

## Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Agalsidase alfa e beta para Doença de Fabry - CONITEC

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/03/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/03/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Comparado à outra enzima disponível, O replagal apresenta menor custo aos cofres públicos e maior aderência dos pacientes devido ao menor tempo de infusão e possibilidade de infusão domiciliar.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Comparado à outra enzima disponível, O replagal apresenta menor custo aos cofres públicos e maior aderência dos pacientes devido ao menor tempo de infusão e possibilidade de infusão domiciliar.</p>	
27/03/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A eficácia da alfa-galsidase e beta-galsidase está amplamente provada e documentada em inúmeros estudos clínicos, como o Fabry Outcome Survey (FOS), além de a TRE ser utilizada, com resultados comprovados, em vários países da Europa e Canadá.</p> <p>2ª - Sim, Minha experiência com Doença de Fabry se iniciou em 2012 no município de Carambeí, PR, inicialmente com 4 casos. Atualmente temos 23 casos diagnosticados, sendo 16 em TRE. Nesses 16 pacientes que se encontram em TRE a melhora foi evidente, principalmente em relação aos quadros de dor. Melhora da dor, interrupção de dano renal significam, no meu entender, aumento da sobrevida e, principalmente, melhora da qualidade de vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Como profissional de saúde, me limito a diagnosticar e tratar os pacientes da melhor maneira possível ao meu alcance. Pela análise do relatório observa-se que o impacto orçamentário não é pequeno. No entanto, por esse mesmo relatório, o custo do medicamento no Brasil é bem menor que em outros países. Todos os pacientes merecem tratamento, independente do impacto orçamentário.</p> <p>5ª - Sim, Penso que a recomendação preliminar se baseou unicamente no impacto orçamentário, não levando em conta as evidências clínicas.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/03/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Essas medicações melhoram a qualidade de vida dia pctes, bem como a sobrevisse de alguns grupos tratados com terapia de reposição enzimática.,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/03/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/03/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação indispensável a manutenção da vida e da qualidade de vida dos pacientes portadores da doença de fabry.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/03/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/03/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Sistema Unico de Saúde é direito de todos e dever do Estado/União/Município. O paciente não pode ter seu direito violado por ter uma doença rara, sendo assim excluído por ter uma incidência pequena. Quanto a pouco conhecimento quanto a indicação e tratamento, assim que incorporado na saúde publica certamente essas doenças serão incorporadas na grade curricular de cursos de saúde e termos mais conhecimentos, estudos científicos. Entendo que ha uma oneração do orçamento, porém se somarmos a quantidade de consultas em especialistas que esses usuários passam ate ter um diagnostico fechado, uso de medicamentos ineficazes principalmente para algias, internações constantes, incapacidades , e muitos destes acabam em dialises, tratamento este bem oneroso para o sistema e principalmente para o usuário.</p> <p>2ª - Sim, Trabalhamos a três anos com 18 pacientes de Fabry com reposição enzimática com alfa-algalsidase. Faixa etária variando entre 12 a 76 anos. E o que observamos é uma melhora na qualidade de vida desses pacientes. Melhorara considerável das dores, o que para muitos os impediam de realizar seu labor. Melhora na anidrose, voltando assim a tolerar o esforço físico, crianças voltando a brincar, adolescentes voltando a participar da educação física. Pacientes com queixas frequentes de perdas transitórias de memoria com melhoras considerável. Além e o mais importante a importância da prevenção do acometimento de órgãos alvos e de estudos comprovados da sobrevida desses pacientes em até 17 anos.</p> <p>3ª - Sim, Como relatei anteriormente entendo o grande orçamento para tal inserção, porém o não tratamento desse usuário traz ao sistema publico gasto assombrosos quanto a consultas, medicamentos de base, exames, possível dialise, cateter, Stent cardíaco, e a própria incapacidade desse usuário levando a um beneficio permanente.</p> <p>4ª - Sim, Idem ao anterior, acrescentando apenas que a vida de cada usuário é de um valor imensurável.</p> <p>5ª - Sim, Nos que trabalhamos com esses pacientes presenciamos a cada dia o sofrimento dos mesmos em conseguir um diagnostico fechado, em média 20 anos, em conseguir junto ao MS através de judicialização a medicação, em média 12 meses e os benefícios de seu tratamento em média 02 a 03 meses (melhora de algias, anidrose), elevando assim a qualidade de suas vidas, e a esperança de sua sobrevida. A maioria desses pacientes tem em seus relatos perdas precoce de familiares que ate então desconheciam o diagnostico de Fabry e faleceram com problemas cardíacos.</p>	
27/03/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação ten eficácia comprovadamente no tratamento e poderá impedir a evolução p DRC</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/03/2018	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
27/03/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Já foi comprovado o custo benefício do tratamento, podendo atender 7x mais o público alvo. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
27/03/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. a medicação através de estudo científico comprovado demonstrou menor declínio da função renal progressão da doença cardíaca não havendo motivo para a sua não incorporação visto que é a única alternativa terapêutica para essa doença tão grave 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
27/03/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. DEVIDO A LITERATURA E PARTICIPAÇÃO EM SIMPÓSIOS E CONGRESSOS, SOU FAVORÁVEL A INCORPORAÇÃO DE AMBAS AS DROGAS DEVIDO A EFICÁCIA COMPROVADA EM ESTUDOS. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/03/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes padecem desta patologia , com a enzima podem ter uma melhor qualidade e quantidade de vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/03/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As diretrizes e protocolos permitirão o uso adequado da terapia de reposição enzimática, minimizando o impacto orçamentário. Não foi calculado o impacto orçamentário dos pacientes com Doença de Fabry que estão licenciados pelo INSS por comprometimento cardíaco, neurológico e renal. Além dos gastos previdenciários destaca-se o alto custo das terapias de suporte como no caso da nefropatia grave com necessidade de hemodiálise (HD) para toda a vida. Com uma opção de tratamento à HD temos o transplante renal, que melhora a qualidade de vida para o paciente, porém é igualmente dispendioso.Vale ressaltar que nos casos de comprometimento renal leve os resultados da terapia de reposição foram mais satisfatórios, como descrito no próprio parecer técnico. "Ao serem realizadas análises por subgrupo comparando-se aqueles com doença renal leve, moderada e grave, a magnitude do efeito foi maior nos pacientes com doença renal leve, sugerindo que a TRE possa ser benéfica a pacientes com disfunção inicial"..Banikazemi M, Bultas J, Waldek S, Wilcox WR, Whitley CB, McDonald M et al. Agalsidase- BetaTherapy for Advanced Fabry Disease- A Randomized Trial. Ann Intern Med. 2007; 146:77-86.Atualmente o tratamento é obtido através de medidas judiciais, ou seja, onerando ainda mais todo o sistema e retardando o uso da medicação em vários casos, conseqüentemente perdendo o melhor momento de atuação da reposição da enzima.</p> <p>2ª - Sim, Zarate et al, Lancet 2008; 372: 1427–1435CNS, central nervous system; GI, gastrointestinal. Germain DP. Orphanet J Rare Dis. 2010;22:5–30.Terryn W et al. Nephrol Dial Transplant 2013;28:505–517.Mehta A, et al. Eur J Clin Invest. 2004;34:236–42; Mehta A, et al.. Acta Paediatr. 2005;94:24–7Ortiz A et al. Nephrol Dial Transplant. 2010;25:769–775Prabakaran T, Nephrol Dial Transplant. 2014; 29(3):619-25Estes artigos sugerem a terapia precoce e eficaz</p> <p>3ª - Sim, O impacto orçamentário da terapia deve ser comparado ao impacto orçamentário do tratamento de suporte das patologias secundárias ao depósito de GB3 no endotélio vascular e tecidos viscerais. Quais são os custos para manter pacientes com Doença de Fabry vítimas de acidentes vasculares cerebrais, infarto do miocárdio, insuficiência renal crônica grave em tratamento conservador, em diálise e transplantados?</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/03/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
27/03/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
27/03/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
28/03/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O tratamento da doença de Fabry muda o curso da doença natural e é inadmissível não dispormos de terapia. Inclusive tem impacto na progressão da doença, diminuição de internamento hospitalar e, conseqüentemente custo. 2ª - Sim, Tenho em torno de 30 pacientes portadores da doença de Fabry. A doença é progressiva e fatal. 3ª - Sim, Pessoas tornam-se improdutivas e com mais internamentos. Isto acarreta custo. 4ª - Não 5ª - Não	
28/03/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Alfagalsidase ( Replagal) no SUS é a enzima que vai causar menor impacto financeiro comparado a Beta- algasidase após 5 anos de incorporação. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/03/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sobram evidências científicas atuais favoráveis aos benefícios do uso da terapia de reposição enzimática para pacientes com doença de Fabry em relação aos diferentes comprometimentos sistêmicos e neurológicos relacionados à doença. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/03/2018	Paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/03/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Sim, Uma vida não tem preço 4ª - Não 5ª - Não	
29/03/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Sim, Uma vida não tem preço 4ª - Não 5ª - Não	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>Descrição da contribuição</b>	<b>Referência</b>
01/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A terapia de Reposição Enzimática é a melhor escolha para os portadores de Doença de Fabry ,melhora a qualidade de vida dos pacientes e retarda o aparecimento dos sintomas e sequelas da doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, O Replagal no SUS é a enzima que vai causar menos impacto financeiro ,comparado a Beta - algasidose após 5 anos de incorporação.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Os pacientes que entram em terapia logo que identificará a patologia relatam melhora do quadro da doença,bem como satisfação em realizar o tratamento .</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou membro do COMDORA (Comitê de Doenças Raras da Sociedade Brasileira de Nefrologia), nefrologista e professor da Faculdade de Medicina de Ribeirão Preto da Universidade de São Paulo, e tenho contato diário com pacientes portadores de Doença de Fabry. Dessa maneira posso colocar minha opinião, que é a mesma de todos os outros membros do COMDORA, e assim transcrevo a carta feita por este comitê, que eu reforço: &amp;#8203; A Doença de Fabry é uma doença genética causada pela deficiência da enzima &amp;#945;-galactosidase ácida (&amp;#945;-GAL) e provoca lesões em diversos sistemas e órgãos pelo corpo, como sistema nervoso central e periférico, rins, coração, pele, olhos, sistema digestório e outros. O tratamento dessa doença com terapia de reposição enzimática foi introduzido em 2001 e tem demonstrado eficácia na melhora de sintomas e estabilização da evolução da doença (Schiffmann et al. 2001; Branton et al. 2002; Spinelli et al. 2004; Hilz et al. 2004) e tem demonstrado melhora de vários parâmetros, como avaliados em diferentes trabalhos científicos: - Melhora da dor neuropática, qualidade de vida relacionada à dor, função renal, níveis plasmáticos de glicoesfingolípídios e função cardíaca (Schiffmann R. et al. 2001);- Estudo de fase 3, randomizado e controlado por placebo em 15 pacientes homens reportou uma redução significativa na massa ventricular esquerda em pacientes tratados com alfa-galactosidase 0,2 mg/kg em semanas alternadas por 6 meses (Hughes et al. 2008); - Estudo de seguimento de 5 anos da base Fabry Outcome Survey (FOS) comparou o tratamento com alfa-galactosidase e dados provenientes de 3 estudos de população com doença de Fabry não tratada. O grupo em tratamento com alfa-galactosidase apresentou menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda, além de sobrevida estimada de mais 17,5 anos (Beck et al. 2015);- Dados de uma análise retrospectiva de 10 anos de homens e mulheres com idade &amp;#8805;14 anos recebendo tratamento com alfa-galactosidase demonstraram melhora nas funções cardíacas como sintomas de insuficiência cardíaca e angina (Kampmann et al. 2015);- Estabilização da função renal de maneira sustentada após 54 meses de tratamento com beta-galactosidase (Dominique P. Germain et al. 2007).- Acompanhamento de 52 pacientes com beta-galactosidase por 10 anos, mostrou que neste período todos estavam vivos e sem presença de evento clínico severo.(Germain D et al. 2015)&amp;#8203;Baseado em informações científicas, o Comitê de Doenças Raras (COMDORA) da Sociedade Brasileira de Nefrologia vem por meio desta sugerir a incorporação da Terapia de Reposição Enzimática para o tratamento da Doença de Fabry pelo Sistema Único de Saúde, plenamente convencido de que esta terapia traz benefícios efetivos aos pacientes portadores desta condição em qualidade de vida, evolução da doença, lesões de diferentes órgãos e sistemas, sobrevida e mortalidade, além de resolver o problema da judicialização do tratamento e reduzir os gastos, pois permitirá negociação e redução de custos.&amp;#8203;Corroborando as evidências por nós elencadas acima, vimos reforçar a nossa sugestão de incorporação, referindo a conclusão colocada no parecer desta comissão (CONITEC) no item 11, discussão, aqui transcrita: "indicam que a TRE com alfa ou beta-galactosidase tem efeito relevante na melhora da cardiopatia, traduzida por hipertrofia cardíaca e na redução da dor neuropática destes pacientes— respectivamente a maior causa de mortalidade e a mais frequente causa de comprometimento da qualidade de vida diária destes pacientes". Portanto confirmando os efeitos das enzimas no tratamento da Doença de Fabry que deverá melhorar a qualidade de vida e a sobrevida destes pacientes, sendo a nosso ver, fatores suficientes para que possamos sugerir a incorporação. REFERÊNCIAS Beck M, Hughes D, Kampmann C et al. Long-term effectiveness of alpha-galactosidase</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>enzyme replacement in Fabry disease: a Fabry Outcome Survey Analysis. <i>Mol Genet Metab Rep.</i> 2015;3:21-27</p> <p>Branton MH, Schiffmann R, Sabnis SG et al. Natural history of Fabry renal disease: influence of alpha-galactosidase A activity and genetic mutations on clinical course. <i>Medicine.</i> 2002; 81:122–38.</p> <p>Hilz MJ, Brys M, Marthol H et al. Enzyme replacement therapy improves function of C-Delta-, and Abeta-nerve fibers in Fabry neuropathy. <i>Neurology.</i> 2004; 62:1066–72.</p> <p>Hughes DA, Elliott PM, Shah J et al. Effects of enzyme replacement therapy on thecardiomyopathy of Anderson-Fabry disease: a randomised, double-blind, placebo controlledclinical trial of agalsidase alfa. <i>Heart.</i>2008;94:153–158.</p> <p>Kampmann C, Linhart A, Baehner F et al. Onset and progression of the Anderson–Fabry disease related cardiomyopathy. <i>International Journal of Cardiology.</i> 2008;130(3):367-373.</p> <p>Kampmann C, Perrin A and Beck M.Effectivenessof agalsidase alfa enzyme replacement in Fabry disease: cardiac outcomes after 10 years’ treatment. <i>Orphanet Journal of Rare Diseases.</i>2015; 10:125.</p> <p>Mehta A, Beck M, Eyskens F et al. Fabry disease: a review of current management strategies. <i>Q J Med.</i> 2010;103:641–659.</p> <p>Mehta A, Ricci R, Widmer U et al. Fabry disease defined: baseline clinicalmanifestations of 366 patients in the Fabry Outcome Survey. <i>European Journal of Clinical Investigation.</i> 2004; 34: 236–242.</p> <p>Parini R, Feriozzi S. Females and children with Anderson–Fabry disease: diagnosis, monitoring, benefits of enzyme replacement therapy (ERT) and considerations on timing of starting ERT. <i>Expert Opin Orphan Drug.</i> 2013; 1:315–30.</p> <p>Schiffmann R, Kopp JB, Austin HA III et al. Enzyme replacement therapy in Fabry disease: a randomized controlled trial. <i>J Am Med Assoc.</i> 2001; 285:2743–9.</p> <p>Sestito S, Ceravolo F, Concolino D. Anderson–Fabry disease in children. <i>Curr Pharm Des.</i> 2013;19:6037–45.</p> <p>Dominique P. Germain,Stephen Waldek, Maryam Banikazemi et al Enzyme replacement therapy with agalsidase beta improves cardiac involvement in Fabry’s disease. <i>Clin Genet.</i> 2004; 66:158–65</p> <p>Dominique P Germain, Joel Charrow, Robert J Desnick, Nthalie Guffon, Judy Kempf, Robin H Lachamann, Roberta Lemay, Gabor E Linthorst, Seymour Packman, Ronald Scott, Stephen Waldek, David G Warnock, Neal J Weinreb and William R Wilcox Ten year outcome of enzyme replacement therapy with agalsidase beta in patients with Fabry disease – <i>J Med Genet.</i> 2015 May;52(5):353-358.</p>	
		<p>2ª - Sim, &amp;#8203; A Doença de Fabry é uma doença genética causada pela deficiência da enzima &amp;#945;-galactosidase ácida (&amp;#945;-GAL) e provoca lesões em diversos sistemas e órgãos pelo corpo, como sistema nervoso central e periférico, rins, coração, pele, olhos, sistema digestório e outros. O tratamento dessa doença com terapia de reposição enzimática foi introduzido em 2001 e tem demonstrado eficácia na melhora de sintomas e estabilização da evolução da doença (Schiffmann et al. 2001; Branton et al. 2002; Spinelli et al. 2004; Hilz et al. 2004) e tem demonstrado melhora de vários parâmetros, como avaliados em diferentes trabalhos científicos: - Melhora da dor neuropática, qualidade de vida relacionada à dor, função renal, níveis plasmáticos de glicoesfingolípídios e função cardíaca (Schiffmann R. et al. 2001);- Estudo de fase 3, randomizado e controlado por placebo em 15 pacientes homens reportou uma redução significativa na massa ventricular esquerda em pacientes tratados com alfa-galactosidase 0,2 mg/kg em semanas alternadas por 6 meses (Hughes et al. 2008); - Estudo de seguimento de 5 anos da base Fabry Outcome Survey (FOS) comparou o tratamento com alfa-galactosidase e dados provenientes de 3 estudos de população com doença de Fabry não tratada. O grupo em tratamento com alfa-galactosidaseapresentou menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda, além de sobrevida estimada de mais 17,5 anos (Beck</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

et al. 2015);- Dados de uma análise retrospectiva de 10 anos de homens e mulheres com idade &#8805;14 anos recebendo tratamento com alfa-galactosidase demonstraram melhora nas funções cardíacas como sintomas de insuficiência cardíaca e angina (Kampmann et al. 2015);- Estabilização da função renal de maneira sustentada após 54 meses de tratamento com betagalactosidase (Dominique P. Germain et al. 2007).- Acompanhamento de 52 pacientes com betagalactosidase por 10 anos, mostrou que neste período todos estavam vivos e sem presença de evento clínico severo.(Germain D et al. 2015)&#8203;Baseado em informações científicas, o Comitê de Doenças Raras (COMDORA) da Sociedade Brasileira de Nefrologia vem por meio desta sugerir a incorporação da Terapia de Reposição Enzimática para o tratamento da Doença de Fabry pelo Sistema único de Saúde,plenamente convencido de que esta terapia traz benefícios efetivos aos pacientes portadores desta condição em qualidade de vida, evolução da doença, lesões de diferentes órgãos e sistemas, sobrevida e mortalidade, além de resolver o problema da judicialização do tratamento e reduzir os gastos, pois permitirá negociação e redução de custos.&#8203;Corroborando as evidências por nós elencadas acima, vimos reforçar a nossa sugestão de incorporação, referindo a conclusão colocada no parecer desta comissão (CONITEC) no item 11, discussão, aqui transcrita: "indicam que a TRE com alfa ou beta-galactosidase tem efeito relevante na melhora da cardiopatia, traduzida por hipertrofia cardíaca e na redução da dor neuropática destes pacientes— respectivamente a maior causa de mortalidade e a mais frequente causa de comprometimento da qualidade de vida diária destes pacientes". Portanto confirmando os efeitos das enzimas no tratamento da Doença de Fabry que deverá melhorar a qualidade de vida e a sobrevida destes pacientes, sendo a nosso ver, fatores suficientes para que possamos sugerir a incorporação. REFERÊNCIAS Beck M, Hughes D, Kampmann C et al. Long-term effectiveness of agalsidase alfa enzyme replacement in Fabry disease: a Fabry Outcome Survey Analysis. Mol Genet Metab Rep. 2015;3:21-27 Branton MH, Schiffmann R, Sabnis SG et al. Natural history of Fabry renal disease: influence of alpha-galactosidase A activity and genetic mutations on clinical course. Medicine. 2002; 81:122–38. Hilz MJ, Brys M, Marthol H et al. Enzyme replacement therapy improves function of C-Adelta-, and Abeta-nerve fibers in Fabry neuropathy. Neurology. 2004; 62:1066–72. Hughes DA, Elliott PM, Shah J et al. Effects of enzyme replacement therapy on the cardiomyopathy of Anderson-Fabry disease: a randomised, double-blind, placebo controlled clinical trial of agalsidase alfa. Heart. 2008;94:153–158. Kampmann C, Linhart A, Baehner F et al. Onset and progression of the Anderson–Fabry disease related cardiomyopathy. International Journal of Cardiology. 2008;130(3):367-373. Kampmann C, Perrin A and Beck M. Effectiveness of agalsidase alfa enzyme replacement in Fabry disease: cardiac outcomes after 10 years' treatment. Orphanet Journal of Rare Diseases. 2015; 10:125. Mehta A, Beck M, Eyskens F et al. Fabry disease: a review of current management strategies. Q J Med. 2010;103:641–659. Mehta A, Ricci R, Widmer U et al. Fabry disease defined: baseline clinical manifestations of 366 patients in the Fabry Outcome Survey. European Journal of Clinical Investigation. 2004; 34: 236–242. Parini R, Feriozzi S. Females and children with Anderson–Fabry disease: diagnosis, monitoring, benefits of enzyme replacement therapy (ERT) and considerations on timing of starting ERT. Expert Opin Orphan Drug. 2013; 1:315–30. Schiffmann R, Kopp JB, Austin HA III et al. Enzyme replacement therapy in Fabry disease: a randomized controlled trial. J Am Med Assoc. 2001; 285:2743–9. Sestito S, Ceravolo F, Concolino D. Anderson–Fabry disease in children. Curr Pharm Des. 2013;19:6037–45. Dominique

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>P. Germain, Stephen Waldek, Maryam Banikazemi et al Enzyme replacement therapy with agalsidase beta improves cardiac involvement in Fabry's disease. Clin Genet. 2004; 66:158–65 Dominique P Germain, Joel Charrow, Robert J Desnick, Nthalie Guffon, Judy Kempf, Robin H Lachamann, Roberta Lemay, Gabor E Linthorst, Seymour Packman, Ronald Scott, Stephen Waldek, David G Warnock, Neal J Weinreb and William R Wilcox Ten year outcome of enzyme replacement therapy with agalsidase beta in patients with Fabry disease – J Med Genet. 2015 May;52(5):353-358.</p> <p>3ª - Sim, Eu vi que no texto que há uma proposta com desconto de 70% sobre o valor pago atualmente via judicialização, que pode trazer grande economia ao estado. Além disso, se a terapia não for incorporada, os gastos permanecerão muito mais altos do que serão com a incorporação</p> <p>4ª - Sim, Eu vi que no texto que há uma proposta com desconto de 70% sobre o valor pago atualmente via judicialização, que pode trazer grande economia ao estado. Além disso, se a terapia não for incorporada, os gastos permanecerão muito mais altos do que serão com a incorporação</p> <p>5ª - Não</p>	
02/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem evidencias de eficacia da BETA -ALGASIDASE (Fabrazyme) sobre eficácia e sobre a dose de 1mg versus 0,2 mg da alfa. Indicando uso da medicação precocemente. A judicializacao pode retardar p inicio da terapia expondo o paciente ao risco de lesões irreversíveis.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da recomendação preliminar pois existem muitos pacientes diagnosticado com doença de Fabry que necessitam do uso de TRE para tratamento. Sou a favor da incorporação da alfa-algasidase como 1 opção pois tenho experiência com pacientes tratados e que melhoraram sua QV, mas tem dificuldades de acesso a medicação.</p> <p>2ª - Sim, Estudo de sobrevida em pacientes com uso de alfa- algasidase de 17,5 anos a mais de vida quando comparado a pacientes não tratados e melhora das dores e eventos cardiovasculares.</p> <p>3ª - Sim, O próprio relatório da Conitec apresenta como melhor cenário o uso da alfa algasidase como o melhor cenário de tratamento pelo SUS, podendo com o mesmo valor atingir um número maior de pacientes</p> <p>4ª - Sim, Conforme descrito no relatório da CONITEC o cenário com melhor custo benefício é a incorporação somente da alfa agalsidase no SUS, com um impacto de R\$ 1.160.901.930,45 a menos comparado ao custo da beta algasidase após 5 anos de incorporação.</p> <p>5ª - Sim, Diante de toda evidência clinica , impacto econômico a recomendação de não incorporação das enzimas me parece uma decisão equivocada, e acredito que a incorporação das enzimas pode trazer benefícios a muitos outros brasileiros com Fabry e diminuir o custo do governo com tratamentos quando a doença já está instalada( hemodiálise, internações e etc).</p>	
02/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da recomendação preliminar, pois existem diversos perfis de pacientes diagnosticados com a Doença de Fabry e necessitam de TRE (Terapia de Reposição Enzimática) para tratamento.</p> <p>2ª - Sim, O tratamento com Terapia de Reposição Enzimática (TRE) melhora a qualidade de vida do paciente, retarda o aparecimento dos sintomas e desfechos clínicos causados pela doença ao longo do tempo como, problemas cardíacos, renais e neurológicos. Dados publicados recentemente através do Estudo FOS 5 anos com alfa evidenciou: -Menor declínio da função renal, menor progressão da doença cardíaca e menor incidência de desfechos clínicos (16% vs 45%) no grupo tratado. -Esse estudo também avaliou a sobrevida dos pacientes em tratamento de forma comparativa com grupo não tratado, sendo que houve um aumento na sobrevida de 17,5 anos com Alfa Agalsidase. -Os dados publicados evidenciam que o tratamento com alfa se correlaciona com melhora da função cardíaca.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Em relação ao impacto orçamentário, Alfa Agalsidase (Replagal) demonstrou ser 70% mais econômico para os cofres públicos, ou seja, com o mesmo valor investido hoje, você atenderia um número maior de pacientes que necessitam de tratamento.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Melhora os sintomas cardíacos e de dor nos pacientes 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há muitos pacientes com forma clássica da doença que são identificados precocemente e beneficiam-se da instituição da terapia de reposição enzimática. Há casos de doença não clássica ou expressão fenotípica menos grave que necessitam de acompanhamento especializado para definição da instituição de terapia de reposição enzimática.</p> <p>2ª - Sim, Não há menção sobre os trabalhosa) Kampmann C, Perrin A, Beck M. Effectiveness of agalsidase alfa enzymereplacement in Fabry disease: cardiac outcomes after 10 years` treatment.Orphanet J Rare Dis. 2015 Sep 29;10:125. doi: 10.1186/s13023-015-0338-2. Erratum in: Orphanet J Rare Dis. 2016;11(1):95. PubMed PMID: 26416388; PubMed CentralPMCID: PMC4587871.b) Germain DP, Charrow J, Desnick RJ, Guffon N, Kempf J, Lachmann RH, Lemay R,Linthorst GE, Packman S, Scott CR, Waldek S, Warnock DG, Weinreb NJ, Wilcox WR.Ten-year outcome of enzyme replacement therapy with agalsidase beta in patientswith Fabry disease. J Med Genet. 2015 May;52(5):353-8. doi:10.1136/jmedgenet-2014-102797. Epub 2015 Mar 20. PubMed PMID: 25795794; PubMedCentral PMCID: PMC4413801.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Entra em consideração o impacto orçamentário do custo da medicação mas não há estudo sobre o custo ao sistema de saúde de todas as complicações da evolução natural da doença, diretas (exames de imagem e laboratoriais, hemodiálise, marcapasso, internações em unidade de terapia intensiva, reabilitação pós acidente vascular encefálico) e indiretas (dias afastados do trabalho, aposentadoria precoce, auxílios doença etc).</p> <p>5ª - Sim, O tratamento da doença requer acompanhamento multidisciplinar e acesso a exames caros e de difícil realização para muitos dos pacientes do sistema único de saúde como, por exemplo, a ressonância magnética. A doença deve ser acompanhada por especialistas em centros de referências, não necessariamente vinculados a universidades, porém com estrutura compatível com a complexidade requerida para os casos</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Doença de Fabry talvez não seja tão rara quanto parece, apenas sub-diagnosticada. O tratamento garante não só maior sobrevida, como melhor qualidade de vida aos indivíduos afetados. Trata-se de uma doença sistêmica que costuma levar à insuficiência renal, em níveis dialíticos, AVC e cardiopatia hipertrófica. Os gastos com essas complicações são mais elevados que o tratamento com a reposição enzimática.</p> <p>2ª - Sim, A doença de Fabry é de natureza progressiva. Além disso, a apresentação clínica é heterogênea, com o histórico natural da doença variando significativamente entre os pacientes. Na ausência de tratamento, a expectativa de vida é reduzida em 20 anos nos homens e em 15 anos nas mulheres e a doença progride inexoravelmente, levando à falência renal, doença cardíaca hipertrófica e múltiplos acidentes vasculares cerebrais. O uso das enzimas recombinantes resultou em significativa melhora da função cardíaca, estabilização da função renal e diminuição do acúmulo do Gb3 nos diferentes tecidos do corpo, sendo até o momento, a única opção terapêutica aprovada para essa doença no Brasil, nos Estados Unidos e na Europa.</p> <p>3ª - Sim, Os gastos com a reposição enzimática podem parecer elevados, mas, quando comparados aos gastos com hemodiálise e internações prolongadas e recorrentes em unidades de terapia intensiva, acabam se mostrando mais baixos.</p> <p>4ª - Sim, A programação orçamentária com pacientes que necessitam de hemodiálise e com pacientes vitimados por acidentes vasculares cerebrais ou por infarte agudo do miocárdio, levando-se em conta gastos com equipe multidisciplinar, sondas e catéteres, medicamentos anticonvulsivantes, miorrelaxantes, dietas por sonda, etc, é muito menor que o orçamento de um programa de infusão venosa semanal, que pode ser ministrada em centros básicos de infusão.</p> <p>5ª - Não</p>	
03/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
03/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É uma doença rara e que quando diagnosticada tratamento pode mudar o curso da Doença .</p> <p>2ª - Sim, É uma doença rara e que quando diagnosticada tratamento pode mudar o curso da Doença .</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
03/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou medico nefrologista tratando pacientes portadores de doença de fabry a mais de 10 anos tendo controlado nesse periodo pelo menos 10 pacientes os quais continuam em acompanhamento ambulatorial sem nenhuma complicacao grave da doenca devido ao tratamento com a enzima alfa alfasidase e beta alfasidase deve se ressaltar obito nesse grupo familiar anteriores ao tratamento disponivel para esse grupo.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes em tratamento encontram se com a sua nefropatia controlada e reducao ou desaparecimento de proteinuria. Os sintomas gastrointestinais desapareceram na maioria dos casose nem houve nenhuma compicacao cardiovasculares e neurologicas.Existem estudos de 10 anos com alfa algasidase que demonstram umaumento na sobrevida dos pacientes de 17 anos e seis meses.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Segue referencias bibliograficaskampmann et al. Orphanet Journal of Rare Diseases (2015) 10:125 DOI 10.1186/s13023-015-0338-2Mehta A et al. Lancet. 2009; 374:1986-96BECK M, et al. Mol Genet Metab Rep. 2015;3:21-27</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Terapia de Reposição é o único tratamento eficaz para a Doença d Fabry.Fato esse presenciado com melhoras na qualidade de vida e na paralisação da evolução da Doença como preservação dos principais órgãos alvos: Coração, Cérebro e Rins.</p> <p>2ª - Sim, Paciente que sou amigo apresentou melhora significativa no quadro de dor, diarreia e vontade de fazer exercícios após o início da Terapia com a Beta-Agalsidase.Nos exames de função renal e exames de imagens no cérebro e coração, foi confirmada a estagnação da evolução da Doença (depósito de gordura).</p> <p>3ª - Sim, O cálculo apresentado dando vantagem econômica para alfa-agalsidase está equivocado.A terapia que consegue estagnar a evolução da Doença de Fabry só foi confirmada nos principais estudos e através dos exames de função renal e de imagem do cérebro e coração com a dose de 1mg por kg, independente da terapia.Ou seja, tanto alfa quanto beta se utilizadas com dose inferior a 1mg por kg, não fazem efeito esperado do tratamento.</p> <p>4ª - Sim, Qualquer das terapias que forem utilizadas abaixo de 1mg por kg não irá atingir os benefícios esperados com o tratamento de reposição enzimática.</p> <p>5ª - Não</p>	
03/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem estudos de eficacia e segurança de alfa algasidase com otimas respostas. Sugiro estudo FOS que é o estudo de registro do produto mencionado acima.</p> <p>2ª - Sim, O estudo FOS é um estudo de registro de alfa algasidase que demonstra eficacia comprovada e segurança principalmente no infusão, pois 9 pacientes estão em minhas responsabilidades e não apresentam nenhum evento adverso na administração da medicação.Alfa demonstrou em estudos de 10 anos de manutenção que houve um aumento de sobrevida dos pacientes quase 18 anos.</p> <p>3ª - Sim, Acredito que realizando a incorporação o custo do tratamento para o Ministerio pode ficar mais acessível pois não haverá judicialização.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Segue referencias de estudos científicos com uso de alfa algasidase.Kampmann et al. Orphanet Journal of Rare Diseases (2015) 10:125 DOI 10.1186/s13023-015-0338</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. HOJE SABEMOS OS BENEFICIOS DA TERAPIA DE REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA NA DOENÇA, COM VÁRIOS TRABALHOS E ARTIGOS CIENTIFICOS COMPROVANDO TAL AFIRMAÇÃO. ALÉM DE MELHORAR A SOBREVIDA, APRESENTA MELHORA NOS SINTOMAS DA ACROPARESTESIA, ALÉM DE BENEFICIOS JA COMPROVADOS NA MELHORIA DA FUNÇÃO RENAL E CARDIACA. PELOS EFEITOS RELATADOS, É DE EXTREMA IMPORTANCIA A INCORPORAÇÃO DESTA MEDICAÇÃO DE FORMA A FAZER DIFERENTE NA VIDA DESSES PACIENTES PORTADORES DA DOENÇA DE FABRY,EM RELAÇÃO AS MEDICAÇÕES ALFA E BETA-AGALSIDASE, DE ACORDO COM A LITERATURA ATUAL, AMBAS APRESENTAM BENEFICIOS SEMELHANTES PARA OS PACIENTES, TENDO A ALFA-AGALSIDASE UMA POSOLOGIA MELHOR DE INFUSÃO (40 MINUTOS) A CADA 2 SEMANAS DO QUE A DA BETA-AGALSIDASE.</p> <p>2ª - Sim, [] SOU MÉDICO NEUROLOGISTA - INICIEI MEU TRABALHO COM DOENÇA DE FABRY, APÓS PESQUISA NA ÁREA, AO SE INVESTIGAR A DOENÇA EM PACIENTES COM ACIDENTE VASCULAR CEREBRAL EM PACIENTES JOVENS. NO PERÍODO, FORAM DIAGNOSTICADOS 2 PACIENTES[[] PACIENTES EM ACOMPANHAMENTO:- A. SEXO FEMININO, 54 anos, com história prévia de hipertensão arterial sistêmica há 10 anos,dislipidemia, sedentarismo, AIT há 2 anos, e sintomas depressivos, admitida com quadrosúbito rebaixamento do nível de consciência, vômitos e déficit dimidiado à esquerda,sendo diagnosticada com Acidente Vascular Cerebral isquêmico POCS, com neuroimagem evidenciando lesão em regiãoponte à direita, com estudo angiográfico intracraniano e cervical normal.Apresentava como sintomatologia associada as acroparestesias desde a adolescência,além de sintomas articulares em dimidio esquerdo. Apresentava hipertrofia ventricularesquerda (HVE) ao ecocardiograma transtorácico e extrassístoles supraventriculares eventriculares ao Holter 24h. Não apresentava córnea verticilata e nem angioqueratomas,e apresentava função renal normal, sem proteinúria. No estudo genético, apresentavamutação heterozigótica no éxon 2 do gene GLA, c.352&gt;T, com dosagem de liso Gb3 de1,3ng/ml (referência &lt; 1,8 ng/ml)- B. SEXO FEMININO, 15 anos, negra, foi admitida com quadro de cefaléia nova, com mudançade padrão há 1 mês, associado à febre, náuseas e vômitos. Apresentava história prévia de enxaqueca sem aura, sem acompanhamento, além de acroparestesias, que pioram comprática física e hiperhidrose. Apresentava ainda história de deficit motor e sensitivodimidiado à esquerda sem investigação. Durante investigação, realizou neuroimagemevidenciando lesões glióticas talâmicas bilaterais. Foi realizado punção lombarcom pleocitose (40 células) com padrão linfo/mono (86% linfócitos, 12% monócitos),com bacterioscopia e culturas normais, ficando como hipótese meningite asséptica. Foirealizada investigação para AVC em jovem, sendo excluída causas infecciosas, autoimunese trombofilias. Solicitado investigação para DF, confirmando a doença pormutação heterozigótica, previamente não descrita, apresentando também com dosagemde liso Gb3 de 3,8ng/ml (referência &lt; 1,8 ng/ml) fechando o diagnóstico para DF. Realizado investigação complementar, sendo evidenciado córnea verticilata apósavaliação oftalmológica e proteinúria (325,4mg/24h) em urina de 24 horas. Após 1 mêsde alta hospitalar, aguardando a TRE, apresentou quadro súbito de perda visual em olhoesquerdo, sendo avaliada pela oftalmologia, sendo evidenciado oclusão da artéria centralda retina. Atualmente a mesma está em uso TRE, com melhora das acroparestesias e dacefaléia, estando em acompanhamento com equipe multidisciplinar.[[] SOBRE A DOENÇA DE FABRYA doença de Fabry (DF) é um erro inato do metabolismo dos glicoesfingolípídeosligado ao cromossomo X, produzido por mutações do gene que codifica a enzimalisossômica &amp;#945;-galactosidase-A</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>(α-GAL) (LARRALDE, et. al. 2004).Atualmente a DF representa a segunda alteração mais frequente por acúmulo lisossômico nos humanos (MÖHREMSCHLAGE, 2004). Ela é mais comum em brancos, podendo acometer todas as raças, com incidência de aproximadamente 1 em cada 117.000 nascidos vivos, embora pesquisas recentes de rastreio em recém-nascidos sugerem incidência bem maior, com muitos casos subdiagnosticados. A mutação no gene GLA leva a deficiência ou ausência de atividade da enzima α-galactosidase-A, resultando no acúmulo do glicoesfingolípido não clivados, principalmente sobre a forma de globotriaosilceramida (Gb3) no plasma e em vários tecidos celulares, incluindo cérebro, coração, olhos, pele, orelhas, rins, sistema gastrointestinal e vasos sanguíneos (LARRALDE, et. al. 2004). O fenótipo clássico da doença é de homens, que não apresentam atividade residual da enzima α-GAL. O quadro clínico é de acometimento precoce dermatológico, oftalmológico e do sistema nervoso periférico. Complicações renais, cardíacas e cerebrovasculares são a principal causa de morbimortalidade em adultos, podendo estar presentes já a partir da segunda década de vida, porém mais comumente entre a terceira e quinta décadas de vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, PELOS BENEFÍCIOS JÁ COMPROVADOS EM VÁRIOS ARTIGOS CIENTÍFICOS NACIONAIS E INTERNACIONAIS, É PRUDENTE A INCORPORAÇÃO DA TERAPIA DE REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA PARA PACIENTES COM DOENÇA DE FABRY, ESTANDO TANTO A ALFA-AGALSIDASE, QUANTO A BETA-AGALSIDASE, EVIDENCIANDO BENEFÍCIOS SEMELHANTES QUANTO A TERAPÊUTICA, TENDO A AGALSIDASE UM MELHOR BENEFÍCIO POR SER FEITO A PARTIR DE CÉLULAS HUMANAS E PELO TEMPO DE INFUSÃO MELHOR</p>	
03/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho paciente jovem em uso da alfa-galactosidase que apresentou benefício no quadro de hipertrofia ventricular, com reversão completa do quadro após 6 meses da uso da medicação. O benefício será certamente maior com o passar dos anos, já que seu diagnóstico foi na juventude, reduzindo em muito os gastos com saúde e previdência social, evitando sequelas e limitações funcionais. Por isso, esta medicação não poderá ser suspensa e deveria ser de mais fácil acesso aos prescritores. grato</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O uso da TRE melhora a sobrevida dos pacientes com doença de Fabry.</p> <p>2ª - Sim, Melhora o quadro da doença cardíaca e sintomas de dor.</p> <p>3ª - Sim, Ajudará centenas de pacientes no Brasil, pois o Laboratório concedeu descontos significativos.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A análise da CONITEC está baseada em análises superficiais de curto prazo, e principalmente sem análise do benefício da estabilização do acometimento renal e cardíaco, já é sabido que a progressão da doença renal e cardíaca levam a um custo maior ao Sistema de Saúde e a custos sociais (invalidez), além da maior chance de óbito. Isto não foi projetado na análise da CONITEC</p> <p>2ª - Sim, A análise da CONITEC pode ser descrita como imediatista, tendo em vista a busca por respostas a terapia em análises de trabalhos com duração de um ano. Pela própria natureza da doença, sabemos que o dano e o possível benefício estão relacionados com o acúmulo do metabolito, e que a análise do tratamento não pode ficar restrita a um ano, com algumas referências tratadas na análise. Um recente trabalho, publicado por Ortiz et al., inclusive demonstra que na fase inicial de tratamento acontece um número maior de eventos, mas que durante o seguimento de médio prazo a queda da incidência de eventos foi muito significativa</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O impacto de pacientes com doença Renal Crônica e doença cardíaca aumentam muito o custo destes pacientes. Análise da USRDS mostra um aumento significativo no custo de pacientes em estágios 4-5, principalmente quando possuem insuficiência cardíaca associada, independente da causa. A utilização de medicação que reconhecidamente pela própria CONITEC, estabiliza a função renal, e que possui os maiores benefícios a longo, pode representar uma economia significativa aos Sistema de Saúde.</p> <p>5ª - Sim, Como a própria CONITEC relata, novos dados são necessários para apoiar a melhor decisão quanto ao início da terapia de reposição enzimática, porém a mesma comissão não especifica nenhuma ação para obter estes dados. Sugiro a criação de comissões interdisciplinares para acompanhamento, avaliação e indicação de tratamento das doenças raras. No Espírito Santo já temos um ambulatório específico para analisar estes casos e criar conhecimento regional, não dependendo da análise de estudos de outros países. Acreditamos que este possa ser um modelo para acompanhamento e tratamento desta e de outras doenças raras</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. DEVIDO A VÁRIOS ESTUDOS QUE DEMONSTRAM A EFICACIA E SEGURANÇA DA ALFA-AGALSIDASE.</p> <p>2ª - Sim, NOS ESTUDOS DE EFICACIA COM SEGUIMENTO DE 10 ANOS, FORAM DEMONSTRADOS UM AUMENTO DE SOBREVIDA DA ALFA-ALGASIDADE DE 17,5 ANOS.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, COM A JUDICIALIZAÇÃO O MINISTÉRIO DA SAÚDE REALIZA COMPRAS COM VALORES "CHEIOS" E COM A INCORPORAÇÃO HAVERÁ REDUÇÃO DE PREÇO DE ALFA-ALGASIDADE.</p> <p>5ª - Não</p>	
04/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Para aqueles pacientes que foram diagnosticados com a Doença de Fabry o tempo é crucial! Ou seja, enquanto profissional de saúde devemos tentar reduzir o tempo entre o diagnóstico e a infusão do medicamento. Atualmente esse tempo é longo/moroso por questões judiciais ..... Mas é preciso conscientizar/treinar os especialistas para realizar um diagnóstico preciso evitando desperdício com dinheiro público.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não concordo, porque é uma doença que há tratamento disponível no mercado.Com o tratamento podemos estabilizar o acometimento renal, cardíaco e neurológico, que pode acometer a vida ativa do paciente na sociedade se tratado precocemente.</p> <p>2ª - Sim, A Doença de Fabry é uma doença de depósito lisossômico grave, progressiva e potencialmente fatal, causada pela deficiência da enzima alfa galactosidase A. que acomete órgãos alvos levando a insuficiência renal, cardíaca e cerebral. Sendo o único tratamento disponível a terapia de reposição enzimática (Agalsidase Alfa), que é eficaz para estabilizar e/ou regredir o comprometimento dos órgãos alvo oferecendo segundo publicações, a estimativa de 17,5 anos de sobrevida quando tratado.</p> <p>3ª - Sim, Com o parecer técnico, o tratamento com Agalsidase Alfa mostrou ser mais econômico para o Ministério da Saúde devido ao menor preço oferecido e com isso haveria a possibilidade de tratar um número maior de pacientes com Doença de Fabry.</p> <p>4ª - Sim, Com o menor preço oferecido pela Agalsidase Alfa, ofereceríamos o tratamento de reposição enzimática ao maior número de pacientes em relação a outra medicação.</p> <p>5ª - Sim, Atualmente a Doença de Fabry tem um tratamento disponível no mercado, a Terapia de Reposição Enzimática sendo a minha experiência com Agalsidase Alfa. O tratamento mostra uma resposta clínica relevante diminuindo o acometimento dos órgãos alvos e com menor custo x benefício ao ministério da saúde.Evitando futuramento desfechos clínicos e comorbidades atrapalhando a vida ativa do paciente na sociedade e onerando os cofres públicos.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
04/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho paciente que realizo infusão nele a mais de 2 anos e vejo os benefícios que o tratamento traz a ele. Inclusive está a alguns meses sem tratamento e sofre muito com dores.</p> <p>2ª - Sim, Tenho experiência com a alfa agalsidase e vejo os benefícios do uso a longo prazo inclusive tenho informações de um estudo de 5 anos acompanhando 740 pacientes tratados versus grupo sem tratamento retardou o tempo da primeira complicação grave da doença em 7 anos , apresentaram também menor perda da função renal e menor progressão da HVE. Aumentando a sobrevida em 17,5 anos.</p> <p>3ª - Sim, Vejo que pelo Relatório apresentado pela CONITEC, o melhor cenário é a incorporação da alfa agalsidase pela melhor proposta, assim o governo pode atingir um número muito maior de pacientes com o mesmo orçamento.</p> <p>4ª - Sim, Como está escrito no Relatório da Conitec o uso da alfa agalsidase no SUS, seria o melhor custo benefício, com um impacto de R\$ 1.160.901.930,45 a menos comparado ao custo da beta agalsidase após 5 anos de incorporação.</p> <p>5ª - Sim, Acredito que a incorporação da alfa seja a melhor opção tanto para o paciente, pois os estudos comprovam seus benefícios clínicos e para o governo pois gastaria muito menos do que se gasta hj com AJ e gastará muito menos que a beta.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/04/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
04/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Sim, 4ª - Sim, 5ª - Sim,	
04/04/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes com a doença de Fabry precisam desse tratamento, e é importante para a saúde pública disponibilizar o melhor tratamento, visando o bem estar do paciente e a manutenção da saúde dele. Acredito que o governo não terá tantos gastos, a ponto de ter que negar essa terapia, já que a doença é rara. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, O impacto alegado precisa levar em consideração que a doença de Fabry é rara, e que a partir do momento que o paciente receber um tratamento que é melhor, diminuirá o risco de futuros problemas como a DRC, que com toda certeza causará uma oneração bem maior para a saúde pública. 5ª - Não	
04/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem diversos perfis de pacientes que necessitam da medicação, pois a Doença de Fabry é uma doença de depósito lisossômico grave, progressiva e potencialmente fatal causada pela ausência da enzima Alfa Galactosidase A. Claramente, se diagnosticado precocemente, o paciente iniciaria o tratamento, não evoluiria para um desfecho Renal (Hemodiálise), Cardíaco (HVE, IAM) e Neurológico (AVC), onerando o sistema público nos próximos anos com reabilitação. Sendo assim, o paciente estaria ativo na sociedade realizando seu tratamento, nos anos seguintes não era necessário a terapia renal substitutiva e estaria ativamente contribuindo com o sistema.</p> <p>2ª - Sim, Com embasamento em literaturas internacionais e eventos médicos de Fabry, o relato do estudo Fabry Outcome Survey (FOS) comparou o tratamento com Alfacalsidase e dados provenientes de 3 estudos de população com doença de Fabry não tratada. O Grupo em tratamento com alfacalsidase apresentou menor declínio da função renal e menor progressão da Hipertrofia Ventricular Esquerda (HVE), além da sobrevida estima de mais 17,5 anos (Beck et. Al. 2015). Ressalto outro ponto importante, uma análise retrospectiva de 10 anos com alfacalsidase demonstraram melhora nas funções cardíacas como sintomas de insuficiência cardíaca e angina (Kampmann et al. 2015). Com a publicação do parecer técnico conseguimos perceber uma grande diferença entre Alfa x Beta, se escolhido a mais em contato, com certeza iríamos atender um número maior de pacientes com o valor investido atualmente no tratamento de reposição enzimática para a Doença de Fabry.</p> <p>3ª - Sim, Em prol do paciente e com o relatório apresentado pela CONITEC, com certeza a incorporação de Alfa Agalsidase traria um cenário mais favorável, pois você atende uma gama maior maior de pacientes com o mesmo valor orçado.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A incorporação de uma das moléculas traria maior benefício e atendimento ao paciente, devido a comprovações científicas a longo prazo, sobrevida e valores aos cofres públicos. Alfacalsidase é a melhor opção diante as informações citadas.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA NA DOENÇA DE FABRY É A ÚNICA ALTERNATIVA TERAPÊUTICA ATUAL PARA TAIS PACIENTES. A NÃO INCORPORAÇÃO AO SUS TORNARÁ O TRATAMENTO INVIÁVEL E CONDERÁ AO ÓBITO TAIS PACIENTES. SEGUNDO A CONSTITUIÇÃO FEDERAL A SAÚDE É UM DIREITO DE TODOS E DEVER DO ESTADO. BEM COMO É PRINCÍPIO DO SUS QUE DEVEMOS TRATAR DE MANEIRA DESIGUAL OS DESIGUAIS. OS CUSTOS DA REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA SÃO ELEVADOS, ENTÃO ALÉM DA INCORPORAÇÃO, COMO MEDIDA A LONGO PRAZO, SERIA RECOMENDÁVEL O ACONSELHAMENTO GENÉTICO AOS PORTADORES DE TAL PATOLOGIA.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, OS CUSTOS DA REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA SÃO ELEVADOS, ENTÃO ALÉM DA INCORPORAÇÃO, COMO MEDIDA A LONGO PRAZO, SERIA RECOMENDÁVEL O ACONSELHAMENTO GENÉTICO AOS PORTADORES DE TAL PATOLOGIA.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. a constituição garante o direito ao medicamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, o acesso ao medicamento via judicial acaba sendo mais oneroso para a união</p> <p>5ª - Não</p>	
05/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes necessitam deste medicamento para sobreviverem, ouço muito relatos de melhora do quadro de dor e da qualidade de vida, sem contar benefícios como diminuição da proteinúria, e da proteção de órgãos não afetados, alguns pacientes relatam não conseguir ficar mais sem a medicação e são pessoas que realmente precisam.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O trabalho junto ao paciente buscando e avaliando os supostos pacientes com a doença de Fabry, têm com intuito de quando for identificado a tal doença o paciente possa ter acesso a reposição das enzimas, evitando assim maiores danos ao indivíduo como as complicações futuras renais, cardiovasculares e neurológicas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A contribuição podemos definir no aprendizagem do estudo das doenças considerada raras aperfeiçoando nível profissional.</p>	
05/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Estudos que demonstram eficácia e segurança com seguimento a mais de 10 anos</p> <p>2ª - Sim, Melhora nos desfechos clínicos, diminuição dos sintomas causados pela doença, melhora nos desfechos renais e cardiovasculares e aumento da sobrevida em 17,5 anos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
05/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Devido a estudos de eficácia e segurança com seguimento há mais de 10 anos.</p> <p>2ª - Sim, Desfechos clínicos favoráveis de alfa galactosidase com melhoras nos desfechos renais e cardiovasculares com aumento da sobrevida de 17 anos e meio.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Com o processo judicial o custo da medicação torna-se mais elevado do que a medicação incorporada.</p> <p>5ª - Não</p>	
05/04/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A terapia de reposição e o tratamento mais eficaz para redução de danos a longo prazo da doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo da decisão pois temos paciente em tratamento na clinica e vejo que o uso da medicação traz inúmeros benefícios ao paciente, e com a incorporação o acesso ao produto fica mais fácil.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, O relatório mostra que o cenário da incorporação da alfa agalsidase mostra um menor custo de tratamento que impacta o orçamento do governo e podendo assim até aumentar o número de pacientes tratados com o mesmo valor.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo da decisão da não incorporação das enzimas , pois temos pacientes em tratamento com a alfa agalsidase e vemos a melhora que esses pacientes têm após um tempo de tratamento, e vemos também a dificuldade de acesso dos mesmos, assim a incorporação no SUS tornaria bem mais fácil a vida desse paciente.</p> <p>2ª - Sim, Como disse temos pacientes em tratamento com a alfa agalsidase e a melhora de sua qualidade de vida e melhora nas dores fica muito evidente, inclusive existem estudos de sobrevida que mostram que pacientes em tratamento versus pacientes não tratados mostram uma sobrevida de 17,5 anos de vida.</p> <p>3ª - Sim, De acordo com o relatório da própria Conitec a incorporação da alfa algasidase mostra um cenário econômico muito mais favorável, inclusive como uma melhor proposta de orçamento. Podemos até pensar que com a incorporação da alfa algasidase teríamos muito mais pacientes em tratamento.</p> <p>4ª - Sim, De acordo com o relatório da Conitec a incorporação da alfa algasidase mostra se o melhor cenário, pois traria uma economia de mais de R\$ 1 milhão de reais após 5 anos de incorporação, ou seja, além do impacto econômico menor que o cenário que temos hoje , teremos ao longo do tempo menos pacientes indo para hemodiálise e menor número de internações.</p> <p>5ª - Sim, Visto todo o cenário a não incorporação dessas enzimas não será boa nem para o paciente e nem para o governo. Espero que essa decisão seja revisada .</p>	
05/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Reforço a importância do tratamento com terapia de reposição enzimática na Doença de Fabry com Alfa Galsidase, pois acompanho diversos pacientes e familiares diagnosticados e comprometidos no Vale do Paraíba. Atualmente realizo infusão da medicação em diversos pacientes, nota-se uma grande melhora em relação a sintomatologia causada pela doença e através de exames de monitoramento o controle da doença.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que realizo o tratamento com Alfa Galsidase (Replagal) apresenta um melhora significativa nos sintomas e um maior controle da doença em relação aos eventos cardiovasculares e renais, relatos de melhora da dor e da sintomatologia como Acroparestesias. Nota-se também uma melhora importante na auto estima do paciente e na sua qualidade de vida diária, proporcionando que os mesmo realizem atividades cotidianas de uma forma ativa.</p> <p>3ª - Sim, A Avaliação econômica disponível no relatório técnico da CONITEC mostra a opção Alfa Galsidase com menor custo ao ministério da saúde. Sendo assim, poderíamos atender um número maior de pacientes diagnosticados com doença de fabry com o investimento na terapia de reposição enzimática Replagal.</p> <p>4ª - Sim, A avaliação econômica disponível no relatório técnico da CONITEC, mostra com toda clareza que Alfa Galsidase é o produto com menor valor e mais viável para incorporação no SUS e que atenderia um número maior de pacientes com o orçamento investido hoje em TRE. Com o valor investido hoje, o ministério da saúde comprando Alfa Galsidase trataria 72 pacientes a mais de Fabry utilizando Replagal.</p> <p>5ª - Sim, Atualmente acompanho 72 pacientes diagnosticados com Doença de Fabry, todos com dificuldades para realizar diagnostico da doença e o tratamento adequado através da TRE, a grande maioria não possui situação sócio econômica favorável para o acesso a medicação e ao diagnostico. Contudo, observa-se um grande número de pacientes comprometidos pela doença e em alguns casos, levando a óbito sem tempo hábil para o tratamento e o diagnostico precoce. Faz-se necessário o melhor acesso a medicação e ao diagnóstico, por trata-se de uma doença rara, que acomete famílias inteiras sem que eles tenham a opção de acesso ao tratamento. De acordo com a portaria 199, é de direito do paciente o acesso ao tratamento das doenças raras no sistema único de saúde.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da remenção preliminar pois existe beneficiios comprovados que o tratamento com terapia de reposição enzimática oferece melhor qualidade de vida e autonomia aos pacientes.Os estudos mais robustos de Alfa Galsidase, os pacientes apresentaram menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda, além de sobrevida estimada de mais 17,5 anos (Beck et al. 2015). O estudo de seguimento de 5 anos da base Fabry Outcome Survey (FOS) comparou o tratamento com alfafalsidase e dados provenientes de 3 estudos de população com doença de Fabry não tratada.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Conforme relatório técnico há diferença entre os valores dos produtos, sendo a melhor opção Alfa Galsidase. Isso permite ao ministério da saúde oferecer tratamento há um numero maior de pacientes com Doença de Fabry com o valor investido hoje.</p> <p>4ª - Sim, O Relatório mostra com clareza que existe um impacto orçamentário diferente de uma molécula para a outra. Se selecionada a terapia de reposição enzimática (TRE) mais em conta, o valor ficaria mais econômico para os cofres públicos e com o mesmo valor investido hoje, trataríamos um número maior de pacientes com a Doença de Fabry.</p> <p>5ª - Sim, Conforme a Carta Magna, relembro que a saúde é dever do estado e direito do cidadão.De acordo com o portaria 199, é direito e deve dar acesso aos pacientes com doenças raras no Brasil.A incoração do tratamento de reposição enzimatica, permite ao paciente melhora da qualidade de vida, aumento de sua autonomia, permitindo que o mesmo se mantenha ativo na cadeia produtiva. Conforme demonstrado por diversos artigos internacionais.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
05/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da recomendação preliminar, pois existe tratamento disponível que pode auxiliary pacientes inclusive de onde eu trabalho que atualmente estão em diálise a evitar danos renais, neurologicos e cardíacos com Alfa Galsidase baseando em diretrizes internacionais, como estudo FOS e Beck.Estima-se uma sobrevida de 17,5 quando o paciente utilizar Replagal e menor progressão da doença e quadro evolutivo em órgãos alvos.</p> <p>2ª - Sim, Com o cenário proposto no parecer técnico da CONITEC e atualmente no Brasil a incorporação de Alfa Galsidase é a melhor opção para incorporação no SUS devido ao menor preço e dados de vida real do produto, além de atender um numero maior de pacientes com o valor investido hoje.Os pacientes que tratam a doença de fabry onde eu trabalho, mostra um grande melhora em relação as dores.Além da sobrevida de 17,5 que o estudo Beck et al 2015 evidência, o estudo Fabry Outcome Survey (FOS) reforça a estabilização da perda da função renal e diminuição do quadro de hipertrofia ventricular esquerda quando são tratados.A INCORPORAÇÃO DA MÉDICAÇÃO SE FAZ NECESSARIA.</p> <p>3ª - Sim, Pensando no atual cenário que vivemos no Brasil, com o parecer técnico da CONITEC, com certeza para atender um número maior de pacientes que necessitam da terapia de reposição enzimática, a incorporação de Alfa Galsidase além de demonstrar uma eficácia cliinica significativa e um menor preço ao ministério da saúde, com toda certeza é a melhor opção</p> <p>4ª - Sim, Como está descrito no relatório técnico da conitec, o uso da alfa galsidase no sus é a melhor custo x beneficio, com um impacto de R\$ 1.160.901.930,45 a menors comparado ao custi da beta agalsidase após 5 anos de incorporação.Com essa informação podemos atender um número maior de pacientes com um produto de ótima qualidade com estudos de longo prazo.</p> <p>5ª - Sim, De acordo com a portaria 199 é direito de todos os portadores de doenças raras no brasil ter acesso ao diagnostico e tratamento, com um parecer técnico de não incorporação vamos na contra maos do que está descrito em document official.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da recomendação preliminary, pois existe a necessidade e demanda para a terapia de reposição enzimática no Brasil. Atualmente eu faço a infusão de alguns pacientes e com toda a necessidade eles não podem parar de receber a medicação, pois tem uma melhora visível nas dores.</p> <p>2ª - Sim, A doença de Fabry é uma doença de depósito lisossômico, progressiva e potencialmente fatal. Geralmente quando diagnosticados os pacientes já estão em hemodiálise, por ser uma doença ligada ao cromossomo X, podemos investigar o heredograma e ajudar familiares a não ter a perda da função renal necessitando de terapia renal substitutiva, problemas cardíacos e neurológicos. Alfa Galsidase é um produto de simples manuseio, o paciente faz a infusão em 40 minutos, com avaliação clínica e laboratorial durante o tratamento eles relatam melhora na dor com muita frequência. De acordo com o estudo Beck et al 2015 estima-se uma sobrevida de 17,5 quando tratado, o que poderia proporcionar ao paciente diagnosticado com Fabry ver um neto, um sobrinho, um filho crescer com qualidade de vida. Além de estabilizar função renal e a evolução da hipertrofia ventricular esquerda quando o paciente apresenta evolução da doença de Fabry em órgãos alvos.</p> <p>3ª - Sim, O parecer técnico deixa bem claro que Alfa Galsidase é a terapia de reposição enzimática com o valor mais acessível para incorporação no SUS, além de atender com o mesmo valor investido hoje um número maior de pacientes com doença de Fabry.</p> <p>4ª - Sim, Faço das palavras que estão no parecer técnico da Conitec e em prol dos pacientes que necessitam da terapia de reposição enzimática, com certeza a longo prazo e com um menor custo ao Ministério da Saúde, Alfa Galsidase é a melhor opção para incorporação no SUS.</p> <p>5ª - Sim, De acordo com a Portaria 199, todos os pacientes portadores de doenças raras têm o DIREITO de ter acesso ao diagnóstico e tratamento como está descrito em documento oficial.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Se faz necessario a incorporação da terapia de reposição enzimatica Alfa Galsidase para o tratamento da doença de fabry, no local onde eu trabalho existem pacientes que necessitam do tratamento e atualmente encontra-se em diálise.</p> <p>2ª - Sim, Guidelines internacionais e diretrizes terapeuticas recomendam o tratamento da doença de fabry em pacientes diagnosticados e que apresentam sintomas da doença e evolução do quadro clinico.Pacientes que utilizam Replagal de acordo com estudo Beck estima-se uma sobrevida de 17,5 quando tratados. Além de estabilizar a progressão da doença em orgaos alvos, como rim e curacao.</p> <p>3ª - Sim, O parecer técnico da CONITEC mostra que alfa é a melhor opção para incorporação devido ao menor preço e possivelmente atender um numero maior de pacientes com o valor já investido hoje.</p> <p>4ª - Sim, A terapia de reposição enzimática Alfa Galsidase é a melhor opção para incorporação no SUS, a curto, médio e longo prazo.Com o valor investido hoje, seria possivel atender um numero maior de pacientes.</p> <p>5ª - Sim, Quando existe uma doença, existe um tratamento e pessoas que tanto precisam de uma medicação para tartar uma doença rara, porque a não incorporação do produto?Se faz necessário e de acordo com a portaria 199 é direito de todo o povo brasileiro ter direito de diagnostic e trtamento da doenças no Brasil</p>	
06/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. De acordo com a recomendação preliminary da conitec, eu discord totalmente, pois existe a necessidade já alguns anos de incorporação da terapia de reposição enzimatica no SUS.</p> <p>2ª - Sim, Baseando-se em guidelines internacionais e artigos cientificos, a doença de fabry é uma doença de depósito lisossômico, progressive e potencialmente fatal.Existem dois tipos de tratamento disponivel no Mercado como é relatado no parecer técnico da CONITEC, mas apenas um oferece uma estimative de sobrevida de 17,5 quando tratado com Alfa Galsidase e também a estabilização da evolução da doença em órgãos alvos como rim, curacao e cerebro.Utilizando como referencia os valores apresentados, a incorporação de alfa é a melhor opção devido um menor valor e possivelmente oferecer com o mesmo valor investido hoje, mais tratamento aos pacientes diagnosticados.</p> <p>3ª - Sim, Não cabe a mim focar na avaliação economica, e sim escolher a melhor opção para tartar o paciente diagnosticado com a doença de fabry, a incorporação se faz necessária e pelo que está descrito no parecer tecnico ao meus olhos Alfa esta mais acessivel a longo prazo.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Existem diretrizes de saude pública, portaria 199 reforça que todo o cidadao tem direito a diagnostico e tratamento de doenças raras no Brasil.Sendo assim, é muito importante a incorporação da terapia de reposição enzimática seja ela qual for.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, A doença de Fabry se caracteriza pela deficiência da enzima lisossomal alfa galactosidase A, levando ao acúmulo de glicoesfingolipídios, principalmente globotriaosilceramida (Gb3) no endotélio vascular e camada muscular lisa, nos cardiomiócitos, neurônios e células do compartimento renal, determinando uma doença multissistêmica. Entre as manifestações clínicas, apresentam-se: acroparestesia, hipoidrose, angioqueratoma, diminuição da acuidade auditiva, alterações do funcionamento intestinal, proteinúria e diminuição da função renal, hipertrofia de ventrículo esquerdo e doença cerebrovascular (Parini e Feriozzi 2013; Sestito et al. 2013).É uma doença genética com padrão de herança ligado ao cromossomo X o que determina as diferenças em relação às manifestações clínicas em homens e mulheres (Parini e Feriozzi 2013).O grupo em tratamento com alfa galactosidase apresentou menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda, além de sobrevida estimada de mais 17,5 anos (Beck et al. 2015). • estudo de seguimento de 5 anos da base Fabry Outcome Survey (FOS) comparou o tratamento com alfa galactosidase e dados provenientes de 3 estudos de população com doença de Fabry não tratada</p> <p>3ª - Sim, Baseando no documento oficial da CONITEC Alfa Galactosidase é a terapia de reposição enzimática mais em conta para incorporação e a curto, médio e longo prazo atenderíamos um número maior de pacientes.</p> <p>4ª - Sim, Com base no relatório da Conitec o uso da alfa galactosidase no SUS seria a melhor opção custo x benefício com um impacto de R\$ 1.160.901,930,45 a menos comparado ao custo da beta galactosidase após 5 anos de incorporação. Dessa forma atenderia um número maior de pacientes a curto, médio e longo prazo com alfa galactosidase.</p> <p>5ª - Sim, Como referência acredito que alfa galactosidase seja a melhor opção para incorporação por questões de valores e tendo em mente atender um número maior de pacientes diagnosticados com doença de Fabry.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da preliminar visto que o Replagal (alfagalsidase) é a terapia de reposição enzimática indicada em pacientes com diagnóstico confirmado da doença de Fabry, com eficácia e segurança comprovadas em estudos. Replagal é a única alfa-galactosidase derivada de células humanas e produzida através de tecnologia de ativação gênica. Ainda apresenta baixo potencial de imunogenicidade. Replagal é a única terapia de reposição enzimática que demonstrou desfechos de sobrevida na doença de Fabry.</p> <p>2ª - Sim, O uso de Replagal demonstrou benefícios ao longo de dez anos, na função e estrutura cardíacas e renal. Sua infusão é feita em 40 minutos a cada duas semanas, e com boa tolerância pelos pacientes. Há nítida e comprovada melhora em parâmetros como dor neuropática, funções renal e cardíaca, qualidade de vida em relação a dor, e níveis plasmáticos de glicosfingolipídeos. Replagal melhora os sintomas e atua na estabilização da evolução da doença de Fabry. Demonstra ainda aumento significativo na estimativa da sobrevida dos pacientes.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
06/04/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eu como paciente discordo totalmente da recomendação preliminar, pois necessito da medicação para ter uma qualidade de vida com menos dores nos meus braços, mãos e pernas, com o tratamento Replagal minhas dores de cabeça melhoraram e consigo executar minhas tarefas diárias.</p> <p>2ª - Sim, Necessito da medicação para ter uma qualidade de vida com menos dores nos meus braços, mãos e pernas, com o tratamento Replagal minhas dores de cabeça melhoraram e consigo executar minhas tarefas diárias.</p> <p>3ª - Sim, Não importa o valor da medicação, existem pessoas como eu que precisam do tratamento, se o medicamento custa 10,00 ou 100,000 reais eu não escolhi ter essa doença, só gostaria de ter meu tratamento que é direito do estado fornecer.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, E direito de todos terem acesso ao diagnóstico e tratamento de doenças raras de acordo com a portaria 199.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da recomendação preliminary do parecer técnico para a não incorporação das TRE.Existem diversas familias diagnosticados no Vale do Paraiba que necessitam de tratamento e tem melhoras quando iniciado.</p> <p>2ª - Sim, A doença de fabry é um doença de depósito lisossomico, progressive e potencialmente fatal, ligada ao cromossomo X, necessitando da reposição enzimatica para a não evolução da doença em órgãos alvo como curacao, rim e cerebro.Baseando-se nos guidelines internacionais e dados de sobrevida publicado por Beck Et Al 2015, estima-se que o paciente utilizando alfa galsidase A tem 17,5 a mais quando iniciado o tratamento x não tratado.Além de evitar a progressão da hipertrofia ventricular esquerda e falência renal, diante essas informações se faz necessária a incorporação da medicação para os pacientes diagnosticados e que necessitam de tratamento.</p> <p>3ª - Sim, Eu medico não tenho como referencia valores para escolher uma terapia, se ela custa 10,00 ou 100.000,00 cabe a mim escolher o melhor tratamento para incorporação no SUS, e de acordo com os guidelines e eficácia do produto de acordo com minha experiência clinica, Alfa Galsidase além de apresentar um menor preço para incorporação no SUS, atenderia um numero maior de pacientes com o mesmo valor investido hoje.</p> <p>4ª - Sim, Se for pensar apenas em valores e no cenario Brasileiro, com certeza Alfa Galsidase atenderia a necessidade do Brasil.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Doença de Fabry é uma doença de depósito lisossômico grave, progressiva e potencialmente fatal, causada pela deficiência da enzima alfa-galactosidase A, que resulta no acúmulo progressivo de globotriaosilceramida (Gb3) nas células de vários sistemas orgânicos – caracteristicamente em células tubulares renais e glomerulares, células miocárdicas e fibrócitos valvulares, neurônios dos gânglios da raiz dorsal e do sistema nervoso autônomo, células vasculares endoteliais, peri-epiteliais e da musculatura lisa; levando a ampla gama de comprometimento em múltiplos órgãos – especialmente coração, rins, cérebro, sistema nervoso periférico e pele, e finalmente à morte do paciente. Sua evolução é progressiva para insuficiência renal, insuficiência cardíaca, doença arterial coronária e cerebral, e sendo a TRE o único tratamento eficaz para estabilizar e/ou regredir o comprometimento dos órgãos acometidos. Não existem outras modalidades terapêuticas disponíveis atualmente, a única terapia com evidências clínicas comprovadas para o tratamento da Doença de Fabry é a Terapia de Reposição Enzimática (TRE), com agalsidase alfa ou beta. [2]</p> <p>2ª - Sim, Já existem evidências clínicas de melhora clínica importante dos quadros algicos, da deterioração da função renal e diminuição dos depósitos cardíacos e melhora da sobrevida dos pacientes em 17 anos. Temos um paciente jovem em terapia de reposição hormonal no nosso serviço de Hemodiálise que teve melhora significativa do padrão cardiovascular e dos quadros algicos relacionados a Doença de Fabry</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
06/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tudo deve ser feito para melhorar a qualidade de vida de vida dos pacientes portadores de doenças genéticas ; o fato de haver tratamento único para esta doença genética , justifica o seu uso sim ; é o único meio de impedir a ptogresssao da doença disponível .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Trabalhos científicos evidenciaram q a terapia de reposição enzimática leva a melhora de sintomas, como por exemplo dor neuropatica e estabilização da evolução da doença, retardo da perda da função renal, e até mesmo.melhora da hipertrofia de ventrículo esquerdo</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, HA comprovacao científica de que a terapia de reposição enzimática promove melhora de sintomas e melhora na qualidade de vida dos pacientes</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Tendo em vista que a alfa-agalsidase é atualmente a única terapia disponível no Brasil para uma doença rara, irreversível e fatal, e que melhora desfecho clínico com estabilização da doença, me parece inadequada uma avaliação no sentido da não incorporação do medicamento. Além disso, o impacto orçamentário já existe já que a mesma é comprada através de demanda judicial</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
08/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É direito do paciente é dever do Estado em fornecer medicação e insumos para toda a população que necessita do tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
08/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. ha uma melhora geral nos paciente em uso das enzimas</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
08/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Há evidências científicas para seu uso em casos selecionados.</p> <p>2ª - Sim, Observar os seguintes artigos:  <a href="https://pure.uva.nl/ws/files/2403715/156615_Smid_thesis_complete.pdf#page=219">https://pure.uva.nl/ws/files/2403715/156615_Smid_thesis_complete.pdf#page=219</a> e  <a href="http://journals.plos.org/plosone/article?id=10.1371/journal.pone.0173358">http://journals.plos.org/plosone/article?id=10.1371/journal.pone.0173358</a>. Além disso uma das drogas disponíveis está aprovada pelo FDA, cuja análise é muito criteriosa:  <a href="https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/nda/2003/103979_toc.cfm">https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/nda/2003/103979_toc.cfm</a></p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Espero que a decisão não seja eminentemente financeira e sim técnica. Há evidências para seu uso em casos selecionados para quais deveria haver protocolo clínico de inclusão, não simplesmente negar.</p>	
09/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Este medicamento melhora a qualidade de vida das pessoas portadoras de doença de Fabry</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Somos únicos e como tais o Estado tem o dever de atender as demandas das necessidades das pessoas, neste caso das portadoras de Fabry.</p> <p>5ª - Não</p>	
09/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Opto por oferecer ao paciente a possibilidade da melhora da qualidade de vida, ainda que mínima. E também pelo fato de que esta melhora se dá relacionada também a diminuição de dor.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
09/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, Acompanhamento dos pacientes em uso da medicação. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, Acompanhamento clínico	
09/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Se eu tivesse a doença eu iria querer meu tratamento através do Ministério da Saúde 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
09/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação de alto custo que a população não tem como pagar ele sendo incorporada o custo terá menor valor 2ª - Sim, o estudo de Replagal de 10 anos que foi o único que aumentou a sobrevida dos pacientes em 17,5 anos. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A doença de Fabry é uma doença progressiva, potencialmente fatal e atualmente existem métodos de diagnóstico e tratamento disponível e devido a isso se faz necessário a incorporação de TRE.</p> <p>2ª - Sim, atualmente na clínica onde eu trabalho existe um paciente diagnosticado com doença de fabry e necessita de tratamento.Estima-se com Replagal (Alfa Galsidase) o paciente vive em media 17,5 anos a mais quando tratado evitando a progressão da doença renal, cardiaca e neurologica.</p> <p>3ª - Sim, De acordo com o parecer da conitec, o medicamento mais em conta e a Alfa Galsidase e com o mesmo valor investido hoje trataríamos um numero maior de pacientes.</p> <p>4ª - Sim, De acordo com o impacto orçamentario apresentado por vocês, o medicamento incorporado a longo prazo no SUS com menor preço e a Alfa Galsidase A.</p> <p>5ª - Sim, Existe a portaria 199, de acordo com a portaria todo paciente com doença rara tem direito de acesso, diagnostico e tratamento na rede publica, com a nao incorporação da medicação vai de acordo com o que esta descrito em portaria oficial.</p>	
09/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Considero o medicamento adequado e favorável para os pacientes que necessitam.</p> <p>2ª - Sim, Evidencia clinicas apontam benefícios.</p> <p>3ª - Sim, Com a incorporação, o custo do medicamento de acordo com proposta fica inferior aos praticados no momento, se tratando mais pessoas com mesmo valor.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Evidencias clinicas e diminuição do impacto econômico,</p>	
09/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da recomendação preliminar, pois existe a necessidade de incorporação da medicação e a que eu tenho experiência é Alfa Galsidase, facil manuseio e grande adesão por parte dos pacientes devido a infusao ser em 40minutos.</p> <p>2ª - Sim, A Doença de Fabry é uma doença de depósito lisossômico, progressiva e potencialmente fatal.O tratamento disponivel no brasi é a tre, tenho experiência com Alfa Galsidase, estima-se que o paciente tratado tem uma sobrevida de 17,5 x não tratado.Além de diminuir a progressão da doença cardiaca e renal, descrito nos estudo Beck at al 2015 e Fos (Fabry Outcome Survey).</p> <p>3ª - Sim, Com certeza e para beneficios dos pacientes, Alfa Galsidase além de eficácia e valor menos que o concorrente, atenderia um maior numero de doentes com o valor investido hoje.</p> <p>4ª - Sim, A longo prazo Alfa Galsidase se mostra com um impacto orçamentário menor e mais favoravel ao atual cenario brasileiro. Além de ter um menor custo depois de 5 anos de incorporação, atende um numero muito maior de pacientes.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, O estudo de seguimento de 5 anos da base Fabry Outcome Survey (FOS) comparou o tratamento com alfa-galactosidase e dados provenientes de 3 estudos de população com doença de Fabry não tratada. O grupo em tratamento com alfa-galactosidase apresentou menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda, além de sobrevida estimada de mais 17,5 anos (Beck et al. 2015).</p> <p>3ª - Sim, Sou a favor da incorporação de Alfa galactosidase por questões financeiras</p> <p>4ª - Sim, A longo prazo Alfa galactosidase mostrou um valor de incorporação menor vs. concorrente atendendo um número maior de pacientes com doença de Fabry.</p> <p>5ª - Não</p>	
09/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
09/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
09/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Doença de Fabry é uma patologia grave à longo prazo e já possui tratamento. È um contra-senso negar aos pacientes a oportunidade de estabilizar a doença. Seria o mesmo que negar ao diabético a insulina.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
09/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes diagnosticados com indicação de tratamento devem receber a enzima.</p> <p>2ª - Sim, Houve mudança do desfecho clínico em pacientes com a deficiência enzimática e que foram tratados com sua reposição.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
09/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
09/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Acho que deveriam rever principalmente para os casos em que existam formas de evolução mais grave</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
09/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	<a href="#">Clique aqui</a>
09/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
09/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo, porque existe comprovação científica da eficácia do medicamento. 2ª - Sim, Estudos com alfafalsidase apresentou menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda, além de sobrevida estimada de mais 17,5 anos (Beck et al. 2015). 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, O estudo de seguimento de 5 anos da base Fabry Outcome Survey (FOS) comparou o tratamento com alfafalsidase e dados provenientes de 3 estudos de população com doença de Fabry não tratada. O grupo em tratamento com alfafalsidase apresentou menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda, além de sobrevida estimada de mais 17,5 anos (Beck et al. 2015). Dados de uma análise retrospectiva de 10 anos de homens e mulheres com idade &#8805;14 anos recebendo tratamento com alfafalsidase demonstraram melhora nas funções cardíacas como sintomas de insuficiência cardíaca e angina (Kampmann et al. 2015).	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Se trata de doença rara, e atualmente envolve custo a união. Porém ao detectar-se paciente com a doença, com repercussão clínica,</p> <p>2ª - Sim, – Estudo de seguimento de 5 anos da base Fabry Outcome Survey (FOS) comparou o tratamento com alfafalsidase e dados provenientes de 3 estudos de população com doença de Fabry não tratada. O grupo em tratamento com alfafalsidase apresentou menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda, além de sobrevida estimada de mais 17,5 anos (Beck et al. 2015);– Dados de uma análise retrospectiva de 10 anos de homens e mulheres com idade &amp;#8805;14 anos recebendo tratamento com alfafalsidase demonstraram melhora nas funções cardíacas como sintomas de insuficiência cardíaca e angina (Kampmann et al. 2015);</p> <p>3ª - Sim, Se o paciente tiver acometimento renal, o tratamento evitará de levá-lo a uma terapia renal substitutiva ou ao transplante renal. Isto gera diiminuir chances de internação e tratamentos também caros, que levariam também a diminuição de custo para a união. o mesmo ocorrerá para acometimento cardíaco, que a longo prazo poderá levar o paciente a cirurgia cardíaca. Prevenir a evolução da doença, levará a diminuição de custo a médio e longo prazo. Lembrando aqui, que, se houver um paciente com o diagnóstico, outros familiares provavelmente terão o mesmo diagnóstico e riscos. E necessitarão também a tais intervenções dispendiosas.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Venho por meio desse formulário, sugerir a incorporação da Terapia de Reposição Enzimática para o tratamento da Doença de Fabry pelo Sistema único de Saúde, pois a terapia traz benefícios efetivos aos pacientes portadores desta condição em qualidade de vida, evolução da doença, lesões de diferentes órgãos e sistemas, sobrevida e mortalidade, além de resolver o problema da judicialização do tratamento e reduzir os gastos, pois permitirá negociação e redução de custos.</p>	
10/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente pelo fato da não incorporação da terapia como reposição enzimatica que irá impctar negativamente na vida do paciente portador e de seus familiares dessa doença rara chamada Fabry, Futuramente o sistema de saúde terá um custo bem maior tendo que tratar esses pacientes que não receberem tratamento adequado previamente, pois os mesmo irão desenvolver doenças multisistemicas que exigirá muito mais do sistema de saúde. Por isso minha opinião totalmente contra essa preliminar, creio que investir no paciente com tratamentos adequados o mais rápido possivel vai dar melhor qualidade de vida para o mesmo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O impacto orçamentário será muito maior se os paciente não receberem a medicação, pois mais tarde irão desenvolver doenças secundárias ao Fabry, que acarretará em maior custo para o sistema de saúde.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O relatório mostra claramente que não há diferenças significativas entre as 2 terapias existente e que ambas são eficazes. Mas o Replagal demonstrou ser 70% mais econômico aos cofres públicos, ou seja, com o mesmo valor investido hoje, o ministério trataria 72 a mais de fabry utilizando o replagal.</p> <p>2ª - Sim, O relatório mostra claramente que não há diferenças significativas entre as 2 terapias existente e que ambas são eficazes. Mas o Replagal demonstrou ser 70% mais econômico aos cofres públicos, ou seja, com o mesmo valor investido hoje, o ministério trataria 72 a mais de fabry utilizando o replagal.</p> <p>3ª - Sim, o Replagal demonstrou ser 70% mais econômico aos cofres públicos, ou seja, com o mesmo valor investido hoje, o ministério trataria 72 a mais de fabry utilizando o replagal.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
10/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Indico fortemente ,quando indicado,a terapia de reposição enzimática para pacientes com doença de Fabry ,visto a melhora clínica do paciente.</p> <p>2ª - Sim, Tenho 22 pacientes em terapia de reposição enzimática que obteve melhora clínica e laboratorial após o início do tratamento.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou médico, acompanho e trato pacientes com Doença de Fabry há mais de 10 anos, neste tempo envolvido com o processo de tratamento destes pacientes percebi e posso dizer que muita melhora houve nos pacientes , com melhora progressiva da qualidade de vida , melhora renal , cardíaca, neurológica e do quadro depressivo, inclusive com os pacientes voltando a vida laborativa</p> <p>2ª - Sim, Abensur-2001.pdf, Banikazemi,et al.pdf, Barsanger,INFORM, 2014-switch.pdf, El Dib. et al.pdf, Eng 2001.fase III FZ. pdf, Germain, 2015-10 anos.pdf, Kamer,et al 2017.pdf, Lendres, 2015 - anticorpos e desfechos.pdf, Mini Bula-Fabazyme.V005.pdf, Najafain,2013.bx.com GB3.pdf, Rombach, 2012.anticorpos e bioquímica.pdf, Skunes , 2017.dose cumulativa em adultos e desfechos.pdf, Tondel, 2013-dose cumulativa + tto precoce.pdf, Weidman,2014-switch.pdf</p> <p>3ª - Sim, Abensur-2001.pdf, Banikazemi,et al.pdf, Barsanger,INFORM, 2014-switch.pdf, El Dib. et al.pdf, Eng 2001.fase III FZ. pdf, Germain, 2015-10 anos.pdf, Kamer,et al 2017.pdf, Lendres, 2015 - anticorpos e desfechos.pdf, Mini Bula-Fabazyme.V005.pdf, Najafain,2013.bx.com GB3.pdf, Rombach, 2012.anticorpos e bioquímica.pdf, Skunes , 2017.dose cumulativa em adultos e desfechos.pdf, Tondel, 2013-dose cumulativa + tto precoce.pdf, Weidman,2014-switch.pdf</p> <p>4ª - Sim, Abensur-2001.pdf, Banikazemi,et al.pdf, Barsanger,INFORM, 2014-switch.pdf, El Dib. et al.pdf, Eng 2001.fase III FZ. pdf, Germain, 2015-10 anos.pdf, Kamer,et al 2017.pdf, Lendres, 2015 - anticorpos e desfechos.pdf, Mini Bula-Fabazyme.V005.pdf, Najafain,2013.bx.com GB3.pdf, Rombach, 2012.anticorpos e bioquímica.pdf, Skunes , 2017.dose cumulativa em adultos e desfechos.pdf, Tondel, 2013-dose cumulativa + tto precoce.pdf, Weidman,2014-switch.pdf</p> <p>5ª - Sim, Abensur-2001.pdf, Banikazemi,et al.pdf, Barsanger,INFORM, 2014-switch.pdf, El Dib. et al.pdf, Eng 2001.fase III FZ. pdf, Germain, 2015-10 anos.pdf, Kamer,et al 2017.pdf, Lendres, 2015 - anticorpos e desfechos.pdf, Mini Bula-Fabazyme.V005.pdf, Najafain,2013.bx.com GB3.pdf, Rombach, 2012.anticorpos e bioquímica.pdf, Skunes , 2017.dose cumulativa em adultos e desfechos.pdf, Tondel, 2013-dose cumulativa + tto precoce.pdf, Weidman,2014-switch.pdf</p>	
10/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Pacientes com diagnósticos não tratados podem evoluir para doença grave ou morte prematura, impactando na qualidade de vida. Há incapacidade laborativa por conta dos sintomas clínicos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Elevado custo da medicação, mas melhora da qualidade de vida o que impacta em menor necessidade de aposentadoria precoce.</p> <p>4ª - Sim, Elevado impacto, mas a existência de tratamento não pode ser negada a nenhum cidadão brasileiro, visto que todos tem direito a saúde.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
10/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. o benefício a longo prazo do tratamento dos pacientes é visível 2ª - Sim, 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	<a href="#">Clique aqui</a>
10/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Indico fortemente ,quando indicado,a terapia de reposição enzimática para pacientes com doença de Fabry ,visto a melhora clínica do paciente. 2ª - Sim, Tenho 22 pacientes em terapia de reposição enzimática que obteve melhora clínica e laboratorial após o início do tratamento. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
10/04/2018	Paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. uma doença tao grave dessa.temos que ficar esperando anos para a liberaçao enzimatica,o que e isso.vamos sus.precisamos urgente de ajuda. 2ª - Não 3ª - Sim, ... 4ª - Não 5ª - Não	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esta é uma enfermidade rara porem com alta morbidade - em pacientes jovens que evoluem para terapia renal substitutiva na 4 -5 década de vida, fora o fato de ser causa de acidente vascular encefálico em uma faixa etária jovem produtiva da sociedade. Estudos mostram que sua prevalencia em 1 % dos pacientes dialíticos o que hoje no brasil significaria aproximadamente - 1220 pessoas já com complicações graves - caras e de alta morbidade .</p> <p>2ª - Sim, Como a genese da doença é a A deficiência da &amp;#945; GAL-A determinando o acúmulo de glicosfingolípídios, principalmente oglobotriaosilceramida (GL-3 ou Gb3), em todo o organismo. É crescente o entendimento que o papel da reposição enzimática precoce junto ao diagnóstico precoce é capaz de modificar o curso natural da doença uma vez que o papel inflamatorio dos depositos lisosomais é minimizado, o que diminui a progressão e lesão final de orgaos alvo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Sabemos da responsabilidade de lidar com recursos finitos para uma população de milhares de pacientes, porém negar a unica possibilidade de tratamento, é algo que fere a um direito constitucional a saude. Acredito que analises mais profundas comparando gastos com reabilitação neurológica e terapia renal substitutiva deveriam ser comparados aos gastos co a TRE quando estamos estudando o impacto orcamentário do tratamento de uma doença de potencial tão morbido para uma faixa etária tão produtiva da sociedade. A analise simplesmente de impacto do uso da medicação deve ser feita com o que se gasta para deixar ela evoluir de forma natural.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
11/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Se tratando me uma doença rara na qual temos poucos recursos de tratamento e por estar envolvida em acometimento neurológico como AVC, acho que a droga traz benefícios na sobrevida e qualidade de vida dos pacientes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pois com o tratamento adequado evitaremos a evolução e complicações da doença.</p> <p>2ª - Sim, Dados publicados em literatura mostrando o benefício do tratamento precoce evitando evolução da doença, suas complicações o q gerariam muitas incapacidades futuras, piora na qualidade de vida do paciente além de custo mais elevado na assistência da saúde do paciente portador da doença.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O estado precisa fornecer o tratamento preventivo de outras doenças. Nesse caso o agravamento para doença renal.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem evidencia suficientes de melhoria da qualidade de vida e de todos os parametros de orgaos e sistemas acometidos pela doença de Fabry.</p> <p>2ª - Sim, Existem trabalhos importantes que evidenciam melhora substancial de todos os parametros avaliados, inclusive diminuição dos depositos de GL3 em podocitos analisados atraves de biopsias seriadas após terapia com betaagalsidase. Melhora dos parametros clinicos e laboratoriais com ambos os medicamentos.</p> <p>3ª - Sim, Deve-se levar em conta os custos advindos da ausencia de terapia, tais como pacientes que evoluem para terapia dialitica, episodios de AVC e todas suas comorbidades relacionadas, entre outros.</p> <p>4ª - Sim, O impacto orçamentario deve ser analisado englobando todo o custo social e material associado a doença de Fabry. Não se deve analisar o impacto financeiro apenas. Lembrar sempre dos custos associados a ausencia de terapia.</p> <p>5ª - Sim, Acredito ser importante a criação de um protocolo de tratamento de doença de Fabry envolvendo todas as particularidades da doença de Fabry, levando-se em conta o tipo de mutação, o sexo do paciente, o historico familiar, os exames atuais, o prognostico do paciente, criando mecanismos que direcionem para a necessidade</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/04/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esta proposta é um absurdo, porque faço uso da Terapia de reposição enzimática desde 2009 e minha saúde tem se mantido graças ao tratamento.</p> <p>2ª - Sim, A minha função renal que tem sido preservada.</p> <p>3ª - Sim, Impossível os pacientes assumirem o custo do medicamento.</p> <p>4ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Não é o que a Constituição nos garante? Impacto orçamentário para quem? Não é uma obrigação?</p> <p>5ª - Sim, Eu acho muito fácil e vocês não sabem da necessidade e importância de serem favoráveis a incorporação do beta-agalsidase como terapia de reposição enzimática na doença de Fabry no SUS porque nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento. Nós temos passado pelo sofrimento e sabemos o quanto o tratamento foi uma luz no fim do túnel, que tem mantido nossas vidas.</p>	
11/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como nefrologista acompanho alguns pacientes com a doença e vemos na prática clínica a resposta ao tratamento, evitando o aumento da morbimortalidade e as doenças crônicas decorrentes.</p> <p>2ª - Sim, Como nefrologista acompanho alguns pacientes com a doença e vemos na prática clínica a resposta ao tratamento, evitando o aumento da morbimortalidade e as doenças crônicas decorrentes.</p> <p>3ª - Sim, O não tratamento aumenta as doenças crônicas e tratamentos específicos como hemodialise, transplante renal, internações, auxílios doenças, aposentadorias por doenças, manter pessoas ativas em suas atividades econômicas.</p> <p>4ª - Sim, Gasto com prevenção nas doenças crônicas, mantendo população ativa</p> <p>5ª - Não</p>	
11/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como mostrar os trabalhos o uso da alfa e beta agalsidase aumenta em mais de 10 a sobrevida dos pacientes com doença de Fabry</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como mostrar os trabalhos o uso da alfa e beta agalsidase aumenta em mais de 10 a sobrevida dos pacientes com doença de Fabry</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantém ativos, trabalhando</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Vocês nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes, quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel, tem mantido a vida da minha irmã e meu sobrinho</p>	
12/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O uso da alfa-agalsidase e beta-agalsidase como terapia de reposição enzimática na doença de Fabry reduz significamente a mortalidade deste grupo, além de reduzir significamente os eventos clínicos cardíacos, renais e cerebrovasculares.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. AS PESSOAS DA FAMÍLIA E AMIGOS RECEBEM A REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA DESDE 2009 E DEPENDEM DELA PARA A MANUTENÇÃO DA SAÚDE E DA VIDA.</p> <p>2ª - Sim, OS PACIENTES DA FAMÍLIA E AMIGOS QUE RECEBEM A REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA TEM A FUNÇÃO RENAL PRESERVADA.</p> <p>3ª - Sim, MEDICAÇÃO DE ALTO CUSTO, OS PACIENTES NECESSITAM DO FORNECIMENTO DA MESMA PELO ESTADO</p> <p>4ª - Sim, APESAR DO ALTO CUSTO, O ESTADO FORNECENDO A MEDICAÇÃO, DIMINUI O SOFRIMENTO DOS PACIENTES, CONTROLAM A EVOLUÇÃO DA DOENÇA E OS MANTÉM ATIVOS, TRABALHANDO</p> <p>5ª - Sim, SAÚDE É UM DIREITO DE TODOS E DEVER DO ESTADO. VOCÊS NUNCA PASSARAM POR UMA SITUAÇÃO DE TER UM FAMILIAR E AMIGOS CLAMANDO POR SOCORRO COM DORES TERRÍVEIS, QUANDO O ESTADO FALTOU COM O FORNECIMENTO DO MEDICAMENTO. O TRATAMENTO ATRAVÉS DA REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA FOI UMA LUZ NO FINAL DO TÚNEL, E TEM MANTIDO A VIDA DE FAMILIARES E AMIGOS.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação em questão apesar de ser tratamento para doença rara possibilita que esses pacientes tenham um benefício muito grande em usar tal medicação, inclusive evitando o ingresso em hemodiálise que do ponto de vista financeiro impacta em grandes custos para o sistema de saúde.</p> <p>2ª - Sim, Schiffmann R. et al. e colaboradores conduziram um estudo clínico duplo cego, controlado por placebo para avaliação da eficácia e segurança da alfacalsidase, 0,2mg/kg em semanas alternadas em 26 pacientes homens &gt; 18 anos com doença de Fabry. Foi reportada diminuição no nível de gravidade de dor neuropática, avaliada de acordo com a questão 3 do Brief Pain Inventory (BPI) em pacientes tratados com alfacalsidase (6,2 a 4,3) comparada com nenhuma mudança significativa em pacientes no grupo placebo (P = 0,02), assim como diminuição na qualidade de vida relacionada à dor no grupo tratado com alfacalsidase (3,2 a 2,1 grupo alfacalsidase versus 4,8 a 4,2 no grupo placebo (P = 0,05). Nos rins, foram observadas reduções nos glomérulos com alargamento mesangial em média 12,5% para pacientes tratados com alfacalsidase versus aumento de 16,5% no grupo placebo (P = 0,01), além de aumento na depuração média de creatinina e diminuição da depuração de inulina em pacientes do grupo de alfacalsidase. Também notou-se 50% de redução dos níveis plasmáticos de glicoesfingolipídios, melhora significativa da condução cardíaca e aumento no peso corporal. Um estudo randomizado, duplo-cego e controlado por placebo incluiu 15 adultos homens com doença de Fabry para avaliação dos efeitos da terapia com alfacalsidase (0,2 mg/Kg a cada 15 dias) na estrutura e função cardíaca. Para a avaliação, os seguintes parâmetros foram medidos no início e no sexto mês após tratamento: massa ventricular esquerda, duração QRS e níveis de Gb3 no tecido cardíaco, urina e plasma. Após 6 meses de tratamento com alfacalsidase, houve redução significativa da massa ventricular esquerda, medida através de ressonância magnética, comparada ao grupo controle com placebo (p = 0,041), além de redução média de 20% de conteúdo miocárdico de Gb3 versus aumento médio de 10% em pacientes que receberam placebo (p=0,42). Title: Local Scientific Response Template, Document No.: RD FORM-0250 Rev.2 Page No.: 3 of 6 A diminuição observada dos níveis de Gb3 no plasma e no sedimento de urina após 6 meses de tratamento com alfacalsidase refletem aumento do metabolismo do Gb3 acumulado e provável redução no seu armazenamento patogênico no tecido. As infusões, em geral, foram bem toleradas. Apenas um paciente experimentou reação relacionada à infusão. Foram detectados anticorpos IgG contra a alfacalsidase em três pacientes. Nenhum paciente desenvolveu anticorpos IgE, IgA ou IgM. Não houve eventos adversos graves relacionados às infusões da alfacalsidase (Hugues et al. 2008)</p> <p>3ª - Sim, Entre outros benefícios, a manutenção dos pacientes com saúde e potencial produtivo diminui os custos com benefícios de saúde, sem contar com os custos associados à doença renal terminal ocasionada na maioria dos casos sem tratamento e do impacto econômico de custear um paciente em hemodiálise para o Sistema Único de Saúde.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. AS PESSOAS DA FAMÍLIA E AMIGOS RECEBEM A REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA DESDE 2009 E DEPENDEM DELA PARA AMANUTENÇÃO DA SAÚDE E DA VIDA.</p> <p>2ª - Sim, OS PACIENTES DA FAMÍLIA E AMIGOS QUE RECEBEM A REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA TEM A FUNÇÃO RENAL PRESERVADA.</p> <p>3ª - Sim, MEDICAÇÃO DE ALTO CUSTO, OS PACIENTES NECESSITAM DO FORNECIMENTO DA MESMA PELO ESTADO</p> <p>4ª - Sim, APESAR DO ALTO CUSTO, O ESTADO FORNECENDO A MEDICAÇÃO, DIMINUI O SOFRIMENTO DOS PACIENTES,CONTROLAM A EVOLUÇÃO DA DOENÇA E OS MANTÉM ATIVOS, TRABALHANDO</p> <p>5ª - Sim, SAÚDE É UM DIREITO DE TODOS E DEVER DO ESTADO. VOCÊS NUNCA PASSARAM POR UMA SITUAÇÃO DE TER UMFAMILIAR E AMIGOS CLAMANDO POR SOCORRO COM DORES TERRÍVEIS, QUANDO O ESTADO FALTOU COM OFORNECIMENTO DO MEDICAMENTO. O TRATAMENTO ATRAVÉS DA REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA FOI UMA LUZ NO FINALDO TÚNEL, E TEM MANTIDO A VIDA DE FAMILIARES E AMIGOS.</p>	
12/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pessoas dependem deste tratamento para sobreviver.</p> <p>2ª - Sim, Fui informado que pacientes submetidos à reposição enzimática tem as funções renais preservadas.</p> <p>3ª - Sim, Tratamento de alto custo, necessita-se de subsídio governamental para atendimento equitativo.</p> <p>4ª - Sim, O poder Público deve ser responsivo às gravidades máximas da saúde pública, que vem ao caso de um tratamento tão específico e custoso.</p> <p>5ª - Sim, Até o último recurso, prioritariamente, a saúde é um direito universal, a preservação da vida um dever de todos.</p>	
12/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. AS PESSOAS DA FAMÍLIA E AMIGOS RECEBEM A REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA DESDE 2009 E DEPENDEM DELA PARA AMANUTENÇÃO DA SAÚDE E DA VIDA.</p> <p>2ª - Sim, OS PACIENTES DA FAMÍLIA E AMIGOS QUE RECEBEM A REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA TEM A FUNÇÃO RENAL PRESERVADA.</p> <p>3ª - Sim, MEDICAÇÃO DE ALTO CUSTO, OS PACIENTES NECESSITAM DO FORNECIMENTO DA MESMA PELO ESTADO</p> <p>4ª - Sim, APESAR DO ALTO CUSTO, O ESTADO FORNECENDO A MEDICAÇÃO, DIMINUI O SOFRIMENTO DOS PACIENTES,CONTROLAM A EVOLUÇÃO DA DOENÇA E OS MANTÉM ATIVOS, TRABALHANDO</p> <p>5ª - Sim, SAÚDE É UM DIREITO DE TODOS E DEVER DO ESTADO. VOCÊS NUNCA PASSARAM POR UMA SITUAÇÃO DE TER UMFAMILIAR E AMIGOS CLAMANDO POR SOCORRO COM DORES TERRÍVEIS, QUANDO O ESTADO FALTOU COM OFORNECIMENTO DO MEDICAMENTO. O TRATAMENTO ATRAVÉS DA REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA FOI UMA LUZ NO FINALDO TÚNEL, E TEM MANTIDO A VIDA DE FAMILIARES E AMIGOS.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A terapia com a Replagal(alfagalsidase) melhora significativamente a vida dos pacientes com a Doença de Fabry. Não é aceitável privá-los do acesso a um tratamento que vai mudar significativamente a sua condição de saúde.</p> <p>2ª - Sim, Pacientes portadores da Doença de Fabry, que fazem reposição enzimática com Replagal(alfagalsidase) apresentam melhora significativa da qualidade de vida, principalmente relacionada a dor neuropática; retarda complicações graves, principalmente envolvendo órgãos como coração, rins e cérebro. Além de ter uma sobrevida de 17,5 anos. Isso é muito significativo para uma terapia medicamentosa.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
12/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Fiz o acompanhamento de pacientes de Fabry em Terapia de Reposição Enzimática e pude observar melhora clínica nos pacientes, com diminuição das crises de dor neuropática, que se traduz em maior qualidade de vida, uma vez que as dores podem se apresentar incapacitantes. Foi observado ainda retardo no declínio da função renal, evitando hemodiálise e transplante renal precoces.</p> <p>3ª - Sim, A média de custo da Terapia de Reposição Enzimática para a doença de Fabry fica entre 20 e 36 mil reais por mês, um valor alto que impede o acesso do paciente ao tratamento com recursos próprios.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo do tratamento, com a diminuição das crises de dor, diminuem também as internações do paciente, e com o retardo do declínio da função renal, posterga-se o início da terapia dialítica e a necessidade de transplante renal, dois tratamentos também bastante onerosos para o SUS.</p> <p>5ª - Sim, Artigo 196 da Constituição Federal de 1988 - “A saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação.”</p>	
12/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. as pessoas da familia recebem a reposicao enzimatica desde 2009 e dependem para a manutencao de sua vidas</p> <p>2ª - Sim, Vejo as pessoas da familia com a saude preservada com o uso da medicao.</p> <p>3ª - Sim, Nao é possivel, devido ao alto custo que uma pessoa compre,por isso deve ser uma obrigacao do Estado</p> <p>4ª - Sim, Sao pessoas que mantem sua saude e capacidade laborativa.</p> <p>5ª - Sim, pessoas de meu circulo familiar dependem desta enzima para continuarem vivas, nao pode ser uma questao orçamentaria.</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes desta família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento desses pacientes e controlam a evolução da doença e os mantém ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Só quem tem um parente ou amigos clamando por socorro com dores excruciantes, quando o Estado faltou como o fornecimento do medicamento pode avaliar. O tratamento através da reposição enzimática tem mantido as vidas de amigos e parentes.</p>	
12/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A reposição enzimática é de extrema necessidade para a manutenção da saúde do paciente.</p> <p>2ª - Sim, Os paciente que recebem a reposição enzimática têm a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Esta é uma medicação de alto custo e os paciente necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o fornecimento da medicação pelo Estado controla a evolução da doença e mantém os pacientes ativos (trabalhando). Dessa forma, se diminui a morbidade dos pacientes, evitando gastos com internações, por exemplo.</p> <p>5ª - Não</p>	
12/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. As pessoas da familia recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim, Custo alto do medicamento, os pacientes precisam do fornecimento pelo Estado</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, O Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução do doença e os mantem ativos, trabalhando</p> <p>5ª - Não</p>	
12/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Seria uma possibilidade de reduzir custos para uma droga com eficacia na melhora da qualidade de vida do paciente.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/04/2018	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde 2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada 3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da medicação pelo Estado 4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes controla a evolução da doença. 5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2008 e dependem dela para a manutenção da saúde</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da familia que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo , os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo , o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes , controlam a evolução da doença e os mantêm ativos , trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Vocês nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes, quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel, tem mantido a vida dos meus familiares .</p>	
12/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Necessidade do tratamento para melhora da qualidade de vida dos pacientes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Os pacientes necessitam que o medicamento seja fornecido pelo Estado por ser de alto custo.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas são dependentes da reposição enzimática e a recebem há muitos anos.</p> <p>2ª - Sim, A reposição enzimática é essencial para o bom funcionamento dos rins.</p> <p>3ª - Sim, A medicação é de alto custo e imprescindível para que os pacientes levem uma vida normal.</p> <p>4ª - Sim, Sem os medicamentos os pacientes nem conseguem trabalhar, o que, eventualmente, pode acarretar em mais problemas para o Estado.</p> <p>5ª - Sim, O Estado deve ajudar as pessoas nas questões relativas à saúde. A falta da reposição enzimática fará muitos sofrerem não só as dores que acompanham a doença, mas também resultará em maior dependência e invalidez dessas pessoas.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. as pessoas da familia recebem a reposição desde 2009 e dependem dela pra ter saude</p> <p>2ª - Sim, as pessoas que recebem a reposição enzimatica tem a função renal preservada</p> <p>3ª - Sim, a medicação é de alto custo e as pessoas da familia necessitam que o Estado forneça</p> <p>4ª - Sim, apesar do alto custo, se o Estado fornecer o medicamento, diminuirá o sofrimento dos pacientes,controla a evolução da doença e os mantem ativos</p> <p>5ª - Sim, Saude é um direito de todos, e o sofrimento que o paciente apresenta sem o medicamento que não recebeu de todos é enorme. O medicamento lhes dá um conforto e uma vida mais digna e os mantem ativos</p>	
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O RELATÓRIO AFIRMA HAVER INCERTEZA QUANTO AOS BENEFÍCIOS TRAZIDOS NA MUDANÇA DA HISTÓRIA NATURAL DA DOENÇA E AOS CRITÉRIOS DE INCLUSÃO E EXCLUSÃO. ENTRETANTO, BASEIA-SE EM UM CONTEXTO DE ANÁLISE CIENTÍFICA DE TRABALHOS CLARAMENTE LIMITADOS QUANTO À ANÁLISE ESTATÍSTICA, DEVIDO AO NUMERO REDUZIDO DE SUAS AMOSTRAS, OBVIAMENTE PELA RARIDADE DA AFECÇÃO.AO ANALISARMOS DE FORMA QUALITATIVA A LITERATURA, HÁ VASTA REFERÊNCIA A DESFECHOS CLÍNICOS POSITIVOS BEM COMO VÁRIAS REFERÊNCIAS À REDUÇÃO DE ACÚMULO DE GL3 NO ORGANISMO.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Relatório de não recomendação da TRE para a Doença de Anderson - Fabry paradoxal</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. É uma terapia comprovadamente benéfica.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As duas medicações são moléculas similares, porém a beta agalsidase, tem dose recomendada de 1mg/kg e a alfa agalsidase, dose recomendada de 0,2mg/kg. A beta agalsidase, por utilizar uma dose 5x maior, tem maior eficiência em limpar o depósito do GL-3, portanto uma maior eficácia no tratamento. esta tem diversos artigos na literatura médica comprovando sua eficácia em prevenir as complicações da doença, como acidente vascular encefálico, infarto agudo do miocárdio e insuficiência renal crônica progressiva, com necessidade de hemodiálise e transplantes renais, todas situações que oneram extensamente o sistema de saúde, mais do que o custo efetivo do tratamento para prevenção.</p> <p>2ª - Sim, O medicamento Fabrazyme® (agalsidase beta) fez o seu estudo clínico de fase III com 56 pacientes, realizou biópsia de pele, coração e rim destes, e provou que o medicamento promovia retirada do depósito das células epiteliais em seis meses. (Christine M. Eng, M.D., Nathalie Guffon, M.D., William R. Wilcox, M.D., Ph.D., Dominique P. Germain, M.D., Ph.D., Philip Lee, M.R.C.P., D.M., Ph.D., Steve Waldek, M.B., B.Ch., Louis Caplan, M.D., Gabor E. Linthorst, M.D., and Robert J. Desnick, Ph.D., M.D., for the International Collaborative Fabry Disease Study Group N Engl J Med 2001; 345:9-16).O medicamento Replagal® (agalsidase alfa) fez seu estudo clínico de fase III tendo como desfecho principal a dor, não existindo biópsias para comprovar a depuração do depósito em órgãos-alvo.Posteriormente uma nefrologista pediátrica da Noruega (Dr. Camille Tondel) realizou estudo com as duas medicações, e demonstrou que com qualquer uma das medicações, foi necessária uma dose de 1mg/kg/infusão para retirar depósitos em células renais profundas (podócitos), que são relacionadas à insuficiência renal. (Rannveig Skrunes, Einar Svarstad, Kristin Kampevold Larsen, Sabine Leh, Camilla Tøndel; Reaccumulation of globotriaosylceramide in podocytes after agalsidase dose reduction in young Fabry patients. Nephrol Dial Transplant 2016 gfw094. doi: 10.1093/ndt/gfw094).Não existe publicação de realização de biópsias renais de pacientes em uso de Replagal®.Salientamos que a dose recomendada na bula do Fabrazyme® é de 1mg/kg/infusão e que a do Replagal® é de 0,2mg/kg/infusão.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trabalho numa empresa onde tem pacientes que tratam da doença e ouço os benefícios que o medicamento proporciona.</p> <p>2ª - Sim, Artigo obtido através colega de trabalho.</p> <p>3ª - Sim, Na minha opinião, quantos mais pacientes estiverem sendo atendidos, o custo reduz drasticamente e como o mesmo gasto atual, pode-se atender um número maior de beneficiários.</p> <p>4ª - Sim, Na minha opinião, quantos mais pacientes estiverem sendo atendidos, o custo reduz drasticamente e como o mesmo gasto atual, pode-se atender um número maior de beneficiários.</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A TRE para Doença de Fabry é o único tratamento disponível e seguro para os pacientes com essa doença.</p> <p>2ª - Sim, O acompanhamento dos pacientes com doença de Faby em nosso serviço em vigência de TRE demonstrou uma melhora satisfatória da qualidade de vida, com melhora da dor, estabilização dos quadros renais e cardiológicos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A TRE tem para doença de Fabry, è no momento o unico tratamento disponivel e seguro para os pacientes com esta afecção.</p> <p>2ª - Sim, O acompanhamento dos pacientes com TRE, apresentou resultados satisfatorios, principalmente com relação a qualidade de vida, melhora da dor, e alguns pacientes com melhora do quadro renal e cardiaco.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. PARECER DESFAVORAVEL AOS PACIENTES</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Pacientes de baixa renda não conseguem ter acesso a medicação, o que trás muito sofrimento</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. os estudos mais prolongados, com mais de dois anos de doença fabry mostram grande beneficio clinico e de impacto positivo na vida do paciente com tre com betaagalsidase</p> <p>2ª - Sim, os pacientes com doença de fabry do nosso serviço com tre com beta-agalsidase apresentarm melhora clinica do quadro de acroparestesias, estabilização do quadro renal e melhora do quadro cardiaco, portanto melhora da qualidade de vida e bem estar</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Eficácia/Efetividade de Replagal® (alfagalsidase) no Tratamento da Doença de FabryResumo• REPLAGAL (alfagalsidase) é indicado para terapia crônica de reposição enzimática em pacientes com diagnóstico confirmado de doença de Fabry (Bula Replagal).• Um estudo duplo cego e controlado por placebo avaliou eficácia e segurança do tratamento com alfagalsidase em pacientes homens maiores de 18 anos. Observou-se melhora nos parâmetros avaliados como dor neuropática, qualidade de vida relacionada à dor, função renal, níveis plasmáticos de glicosíngolípídios e função cardíaca (Schiffmann R. et al. 2001).• O estudo de fase 3, randomizado e controlado por placebo em 15 pacientes homens reportou uma redução significativa na massa ventricular esquerda em pacientes tratados com alfagalsidase 0,2 mg/kg em semanas alternadas por 6 meses (Hughes et al. 2008).• O estudo de seguimento de 5 anos da base Fabry Outcome Survey (FOS) comparou o tratamento com alfagalsidase e dados provenientes de 3 estudos de população com doença de Fabry não tratada. O grupo em tratamento com alfagalsidase apresentou menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda, além de sobrevida estimada de mais 17,5 anos (Beck et al. 2015).• Dados de uma análise retrospectiva de 10 anos de homens e mulheres com idade &amp;#8805;14 anos recebendo tratamento com alfagalsidase demonstraram melhora nas funções cardíacas como sintomas de insuficiência cardíaca e angina (Kampmann et al. 2015).ContextoA doença de Fabry se caracteriza pela deficiência da enzima lisossomal alfa galactosidase A, levando ao acúmulo de glicosíngolípídios, principalmente globotriaosilceramida (Gb3) no endotélio vascular e camada muscular lisa, nos cardiomiócitos, neurônios e células do compartimento renal, determinando uma doença multissistêmica. Entre as manifestações clínicas, apresentam-se: acroparestesia, hipoidrose, angioqueratoma, diminuição da acuidade auditiva, alterações do funcionamento intestinal, proteinúria e diminuição da função renal, hipertrofia de ventrículo esquerdo e doença cerebrovascular (Parini e Feriozzi 2013; Sestito et al. 2013).É uma doença genética com padrão de herança ligado ao cromossomo X o que determina as diferenças em relação às manifestações clínicas em homens e mulheres (Parini e Feriozzi 2013).Title: Local Scientific Response Template, Document No.: RD FORM-0250 Rev.2Page No.: 1 of 6 A terapia de reposição enzimática para o tratamento da doença de Fabry foi introduzida em 2001 e tem demonstrado eficácia na melhora de sintomas e estabilização da evolução da doença (Schiffmann et al. 2001; Branton et al. 2002; Spinelli et al. 2004; Hilz et al. 2004).Dados clínicosEstudo duplo-cego e controlado por placeboSchiffmann R. et al. e colaboradores conduziram um estudo clínico duplo cego, controlado por placebo para avaliação da eficácia e segurança da alfagalsidase, 0,2 mg/kg em semanas alternadas em 26 pacientes homens &gt; 18 anos com doença de Fabry. Foi reportada diminuição no nível de gravidade de dor neuropática, avaliada de acordo com a questão 3 do Brief Pain Inventory (BPI) em pacientes tratados com alfagalsidase (6,2 a 4,3) comparada com nenhuma mudança significativa em pacientes no grupo placebo (P = 0,02), assim como diminuição na qualidade de vida relacionada a dor no grupo tratado com alfagalsidase (3,2 a 2,1 grupo alfagalsidase versus 4,8 a 4,2 no grupo placebo (P = 0,05). Nos rins, foram observadas reduções nos glomérulos com alargamento mesangial em média 12,5% para pacientes tratados com alfagalsidase versus aumento de 16,5% no grupo placebo (P = 0,01), além de aumento na depuração média de creatinina e diminuição da depuração de inulina em pacientes do grupo de alfagalsidase. Também notou-se 50% de redução dos níveis plasmáticos de</p>	



glicosíngolipídios, melhora significativa da condução cardíaca e aumento no peso corporal. Com respeito aos dados de segurança, o tratamento com alfa-galactosidase foi bem tolerado, a maioria dos eventos relatados geralmente são sintomas observados em pacientes com a doença de Fabry, como constipação, crise de dor abdominal e perda auditiva. Oito dos 14 pacientes no grupo em tratamento com alfa-galactosidase apresentaram reações leves relacionadas à infusão. Estudo randomizado, duplo-cego e controlado por placebo Um estudo randomizado, duplo-cego e controlado por placebo incluiu 15 adultos homens com doença de Fabry para avaliação dos efeitos da terapia com alfa-galactosidase (0,2 mg/Kg a cada 15 dias) na estrutura e função cardíaca. Para a avaliação, os seguintes parâmetros foram medidos no início e no sexto mês após tratamento: massa ventricular esquerda, duração QRS e níveis de Gb3 no tecido cardíaco, urina e plasma. Após 6 meses de tratamento com alfa-galactosidase, houve redução significativa da massa ventricular esquerda, medida através de ressonância magnética, comparada ao grupo controle com placebo ( $p = 0,041$ ), além de redução média de 20% de conteúdo miocárdico de Gb3 versus aumento médio de 10% em pacientes que receberam placebo ( $p=0,42$ ). Title: Local Scientific Response Template, Document No.: RD FORM-0250 Rev.2 Page No.: 2 of 6 A diminuição observada dos níveis de Gb3 no plasma e no sedimento de urina após 6 meses de tratamento com alfa-galactosidase refletem aumento do metabolismo do Gb3 acumulado e provável redução no seu armazenamento patogênico no tecido. As infusões, em geral, foram bem toleradas. Apenas um paciente experimentou reação relacionada à infusão. Foram detectados anticorpos IgG contra a alfa-galactosidase em três pacientes. Nenhum paciente desenvolveu anticorpos IgE, IgA ou IgM. Não houve eventos adversos graves relacionados às infusões da alfa-galactosidase (Hugues et al. 2008). Fabry Outcome Survey A maioria dos dados de eficácia em longo prazo da terapia de reposição enzimática é obtida a partir de estudos observacionais (Mehta et al. 2010). A base de dados Fabry Outcome Survey (FOS) foi desenvolvida para reunir dados clínicos europeus sobre a história natural da doença e monitorar a eficácia em longo prazo e a segurança do tratamento de reposição enzimática (Mehta et al. 2004). Em 2015, Beck M. e colaboradores publicaram os dados de seguimento de 5 anos da base FOS em comparação com os dados provenientes de 3 estudos de população com Doença de Fabry não tratada. Os seguintes desfechos foram avaliados: taxa anualizada de mudança na filtração glomerular estimada (eGFR), índice de massa ventricular esquerda, idade e tempo para ocorrência de desfechos clínicos e morte. A população do FOS avaliada incluiu 740 homens tratados com alfa-galactosidase e seguidos por um período de 5 anos. Comparados ao grupo sem tratamento, pacientes tratados com alfa-galactosidase apresentaram menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda. Homens tratados que apresentavam taxa de filtração glomerular  $<60$  mL/min/1,73 m<sup>2</sup> apresentaram uma diminuição média anualizada na taxa de filtração glomerular de  $-2,86$  mL/min/1,73 m<sup>2</sup> comparado com  $-6,8$  mL/min/1,73 m<sup>2</sup> na população não tratada (tabela 1). O aumento médio da massa do ventrículo esquerdo foi de  $0,33$  g/m<sup>2</sup>.7 por ano nos homens e  $0,48$  nas mulheres comparados com  $4,07$  para homens não tratados e  $2,31$  para mulheres não tratadas. Os primeiros eventos e óbitos ocorreram mais tardiamente no grupo que recebeu tratamento quando comparado com o grupo não tratado, sendo a estimativa da mediana de sobrevivência nos homens tratados de 77.5 anos em comparação com 60 anos nos homens que não receberam tratamento. Title: Local Scientific Response Template, Document No.: RD FORM-0250 Rev.2 Page No.: 3 of 6 Tabela 1: Mudança anual da taxa de filtração glomerular em grupos tratados e não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>tratados com Replagal (Beck et al. 2015) Subgrupos Pacientes tratados FOS Pacientes sem tratamento</p> <p>n Média anual da Mudança na Taxa de Filtração Glomerular (eGFR) mL/min/1,73 m<sup>2</sup>/ano</p> <p>n Média anual da mudança na Taxa de Filtração Glomerular (eGFR) mL/min/1,73 m<sup>2</sup>/ano Basal eGFR</p> <p>&amp;#8805;60 mL/min/1,73 m<sup>2</sup> Homens 117 -1,68 (0,19) [-2,05 to -1,31] 117 -3,0 (0,1) Mulheres</p> <p>111 -0,43 (0,21) [-0,83 to -0,02] 42 -0,9 (0,9) Basal eGFR &lt;60 mL/min/1,73 m<sup>2</sup> Homens 18 -2,86 (0,53)</p> <p>[-3,90 to -1,83] 28 -6,8 (1,5) Mulheres 22 0,36 (0,42) [-0,47 to 1,19] 13 -2,1 (1,6) Proteinúria</p> <p>basal &amp;#8805;1 g/24 hours Homens 16 -4,76 (0,56) [-5,85 to -3,66] 22 -6,9 (1,5) Mulheres 17 -0,41</p> <p>(0,51) [-1,42 to 0,59] 5 -4,6 (2,3) Proteinúria basal 0.1 to 1.0 g/24 hours Homens 74 -1,62 (0,23) [-</p> <p>2,08 to -1,17] 21 -3,3 (1,8) Mulheres 70 -0,44 (0,26) [-0,95 to 0,07] 17 -2,2 (2,2) Proteinúria</p> <p>urinária &lt;0.1 g/24 hours Homens 15 -1,32 (0,48) [-2,26 to -0,38] 18 -1,6 (1,5) Mulheres 22 -0,16</p> <p>(0,42) [-0,97 to 0,66] 7 -0,6 (2,6) aDado extraído da seguinte publicação: Schiffmann R, Warnock DG,</p> <p>Banikazemi M, et al. Fabry disease: progression of nephropathy, and prevalence of cardiac and</p> <p>cerebrovascular events before enzyme replacement therapy. Nephrol Dial Transplant. 2009;24(7):2102-</p> <p>11.Nota: Os valores são expressos como média (erro padrão da média) [95% intervalo de</p> <p>confiança).eGFR=estimated glomerular filtration rate (taxa de filtração glomerular estimada); FOS=Fabry</p> <p>Outcome Survey. Title: Local Scientific Response Template, Document No.: RD FORM-0250 Rev.2Page No.: 4</p> <p>of 6Tabela 2. Progressão da cardiomiopatia, taxa de alteração da massa ventricular esquerda indexada pela</p> <p>altura, em pacientes estratificados pela presença ou ausência de HVE no início dos estudos. Estado basal n</p> <p>de HVEFOSCoorte cardíaca tratadaDados do estudo Kampmann et al. 2008 (não-tratados)n39 4,07 (1,03)Não</p> <p>disponívelb39 2,31 (0,81)Não disponívelbMédia anual de massa ventricular esquerda indexada pela altura</p> <p>(Erro padrão da média) [95% IC]a, g/m<sup>2</sup>,7/ano HomensTotalSem HVEMulheresTotalSem HVE7142 93480,33</p> <p>(0,10) [0,13; 0,53]0,47 (0,13) [0,22; 0,72]0,48 (0,09) [0,30; 0,66]0,19 (0,11) [-0,03; 0,41] HVE29 0,19 (0,16) 18</p> <p>6,59 (8,5) [-0,13; 0,50] HVE45 0,77 (0,14) 15 3,77 (7,7) [0,49; 1,05] IC, intervalo de confiança; FOS, Fabry</p> <p>Outcome Survey; HVE, hipertrofia ventricular esquerdaaPeríodo mediano de seguimento: FOS 5,2 (1,5 a 11,4)</p> <p>anos; Kampmann et al. 2008, 4,5 (1,1 a 9,0) anos.bDados para IC 95% não publicadosKampmann et al. (2015)</p> <p>avaliaram retrospectivamente os dados de registros médicos de pacientes que receberam alfa-galactosidase por</p> <p>aproximadamente 10 anos (n=45). A população incluiu homens e mulheres com idade &amp;#8805;14 anos.Os</p> <p>sintomas de insuficiência cardíaca melhoraram após 10 anos de tratamento conforme evidenciado pela</p> <p>alteração na classificação de NYHA (New York Heart Association), melhora em 1 classe em 22/42 pacientes,</p> <p>sintomas de angina permaneceram estáveis (n=26) ou melhoraram (n=15) em 41 pacientes. Com respeito a</p> <p>hipertrofia ventricular esquerda (HVE), nenhum paciente previamente não apresentando HVE a desenvolveu</p> <p>durante o tratamento e aqueles que apresentavam HVE no início da análise nenhum apresentou diminuição</p> <p>da massa ventricular esquerda. Title: Local Scientific Response Template, Document No.: RD FORM-0250</p> <p>Rev.2Page No.: 5 of 6ReferênciasBeck M, Hughes D, Kampmann C et al. Long-term effectiveness of agalsidase</p> <p>alfa enzyme replacement in Fabry disease: a Fabry Outcome Survey Analysis. Mol Genet Metab Rep.</p> <p>2015;3:21-27Branton MH, Schiffmann R, Sabnis SG et al. Natural history of Fabry renal disease: influence of</p> <p>alpha-galactosidase A activity and genetic mutations on clinical course. Medicine. 2002; 81:122–38.Bula</p> <p>Replagal (alfagalactosidase). Aprovada pela Anvisa em 09/03/2017.Hilz MJ, Brys M, Marthol H et al. Enzyme</p>	

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

replacement therapy improves function of C-, Adelta-, and Abeta-nerve fibers in Fabry neuropathy. *Neurology*. 2004; 62:1066–72. Hughes DA, Elliott PM, Shah J et al. Effects of enzyme replacement therapy on the cardiomyopathy of Anderson-Fabry disease: a randomised, double-blind, placebo- controlled clinical trial of agalsidase alfa. *Heart*. 2008;94:153–158. Kampmann C, Linhart A, Baehner F et al. Onset and progression of the Anderson–Fabry disease related cardiomyopathy. *International Journal of Cardiology*. 2008;130(3):367-373. Kampmann C, Perrin A and Beck M. Effectiveness of agalsidase alfa enzyme replacement in Fabry disease: cardiac outcomes after 10 years’ treatment. *Orphanet Journal of Rare Diseases*. 2015; 10:125. Mehta A, Beck M, Eyskens F et al. Fabry disease: a review of current management strategies. *Q J Med*. 2010;103:641–659. Mehta A, Ricci R, Widmer U et al. Fabry disease defined: baseline clinical manifestations of 366 patients in the Fabry Outcome Survey. *European Journal of Clinical Investigation*. 2004; 34: 236–242. Parini R, Feriozzi S. Females and children with Anderson–Fabry disease: diagnosis, monitoring, benefits of enzyme replacement therapy (ERT) and considerations on timing of starting ERT. *Expert Opin Orphan Drug*. 2013; 1:315–30. Schiffmann R, Kopp JB, Austin HA III et al. Enzyme replacement therapy in Fabry disease: a randomized controlled trial. *J Am Med Assoc*. 2001; 285:2743–9. Sestito S, Ceravolo F, Concolino D. Anderson–Fabry disease in children. *Curr Pharm Des*. 2013;19:6037–45. Spinelli L, Pisani A, Sabbatini M et al. Enzyme replacement therapy with agalsidase beta improves cardiac involvement in Fabry’s disease. *Clin Genet*. 2004; 66:158–65. VV-MED-8013 Abril/2018 Title: Local Scientific Response Template, Document No.: RD FORM-0250 Rev.2 Page No.: 6 of 6

3ª - Não

4ª - Não

5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não concordo com a recomendação porque esta contraria um número significativo de publicações científicas, que mostram a experiência clínica de médicos ao redor do mundo com o tratamento com as duas drogas aqui citadas. A análise de medicamentos para as doenças raras não pode se limitar a estudos randomizados duplo cego e ignorar várias boas publicações com número significativo (para doenças raras) de pacientes ou com dados anatomopatológicos (biópsias renais seriadas, Estudo de n=1)) que evidenciam o efeitos dos medicamento de acordo com a dose utilizada. Ou seja, existem evidências clínicas, bioquímicas e anatopatológicas que mostrando a eficácia do tratamento, que surpreendentemente foram infelizmente ignoradas pela a análise da CONITEC.</p> <p>2ª - Sim, Os estudos clínicos das duas drogas, beta e alfa agalsidases para tratamento da doença de Fabry, são impactantes. O de beta agalsidase que utilizou a dose de 1 mg/kg/2semanas e placebo, 58 pacientes durante 20 semanas e mostrou o efeito anatomopatológico da medicação em biópsias de pele, rins e coração, avaliadas por 3 patologistas, com diminuição dos depósitos (globotriaosilceramida-Gb3) na microvasculatura endotelial, que serão responsáveis pelo início das manifestações clínicas da doença. É um estudo impactante de Fase III, pelo número de pacientes (para doença rara) e a utilização de evidência histológicas da eficácia do medicamento em reverter, minimizar os estabilizar os manifestações e/ou complicações da doença. O estudo clínico de Fase III da alfa-agalsidase teve a participação de 26 homens, a dose utilizada foi de 0.2mg/kg/e semanas, e o desfecho final foi melhora da dor neuropatia através de questionários de dor. Este estudo também é impactante, primeiro não foi aprovado pelo FDA, por não aceitar um apenas desfecho subjetivo. Para uma doença tão complexa com complicações em todos os órgão nobres se avaliar dor com desfecho final, a meu ver nano é muito coerente. É uma doença bem estudada, tem um biomarcador (Liso-globotriaosilsfingosina) relacionado ao dano de órgãos e tecidos, que tem se mostrado util no diagnóstico de homens e mulheres afetadas e é um bom biomarcador para acompanhamento do tratamento com terapia de reposição enzimática endovenosa, mostrando resultados mais significativos com a beta agalsidase na dose de 1,0 mg/k/2 semanas (redução dos níveis a partir de 6 meses de tratamento) do que com a alfa-agalsidase na dose de 0,2mg/kg/2 semanas.</p> <p>3ª - Sim, Sugiro que o preço desse tratamento seja por miligrama do medicamento e não por frasco, pois a eficácia do tratamento tende ser diferente com 1mg/kg/2semanas e uma dose 5 vezes menor, 0,2mg/kg/2 semanas.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Pensar na vida dos pacientes com doença de Fabry que estão em tratamento hoje, aqueles que o tratamento foi retirado e nos seus familiares, nas crianças que talvez nem cheguem a ter o diretor de serem tratadas de uma doença multisistêmica grave, que futuro eles terão. E o duro que a causa mais frequente ide morte prematura de pacientes com Fabry será o fato de serem brasileiros e nano as graves complicações da doença.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tendo em vista a raridade da doença e as evidências científicas incontestáveis acredito que seja direito do paciente obter seu tratamento, desde que seja realizado um protocolo de critérios que deve ser preenchido pelo médico assistente de uma das especialidades relacionadas a doença.</p> <p>2ª - Sim, A terapia de reposição enzimática está associada a menor taxas de incidências de eventos renais, cardiovasculares e cerebrovasculares, com significância estatística, em relação ao placebo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
13/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Conheço alguém que utiliza a medicação e fez toda a diferença na vida dele. Melhorou muito a sua qualidade de vida</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A doença de Fabry é uma doença genética de depósito lisossômico multisistêmica, e crônica, que tem tratamento há vários anos e que por tanto precisa ser incorporado e oferecido aos pacientes que padecem e manifestam sintomas clínicos da doença. O uso das enzimas recombinantes resultou numa significativa melhora da função cardíaca, estabilização da função renal, melhora da dor e sintomas, e diminuição do acúmulo do Gb3 nos diferentes tecidos do corpo. Sem o tratamento, o paciente fica exposto a todas as complicações do depósito sistêmico que leva a uma menor qualidade e expectativa de vida, assim como o risco de morte repentina ou súbita.</p> <p>2ª - Sim, A terapia de reposição enzimática para o tratamento da doença de Fabry foi introduzida em 2001 e tem demonstrado eficácia na melhora de sintomas e estabilização da evolução da doença (Schiffmann et al. 2001; Branton et al. 2002; Spinelli et al. 2004; Hilz et al. 2004). Dados clínicos: Estudo duplo-cego e controlado por placebo. Schiffmann R. et al. e colaboradores conduziram um estudo clínico duplo cego, controlado por placebo para avaliação da eficácia e segurança da alfa-galactosidase, 0,2 mg/kg em semanas alternadas em 26 pacientes homens &gt; 18 anos com doença de Fabry. Foi reportada diminuição no nível de gravidade de dor neuropática, avaliada de acordo com a questão 3 do Brief Pain Inventory (BPI) em pacientes tratados com alfa-galactosidase (6,2 a 4,3) comparada com nenhuma mudança significativa em pacientes no grupo placebo (P = 0,02), assim como diminuição na qualidade de vida relacionada a dor no grupo tratado com alfa-galactosidase (3,2 a 2,1 grupo alfa-galactosidase versus 4,8 a 4,2 no grupo placebo (P = 0,05). Nos rins, foram observadas reduções nos glomérulos com alargamento mesangial em média 12,5% para pacientes tratados com alfa-galactosidase versus aumento de 16,5% no grupo placebo (P = 0,01), além de aumento na depuração média de creatinina e diminuição da depuração de inulina em pacientes do grupo de alfa-galactosidase. Também notou-se 50% de redução dos níveis plasmáticos de glicosíngolipídios, melhora significativa da condução cardíaca e aumento no peso corporal. Com respeito aos dados de segurança, o tratamento com alfa-galactosidase foi bem tolerado, a maioria dos eventos relatados geralmente são sintomas observados em pacientes com a doença de Fabry, como constipação, crise de dor abdominal e perda auditiva. Oito dos 14 pacientes no grupo em tratamento com alfa-galactosidase apresentaram reações leves relacionadas à infusão. Estudo randomizado, duplo-cego e controlado por placebo. Um estudo randomizado, duplo-cego e controlado por placebo incluiu 15 adultos homens com doença de Fabry para avaliação dos efeitos da terapia com alfa-galactosidase (0,2 mg/Kg a cada 15 dias) na estrutura e função cardíaca. Para a avaliação, os seguintes parâmetros foram medidos no início e no sexto mês após tratamento: massa ventricular esquerda, duração QRS e níveis de Gb3 no tecido cardíaco, urina e plasma. Após 6 meses de tratamento com alfa-galactosidase, houve redução significativa da massa ventricular esquerda, medida através de ressonância magnética, comparada ao grupo controle com placebo (p = 0,041), além de redução média de 20% de conteúdo miocárdico de Gb3 versus aumento médio de 10% em pacientes que receberam placebo (p=0,42). A diminuição observada dos níveis de Gb3 no plasma e no sedimento de urina após 6 meses de tratamento com alfa-galactosidase refletem aumento do metabolismo do Gb3 acumulado e provável redução no seu armazenamento patogênico no tecido. As infusões, em geral, foram bem toleradas. Apenas um paciente experimentou reação relacionada à infusão. Foram detectados anticorpos IgG contra a alfa-galactosidase em três pacientes. Nenhum paciente desenvolveu anticorpos IgE, IgA ou IgM. Não houve eventos adversos graves relacionados às infusões da alfa-galactosidase (Hugues et al. 2008). Fabry</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>Outcome Survey A maioria dos dados de eficácia em longo prazo da terapia de reposição enzimática é obtida a partir de estudos observacionais (Mehta et al. 2010). A base de dados Fabry Outcome Survey (FOS) foi desenvolvida para reunir dados clínicos europeus sobre a história natural da doença e monitorar a eficácia em longo prazo e a segurança do tratamento de reposição enzimática (Mehta et al. 2004). Em 2015, Beck M. e colaboradores publicaram os dados de seguimento de 5 anos da base FOS em comparação com os dados provenientes de 3 estudos de população com Doença de Fabry não tratada. Os seguintes desfechos foram avaliados: taxa anualizada de mudança na filtração glomerular estimada (eGFR), índice de massa ventricular esquerda, idade e tempo para ocorrência de desfechos clínicos e morte. A população do FOS avaliada incluiu 740 homens tratados com agalsidase alfa e seguidos por um período de 5 anos. Comparados ao grupo sem tratamento, pacientes tratados com agalsidase alfa apresentaram menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda. Homens tratados que apresentavam taxa de filtração glomerular &lt;60 mL/min/1,73 m<sup>2</sup> apresentaram uma diminuição média anualizada na taxa de filtração glomerular de -2,86 mL/min/1,73 m<sup>2</sup> comparado com -6,8 mL/min/1,73 m<sup>2</sup> na população não tratada (tabela 1). O aumento médio da massa do ventrículo esquerdo foi de 0,33 g/m<sup>2</sup>.7 por ano nos homens e 0,48 nas mulheres comparados com 4,07 para homens não tratados e 2,31 para mulheres não tratadas. Os primeiros eventos e óbitos ocorreram mais tardiamente no grupo que recebeu tratamento quando comparado com o grupo não tratado, sendo a estimativa da mediana de sobrevida nos homens tratados de 77.5 anos em comparação com 60 anos nos homens que não receberam tratamento-Tabela 1 e 2 - Em anexo</p> <p>Kampmann et al. (2015) avaliaram retrospectivamente os dados de registros médicos de pacientes que receberam alfa-galactosidase por aproximadamente 10 anos (n=45). A população incluiu homens e mulheres com idade &amp;#8805;14 anos. Os sintomas de insuficiência cardíaca melhoraram após 10 anos de tratamento conforme evidenciado pela alteração na classificação de NYHA (New York Heart Association), melhora em 1 classe em 22/42 pacientes, sintomas de angina permaneceram estáveis (n=26) ou melhoraram (n=15) em 41 pacientes. Com respeito a hipertrofia ventricular esquerda (HVE), nenhum paciente previamente não apresentando HVE desenvolveu durante o tratamento e aqueles que apresentavam HVE no início da análise nenhum apresentou diminuição da massa ventricular esquerda.</p> <p>Referências Beck M, Hughes D, Kampmann C et al. Long-term effectiveness of agalsidase alfa enzyme replacement in Fabry disease: a Fabry Outcome Survey Analysis. <i>Mol Genet Metab Rep.</i> 2015;3:21-27 Branton MH, Schiffmann R, Sabnis SG et al. Natural history of Fabry renal disease: influence of alpha-galactosidase A activity and genetic mutations on clinical course. <i>Medicine.</i> 2002; 81:122–38. Bula Replagal (alfagalactosidase). Aprovada pela Anvisa em 09/03/2017. Hilz MJ, Brys M, Marthol H et al. Enzyme replacement therapy improves function of C-, Delta-, and Abeta-nerve fibers in Fabry neuropathy. <i>Neurology.</i> 2004; 62:1066–72. Hughes DA, Elliott PM, Shah J et al. Effects of enzyme replacement therapy on the cardiomyopathy of Anderson-Fabry disease: a randomised, double-blind, placebo- controlled clinical trial of agalsidase alfa. <i>Heart.</i> 2008;94:153–158. Kampmann C, Linhart A, Baehner F et al. Onset and progression of the Anderson–Fabry disease related cardiomyopathy. <i>International Journal of Cardiology.</i> 2008;130(3):367- 373. Kampmann C, Perrin A and Beck M. Effectiveness of agalsidase alfa enzyme replacement in Fabry disease: cardiac outcomes after 10 years’ treatment. <i>Orphanet Journal of Rare Diseases.</i> 2015; 10:125. Mehta A, Beck M, Eyskens F et al. Fabry disease: a review of current management</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>strategies. Q J Med. 2010;103:641–659.Mehta A, Ricci R, Widmer U et al. Fabry disease defined: baseline clinical manifestations of 366 patients in the Fabry Outcome Survey. European Journal of Clinical Investigation. 2004; 34: 236–242.Parini R, Feriozzi S. Females and children with Anderson–Fabry disease: diagnosis, monitoring, benefits of enzyme replacement therapy (ERT) and considerations on timing of starting ERT. Expert Opin Orphan Drug. 2013; 1:315–30.Schiffmann R, Kopp JB, Austin HA III et al. Enzyme replacement therapy in Fabry disease: a randomized controlled trial. J Am Med Assoc. 2001; 285:2743–9.Sestito S, Ceravolo F, Concolino D. Anderson–Fabry disease in children. Curr Pharm Des. 2013;19:6037–45.Spinelli L, Pisani A, Sabbatini M et al. Enzyme replacement therapy with agalsidase beta improves cardiac involvement in Fabry’s disease. Clin Genet. 2004; 66:158–65.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, A doença de Fabry tem tratamento há varios anos e nós como médicos vamos continuar indicando o tratamento devido ao beneficio que é proporcionado ao paciente. Até o momento a única via de conseguir os medicamentos no caso de Doenças Raras é via Judicial. Isso provoca um gasto exagerado ao Governo.A introdução do medicamento de forma acessível via SUS - Evitaria gastos milionários consequentes dos processos de judicialização- Levaria as empresas que produzem o medicamento a diminuir o custo dos mesmos- E o mais importante poderia ser ofertado ao paciente o tratamento adequado como direito do SUS</p> <p>5ª - Não</p>	
14/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acompanho pacientes com Doença de Fabry e posso afirmar que a terapia melhora a qualidade e expectativa de vida dos pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. as pessoas portadoras desta doença necessitam da reposição enzimática para manter sua saúde</p> <p>2ª - Sim, mediante palestra ministrada pelo representante do laboratório pude observar a importância da reposição enzimática para manter a saúde do paciente e ficar livre das crises que essa doença ocasiona</p> <p>3ª - Sim, devido ao alto custo desta terapia de reposição enzimática, fica inviável para o paciente manter o tratamento com recursos próprios</p> <p>4ª - Sim, apesar da medicação se de alto custo, ela evita internações dos pacientes e retarda o declínio da função renal que são dois tratamentos onerosos para o SUS</p> <p>5ª - Sim, saúde é direito de todos e dever do estado</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes FABRY necessitam da reposição enzimática e acompanhamento médico constante.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem evidências sobre o benefício de tal terapêutica de acordo com a literatura vigente.</p> <p>2ª - Sim, A terapia de reposição enzimática foi introduzida em 2001 e tem demonstrado eficácia na melhora dos sintomas e estabilização da evolução da doença</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
14/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Comentários detalhados em anexo.</p> <p>2ª - Sim, Comentários detalhados em anexo.</p> <p>3ª - Sim, Comentários detalhados em anexo.</p> <p>4ª - Sim, Comentários detalhados em anexo.</p> <p>5ª - Sim, Comentários detalhados em anexo.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Negar a oportunidade de tratamento ao cidadão sendo este o dever do estado é ferir também os princípios do SUS, visto que a maior justificativa para tal é a questão orçamentária. Como cidadão e profissional de saúde penso primeiramente no paciente, e por conviver com os mesmos sei do impacto que o diagnóstico causa nessas pessoas e principalmente a incerteza da obtenção do ÚNICO tratamento disponível para Doença de Fabry no Brasil, ainda por acompanhar-los, percebo a melhoria que a terapia de reposição tem na qualidade de vida dos pacientes e no controle dos sintomas, mesmo que em alguns casos os sinais de progressão da doença ainda se mantenham. Deixo claro que o SUS deve incorporar tal medicação uma vez que é a única terapia disponível no Brasil.</p> <p>2ª - Sim, Acompanho 41 pacientes em terapia de reposição enzimática, maioria deles já já mais de 5 anos. O impacto positivo na qualidade de vida desses pacientes é notório, sobretudo na melhora das crises de dor. Do ponto de vista de seguimento, apesar das dificuldades impostas pelo sistema de saúde, percebemos a estabilização da progressão da hipertrofia de ventrículo esquerdo e da função renal, com apenas um paciente apresentando proteinúria nefrótica em nível não dialítico, quadro estabilizado às custas da TRE. Também testemunhamos a descontinuidade do tratamento por parte de paciente durante cerca de 01 ano onde ocorreu um aumento de proteinúria em 4 vezes, crises de dor com características neuropáticas inclusive com hospitalização. Sendo que hoje os próprios pacientes têm a consciência de que a interrupção da terapêutica trás impactos catastróficos à sua qualidade de vida representada principalmente pela crises algicas, bem como o risco aumentado de desenvolver insuficiência renal que pode levar à morbidade dos procedimentos dialíticos, além de estarem mais susceptíveis a doenças cerebrovasculares e cardiovasculares como infarto agudo do miocárdio, acidente vascular cerebral, arritmias severas, insuficiência cardíaca, dentre outros. Ressalto aqui ainda que, atualmente, todos os pacientes em tratamento o fazem com agalsidase-alfa (Replagal) uma vez que os 05 pacientes que usavam Beta apresentavam efeitos colaterais por vezes moderados, como fraqueza intensa, febre, cefaleia e mialgia, sem características de anafilaxia, além da diferença na velocidade de infusão cerca de 4 vezes maior quando compararam comparava com os pacientes que recebem alfa, havendo inclusive casos de difícil adesão à terapêutica com betagalsidase, sendo então solicitada a substituição para alfa.</p> <p>3ª - Sim, A grande maioria dos pacientes, se não todos, não têm condição de arcar com os custos de terapia de reposição enzimática, e recorrem a processos judiciais na tentativa de conseguirem junto ao poder público. Diagnosticar a doença, conhecer os riscos e suas implicações, saber que existe tratamento disponível, não poder pagar e saber que o SUS não disponibiliza em face do preço é uma frustração ainda maior para o paciente que vai onerar da mesma forma o sistema de Saúde com hospitalização, provável procedimentos dialíticos, transplante, sob o risco de morte precoce e com uma morbidade muito elevada.</p> <p>4ª - Sim, Percebe-se claramente a diferença orçamentária entre as duas drogas propostas, sendo ambas equivalentes do ponto de vista de eficácia e tolerabilidade, e que os dados de substituição também não demonstram piora dos parâmetros clínicos avaliados, e ainda que a administração de alfa em relação a beta é bem mais cômoda e aceitável com menos efeitos adversos obtidos em nossa prática clínica, uma vez incluída a à terapêutica no SUS, vale a pena analisar os três cenários apresentados no relatório técnico e avaliar a</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		economia que se ontem ao optar-se por uma das enzimas que causaria um impacto menor no orçamento. 5ª - Não	
14/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tratamento primordial e indicado cada vez mais precoce para os pacientes com Faber. Pois muda prognóstico da evolução da doença. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
14/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. - A Terapia de reposição enzimática é o único tratamento específico para Doença de Fabry registrado em nosso país; - com o tratamento , há impacto significativo em graves morbidades nestes pacientes, tais como cardiopatia e neuropatia dolorosa; - a Portaria vigente do Minsiterio da saude de janeiro de 2014(portaria de nº 199) instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras que menciona a incorporação e uso de tecnologias voltadas para a promoção, a prevenção e para o cuidado integral. Faz-se necessário realizar uma avaliação detalhada sobre o impacto da melhoria dos sintomas com o uso da medicação em questão, lembrando que não existe nada similar, além da prevenção das complicações decorrentes da doença, 2ª - Sim, o uso da terapia de reposição enzimatica com alfa-agalsidase ou beta-agalsidase nos pacientes com Doença de Fabry é efetivo e seguro na melhora clínica e na qualidade de vida destes pacientes. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, Com o parecer favorável à incorporação da reposição enzimática na doença de Fabry, muitos pacientes poderão vir a ser beneficiados, em estágios mais iniciais da doença e várias comorbidades e complicações poderão ser evitadas.	
14/04/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Médico é o responsável pelo diagnóstico e tratamento. Temos bases científicas suficientes e claras para isso.</p> <p>2ª - Sim, REFERÊNCIAS Beck M, Hughes D, Kampmann C et al. Long-term effectiveness of agalsidase alfa enzyme replacement in Fabry disease: a Fabry Outcome Survey Analysis. <i>Mol Genet Metab Rep.</i> 2015;3:21-27 Branton MH, Schiffmann R, Sabnis SG et al. Natural history of Fabry renal disease: influence of alpha-galactosidase A activity and genetic mutations on clinical course. <i>Medicine.</i> 2002; 81:122–38. Hilz MJ, Brys M, Marthol H et al. Enzyme replacement therapy improves function of C-Delta-, and Abeta-nerve fibers in Fabry neuropathy. <i>Neurology.</i> 2004; 62:1066–72. Hughes DA, Elliott PM, Shah J et al. Effects of enzyme replacement therapy on the cardiomyopathy of Anderson-Fabry disease: a randomised, double-blind, placebo controlled clinical trial of agalsidase alfa. <i>Heart.</i> 2008;94:153–158. Kampmann C, Linhart A, Baehner F et al. Onset and progression of the Anderson–Fabry disease related cardiomyopathy. <i>International Journal of Cardiology.</i> 2008;130(3):367-373. Kampmann C, Perrin A and Beck M. Effectiveness of agalsidase alfa enzyme replacement in Fabry disease: cardiac outcomes after 10 years’ treatment. <i>Orphanet Journal of Rare Diseases.</i> 2015; 10:125. Mehta A, Beck M, Eyskens F et al. Fabry disease: a review of current management strategies. <i>Q J Med.</i> 2010;103:641–659. Mehta A, Ricci R, Widmer U et al. Fabry disease defined: baseline clinical manifestations of 366 patients in the Fabry Outcome Survey. <i>European Journal of Clinical Investigation.</i> 2004; 34: 236–242. Parini R, Feriozzi S. Females and children with Anderson–Fabry disease: diagnosis, monitoring, benefits of enzyme replacement therapy (ERT) and considerations on timing of starting ERT. <i>Expert Opin Orphan Drug.</i> 2013; 1:315–30. Schiffmann R, Kopp JB, Austin HA III et al. Enzyme replacement therapy in Fabry disease: a randomized controlled trial. <i>J Am Med Assoc.</i> 2001; 285:2743–9. Sestito S, Ceravolo F, Concolino D. Anderson–Fabry disease in children. <i>Curr Pharm Des.</i> 2013;19:6037–45. Dominique P. Germain, Stephen Waldek, Maryam Banikazemi et al. Enzyme replacement therapy with agalsidase beta improves cardiac involvement in Fabry’s disease. <i>Clin Genet.</i> 2004; 66:158–65 Dominique P Germain, Joel Charrow, Robert J Desnick, Nathalie Guffon, Judy Kempf, Robin H Lachamann, Roberta Lemay, Gabor E Linthorst, Seymour Packman, Ronald Scott, Stephen Waldek, David G Warnock, Neal J Weinreb and William R Wilcox Ten year outcome of enzyme replacement therapy with agalsidase beta in patients with Fabry disease – <i>J Med Genet.</i> 2015 May;52(5):353-358.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, REFERÊNCIAS Beck M, Hughes D, Kampmann C et al. Long-term effectiveness of agalsidase alfa enzyme replacement in Fabry disease: a Fabry Outcome Survey Analysis. <i>Mol Genet Metab Rep.</i> 2015;3:21-27 Branton MH, Schiffmann R, Sabnis SG et al. Natural history of Fabry renal disease: influence of alpha-galactosidase A activity and genetic mutations on clinical course. <i>Medicine.</i> 2002; 81:122–38. Hilz MJ, Brys M, Marthol H et al. Enzyme replacement therapy improves function of C-Delta-, and Abeta-nerve fibers in Fabry neuropathy. <i>Neurology.</i> 2004; 62:1066–72. Hughes DA, Elliott PM, Shah J et al. Effects of enzyme replacement therapy on the cardiomyopathy of Anderson-Fabry disease: a randomised, double-blind, placebo controlled clinical trial of agalsidase alfa. <i>Heart.</i> 2008;94:153–158. Kampmann C, Linhart A, Baehner F et al.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>Onset and progression of the Anderson–Fabry disease related cardiomyopathy. International Journal of Cardiology. 2008;130(3):367-373. Kampmann C, Perrin A and Beck M. Effectiveness of agalsidase alfa enzyme replacement in Fabry disease: cardiac outcomes after 10 years’ treatment. Orphanet Journal of Rare Diseases. 2015; 10:125. Mehta A, Beck M, Eyskens F et al. Fabry disease: a review of current management strategies. Q J Med. 2010;103:641–659. Mehta A, Ricci R, Widmer U et al. Fabry disease defined: baseline clinical manifestations of 366 patients in the Fabry Outcome Survey. European Journal of Clinical Investigation. 2004; 34: 236–242. Parini R, Feriozzi S. Females and children with Anderson–Fabry disease: diagnosis, monitoring, benefits of enzyme replacement therapy (ERT) and considerations on timing of starting ERT. Expert Opin Orphan Drug. 2013; 1:315–30. Schiffmann R, Kopp JB, Austin HA III et al. Enzyme replacement therapy in Fabry disease: a randomized controlled trial. J Am Med Assoc. 2001; 285:2743–9. Sestito S, Ceravolo F, Concolino D. Anderson–Fabry disease in children. Curr Pharm Des. 2013;19:6037–45. Dominique P. Germain, Stephen Waldek, Maryam Banikazemi et al. Enzyme replacement therapy with agalsidase beta improves cardiac involvement in Fabry’s disease. Clin Genet. 2004; 66:158–65 Dominique P Germain, Joel Charrow, Robert J Desnick, Nthalie Guffon, Judy Kempf, Robin H Lachamann, Roberta Lemay, Gabor E Linthorst, Seymour Packman, Ronald Scott, Stephen Waldek, David G Warnock, Neal J Weinreb and William R Wilcox Ten year outcome of enzyme replacement therapy with agalsidase beta in patients with Fabry disease – J Med Genet. 2015 May;52(5):353-358.</p>	
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Nao me parece que os valores estejam dentro da realidade]</p> <p>2ª - Sim, A melhora dos sintomas na Doença de Fabry classica, com acroparestesia e anidrose ou hipoidrose é relevante.p</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Os custo nao me parecem estar de acordo com a realidade.</p> <p>2ª - Sim, A resposta aos sintomas na doença de Fabry classica com acroparestesia, hipo ou anidrose são relevantes e reintegram o paciente à sociedade.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, RESUMO#61623; REPLAGAL (alfagalsidase) é indicado para terapia crônica de reposição enzimática em pacientes com diagnóstico confirmado de doença de Fabry (Bula Replagal).#61623; Um estudo duplo cego e controlado por placebo avaliou eficácia e segurança do tratamento com alfagalsidase em pacientes homens maiores de 18 anos. Observou-se melhora nos parâmetros avaliados como dor neuropática, qualidade de vida relacionada à dor, função renal, níveis plasmáticos de glicosfingolipídios e função cardíaca (Schiffmann R. et al. 2001).#61623; O estudo de fase 3, randomizado e controlado por placebo em 15 pacientes homens reportou uma redução significativa na massa ventricular esquerda em pacientes tratados com alfagalsidase 0,2 mg/kg em semanas alternadas por 6 meses (Hughes et al. 2008).#61623; O estudo de seguimento de 5 anos da base Fabry Outcome Survey (FOS) comparou o tratamento com alfagalsidase e dados provenientes de 3 estudos de população com doença de Fabry não tratada. O grupo em tratamento com alfagalsidase apresentou menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda, além de sobrevida estimada de mais 17,5 anos (Beck et al. 2015).#61623; Dados de uma análise retrospectiva de 10 anos de homens e mulheres com idade &amp;#8805;14 anos recebendo tratamento com alfagalsidase demonstraram melhora nas funções cardíacas como sintomas de insuficiência cardíaca e angina (Kampmann et al. 2015).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
15/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. É de grande importância para o tratamento de quem apresenta a doença de fabry</p> <p>2ª - Sim, Tenho uma pessoa da família que faz uso do medicamento e é vital para o controle da doença</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Apesar de alguns desfechos não terem sido contemplados totalmente, sabemos que esta doença é lentamente progressiva e desta forma, a efetividade do tratamento pode se mostrar mais demoradamente em alguns sistemas. Ainda assim, foi confirmada efetividade no sistema cardiovascular e em relação à dor. A importância não é somente em relação à melhora da qualidade de vida, mas também por impactar na mortalidade pelo acometimento cardiovascular. Privar os pacientes deste recurso terapêutico não é o ideal. Temos que pensar no futuro no que tange ao tratamento dialítico, que em grande parte é custeado pelo governo, pois estes pacientes, se tratados precocemente, irão retardar sua entrada em uma clínica de diálise. Em uma doença rara temos que ter muito cuidado na avaliação de evidências.</p> <p>2ª - Sim, Acompanho um paciente com Doença de Fabry em terapia de Reposição Enzimática desde os 20 anos de idade; atualmente se encontra com 26 anos e meio. O quadro clínico era de dores e angioqueratomas. Não apresentava comprometimento renal e atualmente não apresenta também (muito provavelmente a terapia está colaborando para isto). As dores cessaram e os angioqueratomas continuam. Apesar desta paciente apresentar quadro clínico leve no momento, pode ter a expectativa diferente de outros pacientes que evoluem para insuficiência renal mais precocemente.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Sei que o cálculo dos números não é favorável, mas o médico sempre procura o que há de melhor para seus pacientes e as prescrições continuarão a existir. sabemos o quanto de recursos que poderiam ser aplicados na área da saúde não o são. Não concordo que o impacto orçamentário passe a contar de forma tão definitiva para a não recomendação da terapia de reposição enzimática.</p> <p>5ª - Sim, Sugiro que sejam realizados estudos com base nos registros mundiais de pacientes, pois assim teremos uma visão da vida real e efetividade das terapias utilizadas.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acreditamos no direito do ser humano de ter o acesso ao único tratamento existente para uma doença que pode afetar sua família inteira, causar sua limitação de convivência desde a infância, reduzir sua expectativa de vida e lhe proporcionar uma exclusão social por medo de constituir uma nova parentela.</p> <p>2ª - Sim, Acreditamos que o pouco tempo de início de tratamento com a TRE nos pacientes com doença de Fabry dificultam uma avaliação mais efetiva da sua eficácia na história natural da doença e no prognóstico final.</p> <p>3ª - Sim, Acreditamos que deveria ocorrer uma sinergia entre o governo e a indústria farmacêutica para reduzir o valor final da medicação e facilitar sua incorporação no Sistema Único de Saúde.</p> <p>4ª - Sim, Devemos lembrar que o gasto com os tratamentos das complicações da Doença de Fabry, como IAM, AVC/AVI, hospitalizações, hemodiálise, abstenções ao trabalho... incrementam um alto valor nas contas da saúde pública que vão repercutir bem mais que o tratamento no impacto econômico.</p> <p>5ª - Sim, Sabemos da dificuldade nos diagnósticos das doenças menos comuns, seja pela falta de conhecimento do profissional, seja pela falta de técnicas laboratoriais disponíveis no sistema público de saúde, o que vem a causar uma falsa noção do verdadeiro número de casos dessa doença numa sociedade.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes tratados tiveram uma melhora bastante significativa, segundo relatos e acompanhamentos. Apresentaram uma melhora na função vascular, dentre outras situações sistêmicas que atenuaram as dores, causando uma melhora na qualidade de vida, reduzindo alguns riscos cardiovasculares, renais e cardíacos. Uma vez que não ocorra a TRE para o tratamento dessa doença, muitos pacientes ficarão desassistidos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. OS pacientes com doença de fabry precisam ser assistidos, ou seja ter acesso aos tratamentos disponíveis para garantir uma melhora no quadro cardiovascular, cardíaco, renal e cerebrovascular. Caso isso não seja possível, poderá levar os pacientes a óbito pela falta do acesso a TRE.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A NÃO INCORPORAÇÃO DEIXARÁ DE BENEFICIAR INÚMERAS FAMÍLIAS DE PACIENTES PORTADORES DA DOENÇA, CONDENANDO ESSES PACIENTES AS LESÕES GRAVES E PROGRESSIVAS EM ORGÃOS IMPORTANTES, COMO CÉREBRO, CORAÇÃO E RINS, ALÉM DE REDUZIR A EXPECTATIVA DE VIDA.</p> <p>2ª - Sim, 1- O TRATAMENTO EVITA A PROGRESSÃO DA DOENÇA, POIS DEPURA O ACÚMULO TECIDUAL DE GLOBOTRIAOSYLKERAMIDA, ESTABILIZANDO A FUNÇÃO DOS ORGÃOS.2- JÁ A INIBIÇÃO DA TERAPIA ENZIMÁTICA PIORA OS SINTOMAS, TAIS COMO DIARREIA, DOR NEUROPÁTICA E FADIGA , AUMENTAM O NÍVEL SÉRICO DE LYSO-GB3, PIORAM A TAXA DE FILTRAÇÃO GLOMERULAR E AUMENTAM A MASSA DO VENTRÍCULO ESQUERDO. 3- A REDUÇÃO DA DOSE DA TERAPIA ENZIMÁTICA PIORA A PROTEINÚRIA E OS SINTOMAS CLÍNICOS4- ESTUDO COMPROVADO POR BIÓPSIA RENAL EM PACIENTES QUE USARAM DOSES MAIORES DA TERAPIA ENZIMÁTICA, HOUVE CLEARANCE TOTAL DAS INCLUSÕES NO ENDOTÉLIO GLOMERULAR, MESÂNGIO E CÉLULAS PODOCITÁRIAS, NORMALIZANDO A ALBUMINÚRIA EM 5 DOS 12 PACIENTES TRATADOS.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Atendendo familia portadora de doença de fabry, com complicações graves como doença renal crônica em estágio v- terminal e estudamdo a literatura médica encontro-me completamente convencido da importância da terapia de reposição enzimática no tratamento e mudança de prognóstico destes pacientes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Na página 56, no ítem 13 está escrito que "(...) A Comissão entendeu, pela análise da melhor evidência disponível, que ainda há bastante incerteza em relação aos benefícios trazidos pelos medicamentos na mudança da história natural da doença e aos critérios que seriam utilizados para indicar o tratamento, ou incluir indivíduos diagnosticados em tratamento para que possam usufruir do maior benefício da reposição enzimática, tais como, a melhor idade para início, o estágio da doença e as doses eficazes das enzimas (de ambas as formas) que seriam utilizadas. (...)”, e motivo da minha discordância é qual a melhor evidência disponível utilizada para estudos com doenças raras. Para o relatório que está em consulta pública, os desfechos tiveram a qualidade de evidência avaliadas de acordo com o “Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation” (GRADE), no qual o perfil de evidência dos estudos é classificado em alto, baixo e muito baixo, sendo o estudo clínico randomizado o que tem evidência mais alta [1-2]. Lilford e colaboradores [3] publicaram que questões clínicas são mais facilmente respondidas quando a doença é relativamente frequente e quando há grandes chances do desfecho de interesse ocorrer, mas quando trata-se de doenças raras, e a resposta à intervenção é moderada, os desenhos tradicionais de ensaios clínicos têm pouco a contribuir [3]. Há vários desafios no desenvolvimento e condução de ensaios clínicos para doenças raras, grupo do qual a doença de Fabry faz parte, como: (1) o limitado número de pacientes, (2) o comprometimento sistêmico das doenças, ou seja, mais de um órgão ou sistema costuma estar acometido, (3) a história natural que não é completamente conhecida e (4) por serem multissistêmicas, geralmente não há um desfecho único que possa ser utilizado para avaliar resposta ao tratamento, e isso dificulta a formação de grupos homogêneos que possam ter seus desfechos comparáveis [4]. Diante do exposto, é muito difícil que sejam feitos estudos clínicos randomizados com doenças raras, e há que se lançar mão de desenhos de estudos alternativos [5-7]. No entanto, o relatório que está em consulta pública classificou os estudos que não eram ensaios clínicos randomizados em evidência baixa ou muito baixa. [1] Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Ciência e Tecnologia. Diretrizes metodológicas : Sistema GRADE – Manual de graduação da qualidade da evidência e força de recomendação para tomada de decisão em saúde / Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, Departamento de Ciência e Tecnologia. – Brasília : Ministério da Saúde, 2014. [2] Atkins D, Best D, Briss PA, Eccles M, Falck-Ytter Y, Flottorp S, Guyatt GH, Harbour RT, Haugh MC, Henry D, Hill S, Jaeschke R, Leng G, Liberati A, Magrini N, Mason J, Middleton P, Mrukowicz J, O’Connell D, Oxman AD, Phillips B, Schünemann HJ, Edejer T, Varonen H, Vist GE, Williams JW Jr, Zaza S; GRADE Working Group. Grading quality of evidence and strength of recommendations. <i>BMJ</i>. 2004;328(7454):1490. [3] Lilford RJ, Thornton JG, Brauholtz D. Clinical trials and rare diseases: a way out of a conundrum. <i>BMJ</i>. 1995;311(7020):1621-5. [4] Kempf L, Goldsmith JC, Temple R. Challenges of developing and conducting clinical trials in rare disorders. <i>Am J Med Genet A</i>. 2018;176(4):773-783. [5] Gupta S, Faughnan ME, Tomlinson GA, Bayoumi AM. A framework for applying unfamiliar trial designs in studies of rare diseases. <i>J Clin Epidemiol</i>. 2011;64(10):1085-94. [6] Chow SC, Chang M. Adaptive design methods in clinical trials - a review. <i>Orphanet J Rare Dis</i>. 2008 May 2;3:11. [7] Buckley BM. Clinical trials of orphan medicines. <i>Lancet</i>. 2008;371(9629):2051-5.</p> <p>2ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
15/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Até o presente momento a única forma de estagnação da doença ou prolongamento do tempo de vida dos pacientes e através de reposição enzimática, sendo de total importância a incorporação de tais substâncias na terapia de Fabry . Vários estudos foram publicados e continuam sendo feitos comprovando a eficácia da reposição enzimática (alfa e beta agalsidase ) em pacientes portadores de Fabry.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
15/04/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Até o presente momento a única forma de estagnação da doença ou prolongamento do tempo de vida do paciente é de através de de uma reposição enzimática, sendo de total importância de tais substâncias na terapia de Fabry. Vários estudos foram publicados e continuam sendo feitos comprovando a eficácia da reposição enzimática (alfa beta agalsidase) em pacientes portadores de Fabry.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
15/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Até o presente momento a única forma de estagnação da doença ou prolongamento do tempo de vida do paciente é de através de de uma reposição enzimática, sendo de total importância de tais substâncias na terapia de Fabry. Vários estudos foram publicados e continuam sendo feitos comprovando a eficácia da reposição enzimática (alfa beta agalsidase) em pacientes portadores de Fabry.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/04/2018	Sociedade médica	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O parecer tecnico científico demonstra clara evidencia favoravel a terapia de reposicao enzimatica para a Doença de Fabry. Surpreendentemente, no entanto, a recomendação final negando a incorporação foi baseada primordialmente na questão de custos. Se o tratamento medicamentoso é eficaz e a questão são eventuais dificuldades em estabelecer diagnostico definitivo de pacientes verdadeiramente doentes, gravemente afetados por esta doença rara, devem ser estabelecidos criterios mais objetivos e rigorosos em relação ao grupo que realmente pode beneficiar-se desse tratamento. A recomendação deve ser revista, no sentido de reverter a recomendação atual de não incorporação, lembrando do DIREITO dos pacientes afetados por esta doença rara ao tratamento, uma vez que o mesmo tem evidencias científicas bem definidas.</p> <p>2ª - Sim, A descrição, revisão científica e demonstração de evidencias do protocolo tecnico científico foram muito bem descritas no documento agora em consulta publica. Por este motivo não vemos necessidade de anexar trabalhos adicionais. Na pratica medica sabemos que poucas doenças genéticas raras dispõem de tratamento especifico visando estabilização ou melhora do quadro clinico. Estamos diante de uma rara doença genética em que neste momento há disponibilidade de duas terapias de reposição enzimática, sendo ambas consideradas eficazes. Não há, portanto, justificativa contraria ao tratamento dos afetados. A questão econômica não pode ser o único fator limitante a incorporação. No entanto, é fundamental que critérios diagnósticos e de indicação terapêutica sejam objetivamente definidos.</p> <p>3ª - Sim, Aproveitamos a oportunidade para anexar um arquivo emblematico que trata sobre a questao do custo-efetividade do tratamento em doenças raras.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A SBGM nas suas atribuições visa a defesa do tratamento das doenças raras onde houver evidencia científica de eficacia, como no caso da Doença de Fabry. Nesse sentido, algumas sugestoes poderiam ser uteis na reversao da negativa deste PTC:1- Revisão dos genótipos claramente definidos como patogênicos na Doença de Fabry2- Revisão genotípica e fenotípica de mulheres portadoras/afetadas com Doença de Fabry visando critérios bem definidos de indicação ao tratamento através da terapia de reposição enzimática3- Estabelecimento de um grupo técnico vinculado ao ministério da saúde para tomada de decisão em casos em que a correlação genótipo-fenótipo ainda não esteja bem definida na literatura científica, visando revisão de dados clínicos, para definição de indicação terapêutica.4- Monitoramento anual dos pacientes que já estão em tratamento visando acompanhamento da eficácia e manutenção da indicação do mesmoEsta contribuição foi redigida e aprovada por Carolina Fischinger Moura de Souza (presidente da SBGM – CPF 631558690-20 – CRM 22.250 CREMERS) e Dafne Dain Gandelman Horovitz (vice-presidente da SBGM – CPF 004672507-58 – CRM 52.54.454-3 RJ)</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>Descrição da contribuição</b>	<b>Referência</b>
15/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A indicação da terapia de reposição enzimática com a enzima específica é a única terapia específica para essas doenças. Os estudos são confusos e conflitantes e metodologicamente diferentes. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não concordo, uma vez que a doença de Fabry é uma condição grave, progressiva e que reduz significativamente a qualidade e a expectativa de vida, para a qual existem terapias de reposição enzimática que modificam o seu curso natural e que deveriam, respeitados critérios de inclusão e de exclusão que devem ser estabelecidos, beneficiar um número significativo de pacientes brasileiros que hoje recebem essas terapias sem critérios padronizados, de forma inconstante, e sem um programa formal de acompanhamento e monitoramento.</p> <p>2ª - Sim, Meu contato com pacientes com doença de Fabry iniciou na década de 70, como residente do Hospital de Clínicas da Faculdade de Medicina de Ribeirão Preto. Nesse momento, e mais intensamente a partir de 1982, no recém criado Serviço de Genética Médica do Hospital de Clínicas de Porto Alegre, pude testemunhar a dor neuropática excruciante (acroparestesia) apresentada por esses pacientes, cuja evolução muitas vezes desembocava num quadro de insuficiência renal que exigia hemodiálise. Na época, o que podíamos fazer era tentar (na maioria das vezes, sem sucesso) manejar a dor. Sabedores do desenvolvimento de uma terapia de reposição enzimática para essa doença, já no ano de 2001 buscamos que os nossos pacientes tivessem acesso antecipado à mesma, e começamos a trata-los com alfa-agalsidase, que viria a ser formalmente aprovada no Brasil apenas alguns anos depois (2006). Ao longo dos anos pude acompanhar mais de 80 pacientes com a doença de Fabry, sendo que muitos deles foram tratados com terapia de reposição enzimática (tanto alfa-agalsidase quanto beta-agalsidase), outros com chaperonas farmacológicas (migalastat), enquanto alguns foram mantidos em acompanhamento por não preencherem critérios que entendo necessários para indicar um tratamento específico. Minha observação pessoal indica um benefício inquestionável da terapia de reposição enzimática na qualidade de vida pela diminuição da dor, dos episódios de sudorese anormal e do quadro gastrointestinal. Ao longo da nossa experiência, fizemos publicações relativas à nossa amostra, evidenciando os eventos da terapia de reposição enzimática tanto no sistema nervoso periférico (relacionado à acroparestesia (Jardim et al, 2006) quando na função renal (Thofehrn et al, 2009). Como geralmente ocorre quando se publicam dados de um centro sobre uma doença rara, esses estudos não são controlados e o número de casos é limitado, mas resumem a impressão clínica do grupo sobre os resultados positivos do tratamento. Felizmente, tive a oportunidade de participar de grupos de trabalho que avaliaram dados de um número grande de pacientes tratados com terapia de reposição enzimática de diferentes centros (inclusive do nosso) e de compará-los com pacientes não tratados (coortes grandes, relatadas na literatura). Em um desses trabalhos pudemos evidenciar um aumento de sobrevida dos pacientes tratados comparados com pacientes não tratados, bem como um melhor desempenho na evolução renal e cardíaca (Beck et al, 2015). Pouco depois realizamos um novo estudo com essas mesmas coortes, agora focalizando mais no retardo proporcionado pela terapia de reposição enzimática em relação à morbidade da doença de Fabry e ao surgimento de eventos cardíacos e cérebro-vasculares (Beck et al., 2018). Num estudo mais focalizado nos aspectos cardíacos, alguns colegas demonstraram que, após vários anos de terapia de reposição enzimática, 22 de 42 pacientes melhoraram pelo menos em um nível seu escore de insuficiência cardíaca, enquanto os escores de angina melhoraram ou ficara estáveis em 41 dos 42 pacientes (Kampmann et al, 2015) Melhoria na função cardíaca com terapia de reposição enzimática também foi observada nos pacientes incluídos em registro internacional de doença de Fabry (Giugliani et al, 2016).</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>Resumindo, somando a experiência pessoal como médico, os trabalhos do nosso grupo com nossa amostra de pacientes, e os trabalhos multicêntricos internacionais nos quais participei, não tenho dúvida sobre os benefícios da terapia de reposição enzimática para os pacientes com doença de Fabry. Certamente, critérios bem definidos sobre quais pacientes devem ser tratados e quando devem ser tratados devem ser estabelecidos, para que possamos tratar apenas os pacientes que realmente precisam e que realmente irão se beneficiar do tratamento. O que não podemos é privar todos os pacientes de um tratamento que comprovadamente traz muda a história natural de uma doença grave e que reduz a qualidade e a expectativa de vida de maneira dramática. Bibliografia citada:BECK M; HUGHES, D; KAMPMANN, C; LARROQUE, S; MEHTA, A; PINTOS-MORELL, G; RAMASWAMI, U; WEST, M; WIJATYK, A; GIUGLIANI, R. Long-term effectiveness of agalsidase alfa enzyme replacement in Fabry disease: A Fabry Outcome Survey analysis. Mol Genet Metab Rep 3: 21–27, 2015.BECK M; HUGHES, D; KAMPMANN, C; PINTOS-MORELL, G; RAMASWAMI, U; WEST, ML; GIUGLIANI R. Long-term outcomes with agalsidase alfa enzyme replacement therapy: Analysis using deconstructed composite events. Mol Genet Metab Rep. 14:31-35, 2018.GIUGLIANI, R; NIU, DM; RAMASWAMI, U; WEST, M; HUGHES, D; KAMPMANN, C; PINTOS-MORELL, G; NICHOLLS, K; SCHENK, JRM; BECK, M. A 15-Year Perspective of the Fabry Outcome Survey. J Inb Errors Metab Screen, 4: 1–12, 2016.JARDIM, LB; GOMES, I; NETTO, CBO; NORA, DB; MATTE, U; PEREIRA, F; BURIN, MG; KALAKUN, L; GIUGLIANI, R; BECKER, J. Improvement of sympathetic skin responses after enzyme replacement therapy in Fabry disease. J Inherit Metab Dis, 29:653-659. 2006.KAMPMANN C, PERRIN A, BECK M. Effectiveness of agalsidase alfa enzymereplacement in Fabry disease: cardiac outcomes after 10 years’ treatment. Orphan J Rare Dis 10: 125, 2015.THOFHERN S, NETTO C, CECCHIN C, BURIN M, MATTE U, BRUSTOLIN S,NUNES ACF, COELHO J, TSAO M, JARDIM L, GIUGLIANI R, BARROS EJG. Kidney Function and 24-Hour Proteinuria in Patients with Fabry Disease during 36 Months of Agalsidase Alfa Enzyme Replacement Therapy: A Brazilian Experience. Renal Failure, 31: 773-778, 2009</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Eu gostaria de questionar o número estimado de pacientes com doença de Fabry elegíveis para tratamento, uma vez achei o número constante na consulta pública superestimado. Muitos homens com atividade diminuída de alfa-galactosidase A apresentam mutações que são reconhecidamente associadas a formas variantes de apresentação muito tardia, para os quais o tratamento seria questionável. Da mesma forma, muitas mulheres identificadas em programas de triagem pela presença de variantes precisariam ser criteriosamente avaliadas quanto à indicação de tratamento. Penso que o estabelecimento de critérios claros e internacionalmente reconhecidos para indicação de tratamento permitira tratar os que mais precisam ser tratados, e provavelmente um número bem inferior ao estimado na consulta pública.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo da recomendação, pois trata-se de uma doença grave, progressiva e potencialmente fatal. Na ausência do tratamento, a expectativa de vida é reduzida em homens e mulheres e a doença progride inexoravelmente, levando a falência renal, doença cardíaca e múltiplos acidentes vasculares cerebrais.</p> <p>2ª - Sim, A doença de Fabry é uma doença de depósito lisossômico grave, progressiva e potencialmente fatal, causada pela deficiência de uma enzima lisossômica, a alfa-galactosidase A. A prevalência estimada da doença de Fabry é de 1 em 117 000 nascidos vivos, o que a torna uma doença rara e, muitas vezes, negligenciada. A deficiência de alfa-galactosidase A nos lisossomos dos pacientes resulta num acúmulo progressivo do glicosíngolípido, globotriaosilceramida (Gb3), nas células de muitos sistemas orgânicos, inclusive nas células epiteliais renais tubulares e glomerulares, células miocárdicas, fibrócitos valvulares, neurônios dos gânglios da raiz dorsal e do sistema nervoso autônomo, bem como células vasculares endoteliais e da musculatura lisa. Portanto, leva a uma ampla gama de sintomas em muitos órgãos, como: coração, rins, cérebro e pele, trazendo, muitas vezes, graves manifestações em um ou mais sistemas e, finalmente, podendo ocasionar a morte do paciente.</p> <p>3ª - Sim, O não oferecimento da terapia de reposição enzimática não elimina os gastos com o paciente de Fabry, uma vez que o paciente não tratado apresentará progressão da doença, levando a insuficiência de órgãos vitais, como cérebro, rins e coração, além da piora progressiva das dores neuropáticas. Tais sintomas, além de exigirem gastos de tratamento, reduzem acentuadamente a qualidade de vida dos portadores da doença.</p> <p>4ª - Sim, Como notado, as duas enzimas apresentam atuações clínicas semelhantes. Nesse sentido, deve-se optar pela alfa-galactosidase, uma vez que sua atuação é eficaz e seu custo é inferior, o que possibilitaria maior abrangência do tratamento e menor impacto orçamentário.</p> <p>5ª - Não</p>	
15/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As famílias dependem desta medicação.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, O valor da medição é muito alta. As famílias não conseguem comprar.</p> <p>4ª - Sim, As famílias precisam do medicamento para ter uma qualidade de vida melhor. O governo precisa continuar fornecendo a medicação.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do estado.</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É comprovadamente em tratamento que esse medicamento, é eficaz e proporciona vida normal para os pacientes. Essa decisão é uma arbitrariedade e desrespeito para com a vida. 2ª - Sim, Levando informações de que o medicamento é eficaz e vital para os pacientes. 3ª - Sim, O estado tem arrecadação, pagamos impostos, e a saúde é direito constitucional. 4ª - Sim, 5ª - Sim, A preocupação é econômico? Qual o valor de uma vida? Os pacientes tem direito a vida	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, No artigo de revisão dos autores Hugo Abensur e Marlene Antônia dos Reis conclui que “o acometimento renal da Doença de Fabry é precoce, envolve todos os tipos celulares, com manifestações glomerularesnd tubulares e evolui invariavelmente para doença renal terminal. Os podocitos são particularmente atingidos nesta doença. A terapia de reposição enzimática instituída precocemente e em dose adequada em combinação com agentes bloqueadores do sistema renina angiotensina tem se mostrado eficaz no tratamento das complicações renais na Doença de fabry. Artigo anexo com bibliografia e análises de diversos outros estudos demonstrando a necessidade do tratamento precoce e do uso de doses mais elevadas.</p> <p>3ª - Sim, Há necessidade de avaliação global do impacto sócio econômico sobre os pacientes de fabry quanto ao seu afastamento do trabalho, auxílios doença, aposentadoria precoce, medidas essas que aumentam em decorrencia do não tratamento ou início tardio.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos devem ter acesso a medicamentos pra tratamento de suas doenças.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Com certeza tem que ser incluído no sus</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, É muito difícil manter os medicamentos</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo estado</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantem ativos, trabalhando</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e um dever do estado. Vocês nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes, quando o estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no fim do túnel, tem mantido a vida da minha irmã e meu sobrinho.</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As famílias dependentes do medicamento o recebem desde 2009 e necessitam dele para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo o medicamento, diminui o sofrimento dos pacientes, controla a evolução da doença e os mantém ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Vocês nunca passarão por uma situação de ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes, quando o Estado faltar com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no fim do túnel, tem mantido a vida da minha amiga Adriana e seu filho.</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e depende dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantêm ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e um dever do Estado. Vocês nunca passaram por uma citação por ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel. Tem mantido a vida de muitas pessoas q fazem o uso do mesmo.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. as pessoas da familia, recebem a reposição enzimatica desde 2009, e dependem dela para a manutenção da saude</p> <p>2ª - Sim, os pacientes que recebem a reposição enzimatica, tem a função renal preservada</p> <p>3ª - Sim, medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento pelo estado</p> <p>4ª - Sim, apesar do alto custo, o estado fornecendo o medicamento, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença, e os mantem ativos e trabalhando</p> <p>5ª - Sim, saude é um direito de todos e um dever do estado, vocês nunca passaram pela situação de ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes quando o estado faltou com o medicamento, o tratamento com a reposição enzimatica foi uma luz no fim do tunel, e tem mantido as vidas da minha irmã e sobrinho</p>	
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como pode deixar pessoas que precisam extremamente por necessidade física padecer por que é muito difícil alguém no Brasil ter dinheiro para comprar esses remédios, já o estado tem de sobra, tanto que os políticos brincam o tempo todo de roubar e jogar dinheiro fora, então não custa ajudar algumas pessoas que realmente precisam!!!!!! DEUS seja louvado!!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Impacto orçamentário e o que os políticos fazem jogando dinheiro pelo ralo com obras superfaturadas e corrupção desenfreada!</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminuí o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantém ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Vocês nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes, quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel, tem mantido a vida da minha irmã e meu sobrinho.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Shire discorda totalmente com o Relatório Técnico de Recomendação referente à alfgalsidase como terapia de reposição enzimática na Doença de Fabry, publicada no DOU de 26/03/2018 através da Consulta Pública nº 13 e vigente entre os dias 27/03/2018 a 16/04/2018. A doença de Fabry se caracteriza pela deficiência da enzima lisossomal alfa galactosidase A, levando ao acúmulo de glicosfingolípídios, principalmente globotriaosilceramida (Gb3) no endotélio vascular e camada muscular lisa, nos cardiomiócitos, neurônios e células do compartimento renal, determinando uma doença multissistêmica. Entre as manifestações clínicas, apresentam-se: acroparestesia, hipoidrose, angioqueratoma, diminuição da acuidade auditiva, alterações do funcionamento intestinal, proteinúria e diminuição da função renal, hipertrofia de ventrículo esquerdo e doença cerebrovascular (Parini e Feriozzi 2013; Sestito et al. 2013). É uma doença genética com padrão de herança ligado ao cromossomo X o que determina as diferenças em relação às manifestações clínicas em homens e mulheres (Parini e Feriozzi 2013). Conforme mencionado neste relatório (pg 7), a insuficiência renal e cardíaca juntas representam as principais causas de morbidade e mortalidade nestes indivíduos e contribuem para redução da expectativa de vida que é de cerca de 50 anos nos homens e 70 anos nas mulheres (Waldek S et al. 2009- pg 7 relatório CONITEC). A recomendação inicial da CONITEC afirma que “ainda há bastante incerteza em relação aos benefícios trazidos pelos medicamentos na mudança da história natural da doença de Fabry”. Porém, os benefícios relacionados com a terapia de reposição enzimática são bem definidos na literatura. A terapia de reposição enzimática para o tratamento da doença de Fabry foi introduzida em 2001 e tem demonstrado eficácia na melhora de sintomas e estabilização da evolução da doença (Schiffmann et al. 2001; Branton et al. 2002; Spinelli et al. 2004; Hilz et al. 2004), desta forma, modificando a história natural da doença. Como em outras doenças raras, a maioria dos dados de eficácia em longo prazo da terapia de reposição enzimática é obtida a partir de estudos observacionais (Mehta et al. 2010). A base de dados Fabry Outcome Survey (FOS) foi desenvolvida para reunir dados clínicos sobre a história natural da doença e monitorar a eficácia em longo prazo e a segurança do tratamento de reposição enzimática (Mehta et al. 2004). Vale destacar que pacientes do Brasil e outros países da América Latina participam deste estudo. Em 2015, Beck M. e colaboradores publicaram os dados de seguimento de 5 anos da base FOS em comparação com os dados provenientes de 3 estudos de população com Doença de Fabry não tratada. Os seguintes desfechos foram avaliados: taxa anual de mudança na filtração glomerular estimada (eGFR), índice de massa ventricular esquerda, idade e tempo para ocorrência de desfechos clínicos e morte. A população do FOS avaliada incluiu 740 homens tratados com agalsidase alfa e seguidos por um período de 5 anos. Comparados ao grupo sem tratamento, pacientes tratados com agalsidase alfa apresentaram menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda. Homens tratados que apresentavam taxa de filtração glomerular &lt; 60 mL/min/1,73 m<sup>2</sup> apresentaram uma diminuição média anual na taxa de filtração glomerular de -2,86 mL/min/1,73 m<sup>2</sup> comparado com -6,8 mL/min/1,73 m<sup>2</sup> na população não tratada (tabela 1). O aumento médio da massa do ventrículo esquerdo foi de 0,33 g/m<sup>2</sup>.7 por ano nos homens e 0,48 nas mulheres comparados com 4,07 para homens não tratados e 2,31 para mulheres não tratadas. Os primeiros eventos e óbitos ocorreram mais tardiamente no grupo que recebeu tratamento quando comparado com o grupo não tratado. A média de idade do primeiro evento no grupo que recebeu tratamento foi de 48 anos para os homens (44.2-50.4) e de</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>56.9 anos para as mulheres (54.1-59.9), comparado a 41 anos e 53 anos no grupo não tratado. Portanto, a terapia de reposição enzimática com alfa-galsidase aumentou a estimativa da mediana de sobrevivência nos homens tratados de 77.5 anos em comparação com 60 anos nos homens que não receberam tratamento, o que evidencia que a terapia de reposição enzimática com alfa-galsidase modifica a história natural da doença, uma vez que leva ao aumento de sobrevivência. Importante mencionar que este relatório cita na página 55 que: “os dados existentes na literatura e aqui apresentados neste PTC, indicam que a TRE com alfa ou beta-galsidase tem efeito relevante na melhora da cardiopatia, traduzida por hipertrofia cardíaca e na redução do risco de eventos neurológicos nestes pacientes— respectivamente a maior causa de mortalidade e a mais frequente causa de comprometimento da qualidade de vida diária destes pacientes”, o que corrobora com a evidência de que o tratamento com TRE modifica a história natural da doença.</p> <p>Tabela 1: Mudança anual da taxa de filtração glomerular em grupos tratados e não tratados com Replagal (Beck et al. 2015)</p> <p>Subgrupos Pacientes tratados FOS</p> <p>Pacientes sem tratamento</p> <p>Média anualizada da Mudança na Taxa de Filtração Glomerular (eGFR) mL/min/1,73 m<sup>2</sup>/ano</p> <p>Média Annual da mudança na Taxa de Filtração Glomerular (eGFR) mL/min/1,73 m<sup>2</sup>/ano</p> <p>Basal eGFR &amp;#8805;60 mL/min/1,73 m<sup>2</sup></p> <p>Homens 117-1,68 (0,19) [-2,05 to -1,31]</p> <p>117-3,0 (0,1)</p> <p>Mulheres 111-0,43 (0,21) [-0,83 to -0,02]</p> <p>42-0,9 (0,9)</p> <p>Basal eGFR &lt;60 mL/min/1,73 m<sup>2</sup></p> <p>Homens 18-2,86 (0,53) [-3,90 to -1,83]</p> <p>28-6,8 (1,5)</p> <p>Mulheres 220,36 (0,42) [-0,47 to 1,19]</p> <p>13-2,1 (1,6)</p> <p>Proteinúria basal &amp;#8805;1 g/24 hours</p> <p>Homens 16-4,76 (0,56) [-5,85 to -3,66]</p> <p>22-6,9 (1,5)</p> <p>Mulheres 17-0,41 (0,51) [-1,42 to 0,59]</p> <p>5-4,6 (2,3)</p> <p>Proteinúria basal 0.1 to 1.0 g/24 hours</p> <p>Homens 74-1,62 (0,23) [-2,08 to -1,17]</p> <p>21-3,3 (1,8)</p> <p>Mulheres 70-0,44 (0,26) [-0,95 to 0,07]</p> <p>17-2,2 (2,2)</p> <p>Proteinúria urinária &lt;0.1 g/24 hours</p> <p>Homens 15-1,32 (0,48) [-2,26 to -0,38]</p> <p>18-1,6 (1,5)</p> <p>Mulheres 22-0,16 (0,42) [-0,97 to 0,66]</p> <p>7-0,6 (2,6)</p> <p>a. Dado extraído da seguinte publicação: Schiffmann R, Warnock DG, Banikazemi M, et al. Fabry disease: progression of nephropathy, and prevalence of cardiac and cerebrovascular events before enzyme replacement therapy. <i>Nephrol Dial Transplant</i>. 2009;24(7):2102-11. Nota: Os valores são expressos como média (erro padrão da média) [95% intervalo de confiança]. eGFR=estimated glomerular filtration rate (taxa de filtração glomerular estimada); FOS=Fabry Outcome Survey. Outro aspecto mencionado no relatório faz referência quais critérios seriam utilizados para definir a indicação do tratamento. A doença de Fabry apresenta variação fenotípica, mas, a definição de critérios para início do tratamento, é consensual na literatura. A recomendação europeia de tratamento determina que homens com fenótipo clássico e mulheres que apresentam mutação do gene GLA com evidência clínica da doença de Fabry - aumento de biomarcador Lyso GB3 ou familiar com diagnóstico definitivo da doença com a mesma mutação- devem ser elegíveis ao tratamento. Para homens com fenótipo não clássico o tratamento deveria ser iniciado no momento em que houver evidência clara de lesão em órgão alvo. (Recommendations for initiation and cessation of enzyme replacement therapy in patients with Fabry disease: the European Fabry Working Group consensus document, 2015). Certamente concordamos com a recomendação da PTC de que sejam “implementadas políticas de saúde e educacionais no Brasil que permitam o diagnóstico desses pacientes o mais precocemente possível, para que se faça o acompanhamento e o planejamento do início do tratamento antes da evidência de comprometimento dos órgãos e sistemas atingidos nesta doença”. O retardo diagnóstico na doença de Fabry ainda é uma realidade. A heterogeneidade dos sintomas pode levar a diferentes diagnósticos e retardar o início do tratamento.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>Estudo publicado por Reisin et al em 2016 evidenciou que o atraso no diagnóstico é de 13.7 anos para os homens e 16.3 anos para as mulheres. Sabemos o início precoce do tratamento favorece a melhor evolução da doença.</p> <p>2ª - Sim, Vide anexo</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Em relação ao impacto orçamentário, gostaríamos de reforçar o compromisso da Shire para negociar com o ministério da Saúde com o objetivo de expandir acesso aos pacientes portadores da doença de Fabry.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. AS PESSOAS RECEBEM DESDE 2009 A REPOSIÇÃO ENZIMATICA, E DEPENDEM DELA PARA SUA SAÚDE</p> <p>2ª - Sim, RECEBENDO A REPOSIÇÃO ENZIMATICA AS PESSOAS QUE RECEBEM, TEM SUA FUNÇÃO RENAL PRESERVADA</p> <p>3ª - Sim, OS PACIENTE NECESSITAM DE FORNECIMENTO PELO ESTADO, POIS SE TRATA DE MEDICAMENTOS DE ALTO CUSTO</p> <p>4ª - Sim, COM O ESTADO FORNECENDO O MEDICAMENTO, CONTROLAM A EVOLUÇÃO DESSA DOENÇA E MANTEM OS PACIENTES ATIVOS PARA SUA VIDA NORMAL, EVITANDO ASSIM O SOFRIMENTO DOS MESMOS.</p> <p>5ª - Sim, A SAÚDE É DE DIREITO DE TODO CIDADÃO, E SEI O SOFRIMENTO QUE MEUS 2 AMIGOS, SENDO MÃE E FILHO PASSARAM POR NÃO TEREM O MEDICAMENTO, QUE NÃO DESEJO PARA NINGUÉM NESSA VIDA. E ESSA REPOSIÇÃO FOI UMA LUZ NO FIM DO TÚNEL PARA ELES.</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Muitos pacientes necessitam desse medicamento para amenizar sua dor e sofrimento,tendo um pouco mais de qualidade de vida.</p> <p>2ª - Sim, Ajudando da melhor maneira, financeiro,moral,e outros.</p> <p>3ª - Sim, Medicamento muito caro sendo dever do Estado garantir saúde do paciente fornecido este medicamento.</p> <p>4ª - Sim, Ajudando para sua melhora e amenizando sofrimento do paciente,esse medicamento é indispensável na vida de que precisa.</p> <p>5ª - Sim, Temos que nos unir,ser mais humano com nosso próximo,sermos menos egoísta,pensar mais nos necessitados.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem pessoas que dependem dela para sobreviver e o tratamento é mto caro.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebe a deposicao enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Os pacientes que precisam dessa medicação não tem dinheiro para comprar pq tem um custo elevado.</p> <p>4ª - Sim, Os estado fornecendo a medicação, deixam os pacientes estáveis, diminui o sofrimentos delas, controlam a evolução da doença e os mantêm trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, O remédio é necessário para aliviar a dor, sem ele o paciente sofre muito, saúde é dever do estado.</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Uma doença rara onde no Brasil existe somente 150 portadores, segundo estatísticas Conheço uma pessoa que possui esta enfermidade é o tratamento para ela sempre foi favorável, com excelente qualidade de vida</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O que eu sei é que tenho um amigo que tem a esposa, filha e a sobrinha com esta doença. E se não conseguirem mais tomar este medicamento elas MORREM! Esta recomendação foi feita em base de que? Somente econômico? Somente estatística? Porque não desenvolvem esta enzima aqui no Brasil?</p> <p>2ª - Sim, Como comentado anteriormente, se elas não tomarem esta enzima elas MORREM, se tomarem elas VIVEM!</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os familiares dependem do recebimento destas enzimas para manutenção familiar!</p> <p>2ª - Sim, os pacientes da familia que recebem a reposição enzimatica tem a função renal preservada!</p> <p>3ª - Sim, Os medicamentos são de alto custo, sendo necessário para sobrevivência</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução das doenças e os mantem ativos e trabalhando!</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado, não é fácil ter um irmão clamando por socorro, com muitas dores, quando o medicamento foi discontinuedo. O tratamento através da reposição enzimatica foi uma luz no final do túnel, tem mantido a vida dos familiares!</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pessoas que ja fazem o uso dessa ensima ficarao sem recurso e poderao vir a obito ...naon concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Conheço pessoas que só tem alguma qualidade de vida com o medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família beneficiadas com a reposição enzimática desde 2009 dependem dela para manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento dos medicamentos pelo estado.</p> <p>4ª - Sim, Mesmo o medicamento sendo de alto custo, o Estado fornecendo a medicação aos pacientes farão que estes continuem para o controle do avanço da doença e a diminuição do sofrimentos do paciente, podendo ele tornar se ativo socialmente (trabalhando).</p> <p>5ª - Sim, A manutenção e o abastecimento de medicações é função do Estado. Ainda mais sendo de um custo exorbitante onde a maior parcela da população jamais teria condições para comprar, o Estado já arrecada um valor bem alto de impostos para que não possa ajudar uma parcela pequena da população que possui esta rara doença.</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Amigos recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, os amigos pacientes que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantem ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Voces nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro com dores , quando o Estado falto com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no fim do tunel e tem mantido a vida dos meu amigos.</p>	
16/04/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Deve ser fornecido sim remédio para a Doença de Fabrys</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O tratamento com a reposição enzimática comprovadamente reduziu a morbidade e mortalidade dos paciente com doença de Fabry.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes precisando do medicamento para poder preservar a sua saúde. e vida.</p> <p>2ª - Sim, O paciente precisa do medicamento para preservar as funções renais.</p> <p>3ª - Sim, Sem o fornecimento do medicamento pelo estado, as famílias não tem condições de de manter o medicamento pelo seu valor muito elevado.</p> <p>4ª - Sim, Mesmo com o custo elevado do medicamento, o paciente pode ter uma qualidade de vida mais estável, e podendo ser um membro ativo na sociedade, trabalhando e até mesmo ajudando em projetos sociais .</p> <p>5ª - Sim, Todos temos direito a saúde, e o dever do estado preservar está saúde.Cancelar o fornecimento do medicamento, agrava não só a saúde do paciente, como te todos os familiares e envolvidos, que serão atingidos pelo sofrimento de ver um familiar, amigo e ente querido sofrendo e agonizando.</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. as pessoas da familia recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde</p> <p>2ª - Sim, os pacientes da familia que recebem a reposição enzimatica tem a função renal preservada</p> <p>3ª - Sim, medicação tem alto custo. O paciente precisa que seja fornecido pelo Estado</p> <p>4ª - Sim, apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantém ativos, trabalhando</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Vocês nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes, quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimatica foi uma luz no fim do tunel. Tem mantido a vida de meus amigos</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É muito importante a reposição principalmente nas fases iniciais quando ainda não tem lesão em órgãos. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/04/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acho uma pouca vergonha o governo arrecadar tanto dinheiro com impostos e não suprir a necessidade dessas pessoas!! 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/04/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eu acho que o país tem que ajudar sem dúvida a essas pessoas que sofrem dessa doença, o governo já gasta nosso dinheiro com coisas absurdas e ainda rouba de todos nós, isso não é mais que a obrigação do país ajudar... 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, devido a isto, os pacientes necessitam do fornecimento do mesmo pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantêm ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado, conforme descrito na Constituição Federal.</p>	
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eu acho que o país tem que ajudar sem dúvida a essas pessoas que sofrem dessa doença, o governo já gasta nosso dinheiro com coisas absurdas e ainda rouba de todos nós, isso não é mais que a obrigação do país ajudar...</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar so alto custo, o estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantêm ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos.</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada</p> <p>2ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo estado</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento pelo estado</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantem ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do estado</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. dois amigos recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde</p> <p>2ª - Sim, Os amigos que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, por isso precisam do fornecimento pelo estado.</p> <p>4ª - Sim, Com o fornecimento pelo estado, diminui o sofrimento dos pacientes, controla a doença e os portadores se mantêm ativos trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Acesso a saúde é um direito de todos os cidadãos, ser portador de uma doença como essa não foi uma escolha deles, mãe e filho no caso. É uma situação revoltante ver pessoas que não estão bem fisicamente, ter que correr atrás e se estressar, agravando a sua saúde.. pra conseguir juntar um montante de dinheiro, que não é pouco, pra poder ter acesso a essa medicação. Receber esses medicamentos através do governo faz toda a diferença na vida dessas pessoas, porque além de controlar a doença também traz qualidade de vida pra eles.</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantêm ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Vocês nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes, quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel, tem mantido a vida da minha irmã e meu sobrinho.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Outra	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Devido a melhora clínica que citarei nas evidências clínicas, diminuição dos gastos públicos com a judicialização</p> <p>2ª - Sim, pactes evoluem com melhora da dor neuropática.(Najafian B, Tøndel C, Svarstad E, et al. One Year of Enzyme Replacement Therapy Reduces Globotriaosylceramide Inclusions in Podocytes in Male Adult Patients with Fabry Disease. PLoS One 2016; 11:e0152812.melhora da hipertrofia ventricular esquerda em pactes dialíticos. Pisani A, Spinelli L, Sabbatini M, et al. Enzyme replacement therapy in Fabry disease patients undergoing dialysis: effects on quality of life and organ involvement. Am J Kidney Dis 2005; 46:120.Pastores GM, Boyd E, Crandall K, et al. Safety and pharmacokinetics of agalsidase alfa in patients with Fabry disease and end-stage renal disease. Nephrol Dial Transplant 2007; 22:1920.Com a reposição da enzima houve melhora da função renal e diminuição da proteinúria. Germain DP, Charrow J, Desnick RJ, Guffon N, Kempf J, LachmannRH, et al. Ten-year outcome of enzyme replacement therapy with agalsidase beta in patients with Fabry disease. J Med Genet 2015;52:353-8. DOI: <a href="http://dx.doi.org/10.1136/jmedgenet-2014-102797">http://dx.doi.org/10.1136/jmedgenet-2014-102797</a>. Germain DP, Charrow J, Desnick RJ, et al. Ten-year outcome of enzyme replacement therapy with agalsidase beta in patients with Fabry disease. J Med Genet 2015; 52:353.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Com a incorporação no SUS, diminuí os gastos com a judicialização. Ademais, havendo o medicamento no SUS, o tratamento é iniciado mais rapidamente, dessa maneira, qto mais rápido o início do tratamento, menor será a progressão da função renal, caso seja iniciado ainda com a TFG &gt; 60ML/MIN, EVITANDO ASSIM a necessidade de terapia renal substitutiva ( hemodiálise). Germain DP, Charrow J, Desnick RJ, et al. Ten-year outcome of enzyme replacement therapy with agalsidase beta in patients with Fabry disease. J Med Genet 2015; 52:353.</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento do mesmo pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminuí o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantém ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Vocês nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro, com dores escruciantes, quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no fim do túnel, tem mantido a vida da minha irmã e do meu sobrinho.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Oa pacientes das familia que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo,os pacientes necessitam de fornecimento da mesma pelo estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo,o Estado fornecendo a medicação,diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantém ativos,trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever Estado. Vocês nunca passaram por uma situação de ter um rmão clamando por socorro com dores excruciantes,quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento.O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel, tem mantido a vida dos meus amigos .</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Conheço possas que realmente precisam e dependem desta medicação</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que fazem a reposição mantem as suas funções renais preservadas</p> <p>3ª - Sim, Medicação muito cara e os pacientes não conseguem pagar e é dever do estado fornecer a medicação.</p> <p>4ª - Sim, O estado fornecendo a medicação fara com que diminua a preocupação dos paciente e familiares e o mais importante controlara a doença</p> <p>5ª - Sim, A Saúde e um direito de todos e uma obrigação do estado.</p>	
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Ao declarar-se oficialmente não favorável, como ficarão os pacientes já em uso da TRE e que são responsivos? Haverá interrupção? Como justificar aos pacientes?</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Avaliação econômica adequada. Esperava-se redução maior dos preços praticadas a medida que se aumenta a demanda, fato que não ocorreu.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Entendo que os profissionais de saúde envolvidos no acompanhamento dos mais de 800 pacientes em TRE no Brasil, também deveriam ser ouvidos, numa oportunidade de exporem suas experiências e suas opiniões, já que convivem diariamente com esta população. Vejo a decisão final como excessivamente teórica e pouco prática.</p>	
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. E obrigação do governo da suporte a estas vidas que dependem de um medicamento que é muito caro e inacessível economicamente na maioria dos casos.Visto que os impostos cobrados e a arrecadação do governo nada mais são doQue para servir a sociedade afim de melhor qualidade de vida.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que recebem o medicamento periodicamente de acordo com as prescrições medicas.. mantem à função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicamento de alto custo.. dependendo do fornecimento dele pelo estado.</p> <p>4ª - Sim, Os impostos arrecadados são suficientes para manutenção dos custos destes medicamentos a estes pacientes..</p> <p>5ª - Sim, Devemos entender que vidas estão em risco neste monento.. quando vale uma vida de um ente querido seu ? Existe valor mensurável? Pois bem.. é de obrigação do Estado fornecer estes medicamentos, pois é inacessível economocamente para as familias que dependem do recurso para Vida dos enfermos.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pessoas que recebem reposição enzimática depende dela para sobreviver. Pacientes sem recursos para adquirir a reposição terão queda significativa na qualidade de vida e na expectativa de vida e irão causar superlotação nos hospitais públicos, gerando um custo ainda maior ao estado.</p> <p>2ª - Sim, Pacientes que recebem a reposição têm preservada a sua função renal.</p> <p>3ª - Sim, Muitos não poderão adquirir o medicamento devido ao alto custo, sendo fundamental o seu fornecimento pelo estado.</p> <p>4ª - Sim, Uma parcela significa da população que não poderá adquirir o medicamento irá deixar de contribuir para o estado uma vez que não poderão trabalhar, nem consumir, pagar impostos e viverão em sofrimento constante.</p> <p>5ª - Sim, O estado não pode cometer tamanha irresponsabilidade em cortar o fornecimento do medicamento na rede pública de saúde. Isso é o mesmo que praticar um crime, já que milhares de pessoas que não têm condições de adquirir irão morrer sem a reposição enzimática e lotarão os hospitais públicos, gerando ainda mais gastos para o estado. Essa é uma medida eugênica cruel que visa a excluir convívio social as pessoas desfavorecidas e eliminá-las, cortando o fornecimento daquilo que as mantém vivas.</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas que fazem uso da enzima precisam dela para a manutenção da saúde e qualidade de vida</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, A medicação é de alto custo, os pacientes precisam de seu fornecimento pelo estado</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo o medicamento, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantém ativos, trabalhando</p> <p>5ª - Sim, A saúde é dever do Estado e direito do povo. Dar o mínimo de conforto aos pacientes dessa patologia terrível, é o mínimo que o Estado deve fazer</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantem ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e um dever do Estado. Vocês nunca passaram por uma situação de ter um amigo clamando por socorro com dores encruciantes, quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel, tem mantido a vida dos meus amigos.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes precisam do fornecimento pelo Estado</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantêm ativos e trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. O tratamento através das enzimas tem mantido a vida da minha irma e da minha sobrinha.</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. levando em consideração sobre as pesquisas existente sobre a doença, alta relevância das comorbidades para os doentes, visando uma qualidade de vida para os mesmos através da terapia de reposição enzimáticas com substância já conhecida beta algazidase, tendo alguns artigos demostram resultados satisfatório para melhora qualidade de vida para os doentes e redução aos riscos de morte subta decorrente a evolução da doença.</p> <p>2ª - Sim, Segue algumas contribuições científicas.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes acometidos dessa Patologia, precisam desse medicamento, somente eles e os familiares sabem da importância desse medicamento e seus reais efeitos</p> <p>2ª - Sim, em geral os pacientes tem as funções renais preservadas e com isso são privados de Dores.</p> <p>3ª - Sim, É uma medicação de altissimo custo, e os pacientes precisam que esse medicamento seja fornecido pelo Estado</p> <p>4ª - Sim, O medicamento é de alto custo, no entanto, esse ameniza o sofrimento de que precisa, além de que a população de uma forma geral é quem paga pelas custas do medicamento através dos impostos recolhidos</p> <p>5ª - Sim, a Saude é um direito de todo cidadão, e também dever do Estado, somente que está passando por essa situação, é que sabe a importância que esse medicamento tem...</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. as pesquisas relatam melhoras na qualidade de vida do doentes afetados ocm a doença de fabry, embora seja um doença raa, contudo, conheço alguns doentes que necessitam de um tratamento que é realizado através de uma terapia de reposição enzimática</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática dès de 2009, e dependem dela para a manutenção da sua saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimentos dos pacientes. Controlam a evolução da doença e os mantêm ativos trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do estado. Vocês nunca passarão por uma situação de ter um irmão clamando por socorro, com dores excruciantes, quando o estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel, tem mantido a vida de meus amigos.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Familiares recebem a reposição enzimática desde 2009 e necessitam para manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de elevado custo, sendo o fornecimento necessário pelo estado aos pacientes.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do elevado custo, o estado fornecendo a medição, fará com que o sofrimento seja menor e um melhor controle na evolução da doença, mantendo o paciente ativo(apto ao trabalho).</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do governo/estado.Vocês nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro, com dores excruciantes, quando o estado faltou com o fornecimento.O tratamento através da reposição enzimática foi e continua sendo uma luz no fim do túnel, tem mantido a vida da esposa e filho de um amigo.</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para manutenção da saúde</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado</p> <p>4ª - Sim, Se o Estado continuar fornecendo o medicamento, reduzirá o sofrimento dos pacientes, controlará a evolução da doença e os manterá ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoa da família recebem a resposicao enzimática des de 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimentos da mesma pelo estado</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o estado fornecendo a medicação diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença, e os mantêm ativos trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do estado, vocês nunca passarão por uma situação de ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes, quando o estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel, tem mantido a vida dos meus amigos.</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família que recebem a reposição enzimática dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantem ativos e trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Vocês nunca passaram poe uma situação de ter irmãos clamando por socorro com dores excruciantes, quando o estado Faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática doi uma luz no final do túnel, tem mantido a vide de meus amigos.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pois os pacientes que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada, ou seja dependem dela para ter sua saúde preservada, e nem todos os portadores da doença tem condições para manter este tratamento no âmbito privado.</p> <p>2ª - Sim, Pois os pacientes que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, O medicamento tem um custo elevado até mesmo para famílias de classe média alta ou seja nem todos os portadores da doença tem condições para manter este tratamento no âmbito privado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do custo elevado o setor público por adquirir uma quantidade maior do que um paciente fazendo a aquisição para tratamento unitário conseguiria um custo mais baixo, além do fato de que o paciente em tratamento ainda tem condições de uma vida normal dependendo até mesmo ativo no mercado de trabalho, enquanto o paciente sem o tratamento poderá ficar afastado e sem condições de contribuir para o giro da economia do país.</p> <p>5ª - Sim, O acesso à saúde é um direito de todos e dever do Estado, tendo em vista que existem pessoas que tiveram bons resultados perante o tratamento com a reposição enzimática e o alto custo a saúde pública precisa dar suporte é condição para que esses pacientes continuem fazendo seus tratamentos e não venham perecer na dor e no sofrimento. Existem vidas que dependem disto.</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. absurdo</p> <p>2ª - Sim, pacientes que fazem uso destes medicamentos tem sido preservados a saúde.</p> <p>3ª - Sim, O custo do medicamento é muito alto para que os pacientes que fazem uso destes.</p> <p>4ª - Sim, Saúde é um dever do Estado e Direito de todos, conforme Constituição Federal de 1988, Lei 8080/1990.Art. 5º Todos são iguais perante a lei, sem distinção de qualquer natureza, garantindo-se aos brasileiros e aos estrangeiros residentes no País a inviolabilidade do direito à vida</p> <p>5ª - Sim, Os pacientes não podem ficar sem o uso dos medicamentos, não é justo ter direito a saúde e o Governo não cumprir o seu dever conforme a Contituição Federal de 1988.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Se confirmados como sendo portadores do mal, é irrevogável que o paciente tenha o direito ao tratamento clínico, que pode ofertado pelo sistema de saúde.</p> <p>3ª - Sim, Visto que tal doença apresenta-se como um caso raro com alto custo no tratamento, é necessário levar em consideração à respeito do valor entre uma vida e o financeiro</p> <p>4ª - Sim, O problema com orçamentos pode ser facilmente resolvido, caso haja a distribuição correta e coesa do dinheiro público, adquirido por meio da coleta de impostos, inclusive na área da saúde com a venda de medicamentos.</p> <p>5ª - Sim, É de extrema relevância a análise dos aspectos abordados no cancelamento da distribuição de tal medicamento, visto que haverá o rompimento de tratamentos já iniciados e possíveis novos casos, onde se descarta a vida do ser humano que está em questão e leva-se em consideração quaisquer outros fatores de baixa relevância no âmbito moral, sendo direito de todo e qualquer ser humano o acesso a saúde.</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A reposição promove qualidade de vida dos pacientes, onde estabiliza o progresso da Doença assim causando menos danos e diminui os gastos também com internações e exames complementares.</p> <p>2ª - Sim, Realizando infusões em pacientes, pode se observar a melhora deles, onde os mesmo não necessitam de internações recorrentes, gerando assim menos gasto ao governo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantém ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é direito de todos e dever do Estado. Vocês nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes, quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel, tem mantido a vida da minha irmã e meu sobrinho.</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas de família recebem a reposição enzimática desde 2011 e depende dela para manutenção da saúde</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática têm a função renal preservada</p> <p>3ª - Sim, Medicação de auto custo e o estado deve fornecer</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo o estado oferecendo a medicação diminui o sofrimento dos pacientes e mantém eles ativos</p> <p>5ª - Sim, Saúde é direito de todos e dever do estado!! O estado não deve cessar com o fornecimento jamais</p>	
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas que possuem essa doença precisam dessa medicação e não têm condições de comprar o remédio, portanto acho que o governo deve sim fornecer a medicação para quem precisa.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. tendo em vista a gravidade da doença e a incidência cada vez maior de casos sou a favor da incorporação</p> <p>2ª - Sim, a contribuição se deve aos casos em tratamento e as evidências que mutações patogênicas podem levar ao paciente a diversas comorbidades clínicas graves</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, formos analisar as consequências das comorbidades da doença, como o acompanhamento da nefrologia e hemodialise para uma família inteira as consequências financeiras podem ser maiores</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sabemos que a Doença de Fabry é uma doença genético-metabólica, sem outros fármacos disponíveis e capazes de alterar e/ou modificar a doença. É uma doença multissistêmica e que afeta sistemas essenciais como o sistema nervoso e o nefrológico, com consequências importantes, tanto quando se trata de morbi quanto em mortalidade</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Sanofi discorda totalmente com a recomendação preliminar. Fabrazyme é indicado no tratamento de longo prazo da reposição enzimática em pacientes com diagnóstico confirmado da doença de Fabry. O Fabrazyme é a única terapia de reposição enzimática que comprovou reduzir depósitos de Gb3 em tecidos e eventos associados ao risco de morte como os renais, cardíacos e cerebrovasculares, além da mortalidade em pacientes com doença de Fabry em um estudo randomizado, controlado por placebo (Eng CM et al, 2001, Banikazemi M et al, 2007). Prova disto é que Fabrazyme é a única das moléculas aprovada para tratamento de reposição enzimática para Doença de Fabry pelo Food and Drug Administration (FDA).</p> <p>2ª - Sim, O Fabrazyme é a única terapia de reposição enzimática que comprovou reduzir depósitos de Gb3 em tecidos e eventos associados ao risco de morte como os renais, cardíacos e cerebrovasculares, além da mortalidade em pacientes com doença de Fabry em um estudo randomizado, controlado por placebo (Eng CM et al, 2001, Banikazemi M et al, 2007).</p> <p>3ª - Sim, Os estudos discutem a relação custo-eficácia da TRE como um todo ao invés de considerar as duas terapias (beta-agalsidase e alfa-agalsidase) como produtos distintos, com diferentes doses e perfis de eficácia. Dadas as diferenças entre as terapias (já descritas em outras seções do documento), não é uma abordagem adequada discutir a relação custo-eficácia da TRE em geral. A discussão deveria centrar-se na terapia específica, com perfis conhecidos de dosagem, eficácia e segurança. Ainda assim, uma análise de custo-efetividade robusta para doenças raras é pouco informativa, pois mesmo que o cálculo em si possa ser realizado metodologicamente, o impacto desta abordagem pode levar a um julgamento enviesado por parte da sociedade de que esses pacientes são simplesmente caros demais para serem tratados (NICE 2006). Assim, a análise dos custos do tratamento é mais adequadamente feita através do seu impacto orçamentário.</p> <p>4ª - Sim, Parceria para o Desenvolvimento Produtivo: Como é público e notório, em especial através da Portaria GM/MS nº 731, de 26 de março de 2018, do Ministério da Saúde, a qual divulga o resultado final da avaliação das novas propostas de projeto de Parceria para o Desenvolvimento Produtivo – PDP de medicamentos, para o ano de 2017, que o Tecpar teve aprovada, dentre outras, a proposta de projeto de PDP para o produto beta-agalsidase. É também público o fato de a Sanofi Genzyme ser a detentora da tecnologia a ser transferida ao Tecpar do produto aqui em questão. Desta forma, além de todo o aqui exposto, o resultado da PDP é um elemento importante a ser considerado na análise da incorporação aqui pretendida.</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos merecem apoio farmacêutica em todo Brasil, sem exceção. E as famílias que precisam receber a reposicao enzimatica desde 2009 e dependem dela para a manutencao da saude</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que precisam dessa reposicao enzimatica tem a funcao renal preservada.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Mutações classicas e pacientes sintomaticos: tem que ser tratados.Mutações incertas : avaliarSe a doença existe e há tratamento tenho que ter direito a terapia sem via judicial.A saude é direito de todos e dever do Estado.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Empresa	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. O medicamento betagalsidase elenca a lista de produtos estratégicos do SUS publicada na Portaria GM/MS 704, de 8 de março de 2017. Ou seja, é considerado como produto necessário ao SUS para ações de promoção, prevenção e recuperação da saúde, com aquisições centralizadas ou passíveis de centralização pelo Ministério da Saúde e cuja produção nacional e de seus insumos farmacêuticos ativos ou componentes tecnológicos críticos são relevantes para o Complexo Econômico e Industrial da Saúde; Posteriormente à 64ª reunião ordinária da CONITEC, em 8 de março de 2018, o Ministério da Saúde aprovou a Parceria para Desenvolvimento Produtivo (PDP) do medicamento betagalsidase, conforme é possível verificar na Portaria GM/MS 731 de 26 de março de 2018 (anexa). Solicita-se que seja considerado o novo cenário para decisão final dessa Comissão, vez que a PDP deste medicamento permitirá o atendimento dos objetivos das PDP, definidos na Portaria de Consolidação GM/MS nº 5/2017 - Anexo XCV, tais como: ampliar o acesso da população a produtos estratégicos e diminuir a vulnerabilidade do SUS; reduzir as dependências produtiva e tecnológica para atender as necessidades de saúde da população brasileira a curto, médio e longo prazos, seguindo os princípios constitucionais do acesso universal e igualitário às ações e aos serviços de saúde; racionalizar o poder de compra do Estado, mediante a centralização seletiva dos gastos na área da saúde, com vistas à sustentabilidade do SUS e à ampliação da produção no País de produtos estratégicos; proteger os interesses da Administração Pública e da sociedade ao buscar a economicidade e a vantajosidade, considerando- se preços, qualidade, tecnologia e benefícios sociais; fomentar o desenvolvimento tecnológico e o intercâmbio de conhecimentos para a inovação no âmbito das instituições públicas e das entidades privadas, contribuindo para o desenvolvimento do CEIS e para torná-las competitivas e capacitadas; promover o desenvolvimento e a fabricação em território nacional de produtos estratégicos para o SUS; buscar a sustentabilidade tecnológica e econômica do SUS a curto, médio e longo prazos, com promoção de condições estruturais para aumentar a capacidade produtiva e de inovação do País, contribuir para redução do déficit comercial do CEIS e garantir o acesso à saúde; e - estimular o desenvolvimento da rede de produção pública no País e do seu papel estratégico para o SUS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, O medicamento betagalsidase possui PDP aprovada pelo Ministério da Saúde (Portaria GM/MS 731 de 26 de março de 2018), a qual busca fortalecer o complexo econômico e industrial da Saúde. A não incorporação deste medicamento aos protocolos dos SUS, tornará a política de PDP deste medicamento sem efeito, vez que o intuito da PDP é o fornecimento, e absorção de tecnologia de medicamentos de interesse ao SUS.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. PAREM DE DESVIAR OS IMPOSTOS, E CUIDEM DOS DOENTES.</p> <p>2ª - Sim, Somente quem tem familiares ou amigos com o mal de Fabry, sabem do sofrimento que o paciente passa. E sem o remédio, morre, de dor.</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim, A vida dos pacientes com mal de Fabry é tão ou mais valiosa do que as de quem faz uma proposta absurda de cortar o medicamento.</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pessoas conhecidas recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantém ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento, os pacientes clamavam por socorro devido as dores excruciantes. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel para manter a vida dos pacientes.</p>	
16/04/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas recebem a reposição enzimática desde 2009 e precisam dela para a manutenção de sua saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que recebem a reposição enzimática tem suas atividades renais preservadas.</p> <p>3ª - Sim, A medicação tem um alto custo, sendo necessário um fornecimento do estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, com o fornecimento do medicamento o estado ajuda a dar mais qualidade de vida aos pacientes, retardando o avanço da doença, colocando-os assim em condições de trabalhar e contribuir para a sociedade.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é direito de todos. E é obrigação do governo se preocupar com o bem estar da população. A falta deste medicamento pode ocasionar muitas dores aos doentes, os deixando incapacitados e causando muito sofrimento a eles. Com o fornecimento da reposição enzimática eles conseguem ter uma rotina normal, com um bom nível de qualidade de vida. Trazendo a eles esperança e realizando sonhos.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantém ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Vocês nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes, quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel, tem mantido a vida dos meus irmãos.</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da familia recebem o medicamendo desde 2009 e depende dele para sobreviver.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim,</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem da continuidade para sobreviverem.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática, tem as funções renais preservadas.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de custo elevado, se faz necessário o fornecimento da mesma pelo estado/governo.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do custo elevado, o estado/governo fornecendo o medicamento, alivia o sofrimento, controlam a evolução da doença, tornando-se ativos(aptos a trabalhar).</p> <p>5ª - Sim, Entendo que saúde é um direito de todos e dever do estado/governo. Vocês que nunca passaram ou tiveram um ente querido clamando por socorro, passando dores terríveis quando o fornecimento do medicamento foi interrompido pelo estado/governo. O tratamento através da reposição enzimática, foi e está sendo uma luz no fim do túnel e que tem mantido a vida de meu amigo é seu filho.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. pessoas recebem reposição enzimatica necessitam para a sauder</p> <p>2ª - Sim, os pacoentes que recebem a reposição tem a função renal preservada</p> <p>3ª - Sim, medicação de alto custo, pacientes necessitam do fornecimento pelo estado</p> <p>4ª - Sim, apesar do alto custo, o esado fornecendo o medicamento controlam a evolução da doença, diminui o sofrimento dos pacientes e os matem ativos</p> <p>5ª - Sim, saude é um direito de todos e DEVER do estado, com certeza se algum de vcs que frequentam apenas hospitais particulares um dia precisarem do atendimento do estado saberão o que nós passamos</p>	
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Porque os remedios sao carissimos e os pacientes precisam.</p> <p>2ª - Sim, Impacto ...as pessoas nao tem condiçoes de A medicação</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, O governo precisa bancar os remedios</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem, dela para a manutenção da saúde</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebe a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, o estado fornece a medicação, que diminuem o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os matem ativos, trabalhando</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto, custo o estado fornecendo a medicação, diminuí o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os matem ativos trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um dever do estado, não podemos deixar nossos compatriotas à mercê... Ou governo arca, ou se quebra patente como no caso da AIDS e fazem uma medicação genérica de baixo custo para que assim, essa responsabilidade saia das costas de governo e seus próprios pacientes consigam arcar, com os gastos! Acho muito engraçado um governo dizer que a partir daquele momento, não cobrira as despesas de certas medicações de alto custo, porem não fazem nada para baratear o medicamento, como quebra de patentes e a produção pelo estado, temos profissionais, pesquisadores doutorados, instituições que podem fazer essas medicações há um baixo custo pelo governo. Todos os anos crescem o numero de pacientes que necessitam, de medicações de alto custo, se a união, pensasse um pouco mais, teríamos laboratórios próprios para a fabricação desde mesmo, medicamentos a um custo relativamente baixo, que poderia ser vendido a baixo custo, ou fornecido, para esses pacientes; agora impor que essa obrigatoriedade não compete ao SUS seria mesmo que matarmos milhões de brasileiros por ano, pela negligencia de um estado, onde por ano são gastos milhões de forma indevida.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a manutenção da saúde</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a manutenção enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo, o Estado fornecendo a medicação, diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença ,e os mantem ativos trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. Vocês nunca passaram por um situação de ter um irmão clamando por Socorro com dores excruciantes , quando o estado faltou com o fornecimento do medicamento. O tratamento através da reposição enzimáticas foi uma luz no fim do túnel, tem dado a paz a essas pessoas que sofrem da doença</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes se beneficiam com o tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Porque acredito que o tratamento da doença de Fabry é muito importante para a qualidade de vida dos pacientes com diagnostico da doença, e facilitaria a eles o acesso hoje muito dificultado.</p> <p>2ª - Sim, Estudos comprovam que pacientes em tratamento com a alfa tem uma sobrevida de 17,5 anos de vida comparado a pacientes sem tratamento de Fabry.Alem de melhora das cardiomiopatias e qualidade de vida .</p> <p>3ª - Sim, De acordo com o relatorio feito pela Conitec ao ser incorporado a terapia de reposicao enzimatica se torna economicamente muito interessante, principalmente no caso da alfa, onde poderiam ser tratados um numero maior de pacientes que hoje.</p> <p>4ª - Sim, De acordo com o relatorio a incorporação da alfa galsidase poderia fazer uma grande economia quando comparada a compra realizada por AJ.</p> <p>5ª - Sim, Diante de tantos argumentos tecnicos e economicos nao vejo o porque de nao incorporar as terapias ao SUS, é preciso olhar para esses pacientes pois todos tem direito a saude.</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para a preservação da saúde</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada</p> <p>3ª - Sim, A Medicação é de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado, o qual já taxa excessivamente a nós e não tendo o reflexo da demanda de impostos cobrados com uma saúde de qualidade!</p> <p>4ª - Sim, Apesar de alto custo, o estado fornecendo a medicação diminui o sofrimento dos pacientes, controlam a evolução da doença e os mantém ativos, trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos e dever do Estado. É agonizante saber que tem pessoas que precisam de ajuda do estado e ao invés de terem um auxílio maior o estado abre uma liminar para que este recurso seja cancelado, então o estado tem que procurar formas de ajudar e não piorar o estado dos mesmo, pois quando estas notícias chegam aos que sofrem, é disparado inúmeros conflitos psicológicos!</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas da família recém a reposição enzimática desde 2009 e dependem dele para manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes da família que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo estado.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do custo,o Estado fornecendo a medicação,diminui o sofrimento dos pacientes controlam a evolução da doença e os mantém,ativos e trabalhando.</p> <p>5ª - Sim, Saúde é um direito de todos, é dever do Estado.Voces nunca passaram pela situação de um irmão clamando por socorro com dores excruciantes,quando o Estado faltou com o medicamento.O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no fim do túnel Tem mantido a vida dessas pessoas que amamos.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Discordo parcialmente porque reconheço que o Relatório da Conitec é muito bem elaborado e contém preocupações muito importantes sobre o uso da Terapia de Reposição Enzimática (TRE) mas penso que há muitas evidências clínicas favoráveis ao seu uso desses medicamentos e que essa conclusão preliminar deveria ser modificada para recomendar a sua incorporação ao SUS no documento final.</p> <p>2ª - Sim, DISCORDO PARCIALMENTE DA CONCLUSÃO DA COMISSÃO Em primeiro lugar gostaria de parabenizar ao GRUPO ELABORADOR DO PROTOCOLO CLÍNICO E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS PARA DOENÇA DE FABRY (DF), da CONITEC, pelo excelente trabalho, muito bem argumentado e documentado, sobre esse tema tão complexo e difícil. Como sou nefrologista e trabalho com Doença de Fabry há muitos anos, gostaria de manifestar a minha opinião pessoal e acrescentar uma publicação recente (em anexo) que resume a tarefa difícil a que essa Comissão se dedicou ultimamente. Como já muito bem descrito no documento do GRUPO, o tratamento específico da Doença de Fabry hoje se baseia na Terapia de Reposição Enzimática (TRE) com alfa-agalsidase ou beta-agalsidase, em infusões intravenosas a cada duas semanas, por tempo indeterminado, o que traz um grande peso econômico e impacto sobre a vida de muitas pessoas, sobretudo crianças. É, portanto, lícito discutir as bases científicas para a incorporação de tal tecnologia ao Sistema Único de Saúde. É importante acentuar, entretanto, que a discussão sobre a eficácia, benefícios e evidências clínicas de tal tratamento precisa considerar algumas questões fundamentais: 1) Trata-se de uma doença rara, crônica, de evolução muito lenta, que pode levar até quatro décadas para mostrar algum envolvimento clínico grave de órgãos como rins coração e cérebro, o que dificulta uma melhor avaliação através de estudos de grandes populações, o que inexistente. Porém, quando ocorre tal comprometimento de órgãos-alvo, habitualmente é muito tarde para que os efeitos de um tratamento se mostre eficaz em pouco tempo, o que dificulta a avaliação do impacto desse tratamento; 2) no momento, as evidências clínicas parecem incompletas por que os principais estudos clínicos foram realizados inicialmente em pacientes do sexo masculino com a forma clássica da doença, utilizando diferentes endpoints entre tais vários estudos. Além disso a maioria deles foi realizada em número pequeno de pacientes. Por isso, parte importante do conhecimento atual se baseia em estudos de casos em séries pequenas e análise da base de dados de acompanhamento pós-marketing e análise de sobrevivência. Assim, é realmente muito difícil retirar conclusões à prova de qualquer dúvida se o único critério for o de usar um grande e longo ESTUDO, o que levaria muito tempo. Isso não significa, no entanto, que não haja benefícios, e praticamente todos os estudos sobre TRE têm mostrado que quanto mais cedo é o seu início melhor é o resultado. Em relação aos rins, isso se traduz em redução da perda e/ou estabilização da função renal em pacientes com filtração glomerular acima de 50%, reduzindo, portanto, a DOENÇA RENAL CRÔNICA, o que não é nem um pouco desprezível em termos evolutivos. O mesmo se dá em relação ao coração, ao Sistema Nervoso Central e outros órgãos. Portanto, há sim várias evidências de proteção renal, cardíaca e neuronal com o Tratamento de Reposição Enzimática na Doença de Fabry. Recentemente (outubro de 2015), o KDIGO (Kidney Disease Improving Outcome Initiative) realizou uma reunião para a construção de um Guideline para o tratamento das complicações renais na Doença de Fabry que inclui a Terapia de Reposição Enzimática como o único tratamento atualmente disponível no mundo inteiro, analisando os seus prós e contras. Embora o Guideline com um CONSENSO ainda não tenha sido</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>publicado, as primeiras conclusões dessa reunião de especialistas foram disponibilizadas num Suplemento do <i>Kidney International</i> de 2017 (<i>Kidney International</i> (2017) 91, 284–293; <a href="http://dx.doi.org/10.1016/j.kint.2016.10.004">http://dx.doi.org/10.1016/j.kint.2016.10.004</a>), que envio em anexo. Assim, penso que, baseado nas informações disponíveis, a Terapia de Reposição Enzimática com alfa-agalsidase ou beta-agalsidase é a única forma de tratamento específico disponível no Brasil e que do ponto de vista da nefrologia deve ser instituída o mais precocemente possível. Portanto, opino que essa forma de tratamento deva ser incorporada ao Sistema Único de Saúde.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas recebem a reposição enzimática desde 2009 e dependem dela para manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que recebem a reposição enzimática tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, Medicação de alto custo,os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo Estado</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo,o Estado fornecendo a medicação,diminui o sofrimento dos pacientes,controlam a evolução da doença e os mantém ativos,trabalhando</p> <p>5ª - Sim, Saúde e um direito de todos e dever do Estado.Vocês nunca passaram por uma situação de ter um irmão clamando por socorro com dores excruciantes, quando o Estado faltou com o fornecimento do medicamento.O tratamento através da reposição enzimática foi uma luz no final do túnel,tem mantido a vida da minha irmã e meu sobrinho</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A estabilização da doença por si só deva ser considerada como um objetivo ou desfecho importante na doença tratável. A curva de Kaplan Meier mostra a diminuição de mortalidade tanto na versão Beta como Alfa do medicamento, com melhores respostas a longo prazo da versão Beta comparada a história natural da doença não-tratada (Schiffmann et al. Nephrol Dial Transplant (2009) 24: 212-2111).</p> <p>2ª - Sim, À época do diagnóstico da DF do ponto de vista fisiopatológico a doença já está instalada e progressivamente segue o seu curso natural para as complicações clínicas. A triagem neonatal para a DF irá mostrar o quanto antecipado são as manifestações orgânicas em um acompanhamento prospectivo comparado aos casos baseados em uma revisão de sintomas e/ou sinais baseado no diagnóstico clínico. A curva de Kaplan Meier nos casos não-tratados mostram a contra-prova do trabalho anexo aos casos tratados (Schiffmann et al. Nephrol Dial Transplant (2009) 24: 2102-2111).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A estabilidade clínica da doença como desfecho positivo dos pacientes tratados, os estudos familiares com reconhecimento precoce (pré-sintomático) dos familiares com os genótipos patogênicos e a triagem neonatal serão de suma importância para aumentar a robustez das evidências voltadas para DF</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há poucos casos dessa doença no país e essas pessoas recebem a reposição há anos, precisam continuar recebendo para manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Medicamento de alto custo, nem todas as famílias podem manter.</p> <p>4ª - Sim, Não é possível alegar o impacto orçamentário no governo. Há pouquíssimas pessoas usufrindo desde medicamento e as doses devem ser mantidas.</p> <p>5ª - Sim, Conforme nossa constituição federal diz, O PRINCÍPIO DA LEGALIDADE NO ESTADO DE BEM-ESTAR SOCIAL deve ser mantido e é de responsabilidade do estado prover o bem-estar para população que não tem condições.</p>	
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas dependem do medicamento para manutenção da saúde.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que recebem o medicamento tem a função renal preservada.</p> <p>3ª - Sim, O custo do medicamento é muito alto e os pacientes não tem condições de comprar.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/04/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A terapia de reposição enzimática é amplamente aceita com vasta literatura de sua eficácia. Durante o relatório houve uma acentuada referência de sua boa utilização, porém a conclusão não cedeu ao seu uso, o que denota mais uma opção pelo custo do que pelo benefício em si.</p> <p>2ª - Sim, A Doença de Fabry, doença de depósito lisossômico, genética, que apresenta grande possibilidade de dano, principalmente renal e cardíaco, mas não muito menos importante, causadora de grande mobilidade quando se relaciona a dor, mesmo quando se apresenta em idades mais precoces. A terapia de reposição enzimática encontra respaldo na literatura quando se relaciona a melhora da sobrevida e diminuição da morbidade. No relatório houve dificuldades na adequação de quando começar a terapêutica e quando não indicar, sendo este um dos empecilhos a sua aplicação no SUS. Porém nas referências bibliográficas não se encontra o Consenso Europeu, encabeçado por Biegstraaten e colaboradores a respeito do início e cessação da terapia de reposição enzimática publicado em 2015 e que se segue em anexo com DOI 10.1186/s13023-015-0253-6. Há uma revisão que corrobora com a terapêutica, publicada em 2018 na Molecular Genetics and Metabolism, 2018 por Ortiz e col, sob doi.org/10.1016/j.ymgme.2018.02.014 que detalha a personalização em cada caso. Em relação as crianças, um relatório americano publicado também na Molecular Genetics and Metabolism, 2015, sob http://dx.doi.org/10.1016/j.ymgme.2015.10.007, com Hopkin e colaboradores, sobre as nuances e particularidades do diagnóstico, tratamento desta tão sensível faixa etária.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. a TRE está fortemente embasada em artigos científicos evidenciando melhora clinica na evolução da Doença e proteção contra novos eventos , sendo portanto completamente contrária a recomendação preliminar da CONITEC</p> <p>2ª - Sim, segue em anexo artigos e evidencias científicas que evidenciam a importância e necessidade da TRS na evolução da doença</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. as pessoas da familia recebem a reposicao enzimatica desde 2009 e depende dela a manutençao da saude</p> <p>2ª - Sim, os pacientes da familia que recebem a reposicao enzimatica tem a funcao renal preservada</p> <p>3ª - Sim, medicaçao de alto custo, os pacientes necessitam do fornecimento da mesma pelo estado</p> <p>4ª - Sim, apesar do alto custo, o estado fornecendo a medicaçao, diminui sofrimento dos pacientes, controlam a evoluçao da doenca e os mantem ativos trabalhando</p> <p>5ª - Sim, saude é um direito de tods e do estado</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas que são beneficiadas pela reposição enzimática desde 2009, contam com isso para terem uma qualidade e sobrevida, visto que, com o tratamento a mesma aumenta consideravelmente .</p> <p>2ª - Sim, O uso da reposição enzimática, aumenta a sobrevida e confere qualidade de vida aos pacientes.</p> <p>3ª - Sim, O elevado custo do tratamento, faz com que, o Estado forneça o mesmo. Tendo em vista que o poder aquisitivo da população não é o suficiente.</p> <p>4ª - Sim, Com o fornecimento do medicamento pelo Estado, fornece aos pacientes condições para se tornarem ativos e no mercado de trabalho.</p> <p>5ª - Sim, Devemos lembrar que é direito de todos o acesso à saúde, e que as famílias que têm pessoas portadora da doença, sofrem muito com tudo isso e sem o tratamento a sobrevida desses pacientes é bem menor.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Isso é o cúmulo da ignorância e negligencia para com os pacientes portadores</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Portadores da doença de Fabry , apresentam melhora importante da sintomatologia, após início da terapia de reposição enzimática . Assim como reduzem acometimento orgânico importante .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pois vale apenas tratar das poucas pessoas que tem a doença no Brasil mesmo com o custo alto!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/04/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Precisa continuar fornecendo esse tratamento gratuito!! 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/04/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. A resposta clínica subsequente à terapia de reposição enzimática para doença de Fabry não é tão boa quando comparada com a evolução de outros erros inatos do metabolismo, como por exemplo, doença de Gaucher, doença de Pompe, ou mesmo mucopolissacaridose tipo 1, 2 ou 6. Existe um consenso emergente de que a terapia de reposição enzimática para doença de Fabry tem, no máximo, impacto limitado sobre os desfechos de longo prazo. Estudos de diferentes centros indicam que a taxa de complicações cardíacas, renais e cardiovasculares é semelhante quando coortes tratadas e não tratadas são comparadas. É possível que alguns pacientes respondam melhor que outros à terapia de reposição enzimática, e inclusive que alguns pacientes não sejam responsivos a esta modalidade terapêutica. Contudo, não há uma seleção prévia de pacientes que poderiam ser beneficiar de terapia de reposição enzimática, e há escassa literatura a respeito. Não há indicação formal de tratamento com terapia de reposição enzimática para mulheres sem doença significativa. Entretanto, este dado aparentemente não é levado em conta na seleção de pacientes para eventual tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. sempre é bom ter recomendações, esclarecimentos sobre a doença.</p> <p>2ª - Sim, DEVERIA TER MAIS CLINICAS OU PROFISSIONAIS PARA ACOMPANHAMENTO DA DOENÇA, EM ESPECIALIDADE.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, é uma medicação cara e muitos pacientes não tem condições de comprar, como eu. por conta preciso da assistência do sus, governo, para fazer o TRE.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como ilustrado a seguir, a reposição enzimática tem importante impacto na qualidade de vida, risco de progressão para insuficiência renal e cardíaca e neurológica em pacientes com doença de Fabry. Ademais, saliento que a incorporação do tratamento de reposição enzimática dentro de protocolos mais bem definidos e auditados certamente levariam a uma redução dos custos exorbitantes da judicialização já existente para o tratamento da doença de Fabry no SUS.</p> <p>2ª - Sim, Diversos estudos tem demonstrado o impacto clínico da terapia de reposição enzimática para doença de Fabry:- Em um ensaio clínico duplo cego e controlado por placebo avaliou eficácia e segurança do tratamento com alfa-galactosidase em pacientes do sexo masculino &gt;18 anos, observou-se melhora da dor neuropática, da qualidade de vida relacionada à dor, função renal, níveis plasmáticos de glicosíngolipídios e função cardíaca (Schiffmann R. et al. 2001).- Em outro ensaio clínico fase 3, randomizado e controlado por placebo em 15 pacientes do sexo masculino observou-se uma redução significativa na massa do ventrículo esquerdo em pacientes tratados com alfa-galactosidase 0,2 mg/kg em semanas alternadas por 6 meses (Hughes et al. 2008).- Um estudo de coorte de 5 anos do grupo Fabry Outcome Survey (FOS) comparou o tratamento com alfa-galactosidase com dados provenientes de 3 estudos de população com doença de Fabry sem tratamento. O grupo tratado com alfa-galactosidase apresentou menor declínio da função renal e menor progressão da hipertrofia ventricular esquerda, além de sobrevida estimada de mais 17,5 anos (Beck et al. 2015).- Adicionalmente, uma análise retrospectiva de 10 anos de homens e mulheres com idade &gt;14 anos que receberam tratamento com alfa-galactosidase demonstraram melhora nas funções cardíacas como sintomas de insuficiência cardíaca e angina (Kampmann et al. 2015). Salienta-se que diante da raridade da enfermidade de Fabry e da conseguinte limitação para produção de ensaios clínicos de larga escala, os estudos acima listados são mais do que suficientes para prover evidências do impacto do tratamento na evolução dos pacientes. Adicionalmente salienta-se que a incorporação do tratamento de reposição enzimática dentro de protocolos mais bem definidos e auditados certamente levariam a uma redução dos custos exorbitantes da judicialização já existente para o tratamento da doença de Fabry no SUS.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A TRE SE MOSTRA MUITO SEGURA E EFICAZ PARA O PACIENTE QUE CONHEÇO.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, A COMPARAÇÃO ESTÁ SENDO REALIZADA ERRONEAMENTE. A COMPARAÇÃO TEM QUE POR DOSE E NÃO POR FRASCO.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, BENEFÍCIO CLINICO E NA QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES USUÁRIOS DA TRE.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. PACIENTES TEM BENEFICIO COM A TRE. TANTO NA EFICACIA QUANTO NA QUALIDADE DE VIDA.</p> <p>2ª - Sim, A COMPARAÇÃO TEM QUE POR DOSE E NÃO POR FRASCO.</p> <p>3ª - Sim, A COMPARAÇÃO ESTÁ ERRADA - FRASCO X FRASCO. O CORRETO É DOSE. POIS O BENEFICIO É DOSE DEPENDENTE.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. TRE É EFICAZ PARA O TRATAMENTO.</p> <p>2ª - Sim, A AVALIAÇÃO TEM QUE SER FEITA POR DOSE E NÃO FRASCO.</p> <p>3ª - Sim, TRATAMENTO É DOSE DEPENDENTE</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, RESULTADOS CLINICOS E DE IMAGEM PARA OS PACIENTES EM TRATAMENTO.</p> <p>3ª - Sim, RESULTADO DO TRATAMENTO É DOSE DEPENDENTE E A AVALIAÇÃO ESTÁ SENDO FEITA FRASCO X FRASCO</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, COMPARAÇÃO ERRADA - TRATAMENTO TEM QUE SER COMPARADO POR DOSE E NÃO POR FRASCO.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. NÃO concordo, pois há pacientes em tratamento com benefícios importantes na qualidade de vida e sintomas associados a doença. Por se tratar de doença rara, e poucas serem tratáveis, é preciso atenção aos pacientes de Fabry.</p> <p>2ª - Sim, Em anexo, estudo de 10 anos com 52 pacientes utilizando beta agalsidase onde demonstrou que 81% dos pacientes não tiveram eventos clínicos e 94% deles permaneceram vivos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/04/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. A doença de Fabry é uma doença hereditária rara. Os pacientes com este diagnóstico devem ser tratados.</p> <p>2ª - Sim, A doença de Fabry é uma doença hereditária rara. Os pacientes com este diagnóstico devem ser tratados e precisam ter acesso ao tratamento para retardar a progressão para o desfecho clínico da doença cardíaca, renal, cerebrovascular, com controle da dor neuropática, com melhora da qualidade de vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	