sofrem muito e nós sofremos muito em ver nossos anjos morrendo cada dia Socorro pelas as crianças especiais MPS eu perdi uma filha	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
18/12/2017	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Permitir a medicação a todos os pacientes com Hunter inclusive aos com regressão neurológica pois é sabido os benefícios da medicação para esses pacientes		
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Sim, não é justo que apenas os pacientes sem comprometimento sejam beneficiados pois a enzima melhora a qualidade de vida de todos.		
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, O mesicamento deveria ser fornecido para todos os portadores		
18/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Não	Vejo a melhora considerável na incidência de infecções respiratória e na melhora da qualidade de vida dos pacientes acometidos.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
18/12/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Ruim	<p>Sim, SOBRE OS CRITÉRIOS DE INCLUSÃO/EXCLUSÃO PARA INÍCIO DE TRE COM IDURSULFASE ALFA. Como associação de pacientes, acreditamos que o critério de exclusão de pacientes, no tratamento com TRE, com diagnósticos depois dos 12 meses não está em acordo com a realidade da saúde no Brasil. A falta de profissionais em localidades distantes dos centros urbanos, a escassez de informações sobre a doença e a ausência e não disponibilização oportuna de exames específicos, na imensa maioria dos casos, atrasam e impossibilitam o diagnósticos antes do primeiro ano de vida, o que excluiria muitos pacientes que demoram anos para conseguir um diagnóstico fechado. Também não concordamos com a exclusão de pacientes com comprometimentos neurológicos, pois como bem apresenta esta proposta de PCDT, a TRE também proporciona maior qualidade de vida aos pacientes em outros aspectos, como a melhoria no sistema cardíaco, respiratório e demais, promovendo dignidade, uma vida com menos intercorrências, desconforto, sofrimento, internações, possibilitando assim que o paciente possa ter uma melhor integração social, com uma expectativa de vida maior e melhor, podendo ter chance de lutar pela futura cura de sua patologia. Portanto a nossa sugestão seria alteração dos critérios de inclusão na TRE para pacientes também diagnosticados após 12 meses de idade e para aqueles com comprometimento neurológico.</p>	<p>Caso este PCDT seja aprovado tal como está, muitos pacientes serão impossibilitados de manterem ou iniciarem seu tratamento, podendo inclusive, resultar em danos irreversíveis a saúde destes pacientes e ainda a morte precoce dos mesmos.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
18/12/2017	Especialista no tema do protocolo	Boa	<p>Sim, 1- COM RELAÇÃO AOS CRITERIOS DE INCLUSÃO (ITEM 4):ACREDITO QUE SERIA MAIS CORRETO COLOCAR COMO CONFIRMAÇÃO DE DIAGNÓSTICO ATIVIDADE DA ENZIMA IDS E ATIVIDADE NORMAL DE PELO MENOS OUTRA SULFATASE. ENTRETANTO POR VEZES ALGUNS PACIENTES NÃO TEM NIVEIS DE GAGS AUMENTADOS, O QUE NÃO EXCLUI O DIAGNÓSTICO.2- COM RELAÇÃO AO ITEM 4.1, E 4.2, ACREDITO QUE NÃO DEVERÍAMOS EXCLUIR OS PACIENTES QUE TEM ALGUMA REGRESSÃO NEUROLÓGICA, PRINCIPALMENTE NO INICIO DA REGRESSÃO,POIS ESTES PACIENTES APRESENTAM BENEFÍCIOS INDIRETOS DA TRE, COMO:A- MELHORA DA APNEIA DO SONO (ALGUNS PACIENTES COM A MELHORA DO SONO, TAMBÉM MELHORAM DA CEFALÉIA, CRISES EPILÉPTICAS, E AGITAÇÃO PSICOMOTORA, INDIRETAMENTE)B-APRESENTAM MELHORA INDIRETA DE FUNÇÃO COGNITIVA, APESAR DA ENZIMA NÃO ULTRAPASSAR A BARREIRA HEMATO ENCEFALICA.C- DIMINUIÇÃO DAS IVAS, E CONSEQUENTEMENTA DAS INTERNAÇÕES.ENTRETANTO, EM CASOS ONDE O QUADRO NEUROLOGICO ESTÁ MUITO GRAVE, DEVE SER DISCUTIDO SOBRE OS BENEFICIOS OU NÃO DE TRE. EM ALGUNS CASOS, REALMENTE NÃO É INDICADO.3. COM RELAÇÃO AO ITEM 3.1, SUSPEITA CLÍNICA, NÃO DEVERIAMOS SUSPEITAR APENAS NO SEXO MASCULINO, APESAR DA HERANÇA SER LIGADA AO X, POIS APESAR DE SER MUITO RARO, MAS NÃO É IMPOSSIVEL QUE AS MULHERES PORTADORAS TENHAM QUADRO CLÍNICO.4- NO ITEM 5.1.1.3 NA PARTE DE TRATAMENTO NEUROLÓGICOCOM RELAÇÃOAS CRISES EPILÉPTICAS, ESTAS DEVEM SER ABORDADAS COM RELAÇÃO A CLASSIFICAÇÃO DAS CRISES, SE FOCALIS OU GENERALIZADAS, TAMBÉM COM AUXÍLIO DO ELETROENCEFALOGRAMA, MAS NÃO PODEMOS INDICAR DIRETAMENTE TRATAMENTO PARA CRISE GENERALIZADA TONICO- CLONICA,5. A RM DE CRANIO E COLUNA TOTAL NECESSITA SER REALIZADA A CADA 2 ANOS, PARA ACOMPANHAMENTO DAS COMPLICAÇÕES NEUROLOGICAS.</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
18/12/2017	Interessado no tema	Muito boa	Sim, gostaria de incluir os pacientes com neurológico afetado por que o medicamento atende varias necessidades do paciente como parte cardíaca e respiratória , figado diminui o basço diminui que muito importante para os pacientes portadores MPSII	gostaria que chamados os médicos geneticista para serem ouvidos de cada estado	
18/12/2017	Profissional de saúde	Regular	Sim, Acredito que, caso a caso, sob analise nedica, o medicamento deveria ser ofetecido tambem a quem tem a forma neuropatica, pois negar a droga a 2/3 dos pacientes é tirar da maioria a chance de estar clinicamente estavel para o nomento em que uma droga mais eficaz oara a forma neuropatica chegue ao mercado.		
18/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
18/12/2017	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não importa se a MPS II apresenta co.prometimento.neurológico, pois tendo conhecimento de muitos pacientes e contato om medicos e familiares, sabe-se que existe uma melhora acentuada nas condições gerais dos portadores ; relacionadas com hepato e esplenomegalia; melhoria na parte pulmonar, enfim a qualidades de vida do paciente e da família sempre tem muita coisa positiva.	
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
18/12/2017	Profissional de saúde	Boa	<p>Sim, Nos critérios de inclusão, sugiro modificar o texto atual "(...) Atividade da enzima IDS < 10% do limite inferior dos valores de referência em plasma, leucócitos ou fibroblastos, E (...)", e incluir a atividade enzimática diminuída em amostra de papel filtro, que tem sido uma técnica amplamente utilizada. Para outras MPS é aceito como diagnóstico bioquímico a deficiência enzimática em duas amostras de sangue coletadas papel filtro em tempos diferentes (Referência: Wood T, Bodamer OA, Burin MG, D`Almeida V, Fietz M, Giugliani R, Hawley SM, Hendriksz CJ, Hwu WL, Ketteridge D, Lukacs Z, Mendelsohn NJ, Miller N, Pasquali M, Schenone A, Schoonderwoerd K, Winchester B, Harmatz P. Expert recommendations for the laboratory diagnosis of MPS VI. Mol Genet Metab. 2012 May;106(1):73-82.).Na parte de critérios de inclusão para tratamento com TRE, sugiro modificar a parte "(...) E não apresentar regressão neurológica; (...)" para "(...) e não ter quadro de deterioração neurológica grave". Segundo Muenzer e cols (Referência: Muenzer J, Bodamer O, Burton B, Clarke L, Frenking GS, Giugliani R, Jones S,Rojas MV, Scarpa M, Beck M, Harmatz P. The role of enzyme replacement therapy in severe Hunter syndrome-an expert panel consensus. Eur J Pediatr. 2012 Jan;171(1):181-8.), mesmo os pacientes com quadro neurológico grave têm benefícios no quadro somático quando iniciam a TRE,</p>		
18/12/2017	Interessado no tema	Regular	<p>Sim, Que todos os pacientes com mucopolissacaridose tipo dois deveriam ter direito ao tratamento, tendo em vista que esta é a única forma de melhorar a qualidade de vida dos mesmos.</p>	<p>Que mesmo não ultrapassando a barreira do cérebro a enzima melhora outros sintomas, permitindo uma qualidade de vida melhor aos pacientes.Não é justo que apenas acidentes menores de 12 meses e sem comprometimento neurológico sejam contemplados.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
18/12/2017	Grupos/associação/organização de pacientes	Ruim	Sim, Que todos os pacientes com mucopolissacaridose tipo dois deveriam ter direito ao tratamento, tendo em vista que esta é a única forma de melhorar a qualidade de vida dos mesmos.	Que mesmo não ultrapassando a barreira do cérebro a enzima melhora outros sintomas, permitindo uma qualidade de vida melhor aos pacientes. Não é justo que apenas acidentes menores de 12 meses e sem comprometimento neurológico sejam contemplados	
18/12/2017	Profissional de saúde	Boa	Sim, Incluir nas indicações de tratamento pacientes com sinais neurológicos leves. Também q possibilidade de transplante de medula óssea.		
18/12/2017	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
18/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, A proposta deveria incluir também as pessoas portadoras da mucopolissacaridose que também possui algum comprometimento neurologico	Crianças com comprometimento neurológicos também devem ter o direito a medicação.	
18/12/2017	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, A proposta deveria incluir também as pessoas portadoras da mucopolissacaridose que também possui algum comprometimento neurologico	Crianças com comprometimento neurológicos também devem ter o direito a medicação.	