

## Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Eltrombopague olamina no tratamento da Púrpura Trombocitopênica Idiopática (PT - CONITEC)

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/05/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os paciente com diagnóstico de PTI que não respondem ao tratamento com corticosteroides precisam ter um tratamento de segunda linha eficaz. Usamos no nosso estado Imunoglobulina Humana que é liberada pelo SUS e tem um custo extremamente alto e uma duração de resposta extremamente curta.</p> <p>2ª - Sim, a taxas de resposta de Eltrombopag na PTI é alta com poucos efeitos adversos. Já tivemos oportunidade de usar em alguns pacientes com uma resposta muito boa</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, tenho experiências com o uso dessa medicação em pacientes com excelente resposta, que mudaram a qualidade de vida o risco de sangramento</p>	
28/05/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esse medicamento e muito importante é necessário para pacientes portadores de Púrpura trombocitopênica idiopática -PTI</p> <p>2ª - Sim, Sou irmão de uma portadora de púrpura trombocitopênica idiopática(PTI).E para ela e super necessário essa medicação, ela realizou a solicitação.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/05/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A recomendação está em total desacordo com a avaliação apresentada pela SCTIE e todos os achados levantados como contras, não são reais e podem ser comprovados por estudos clínicos publicados referentes ao eltrombopague.</p> <p>2ª - Sim, Os estudos anexados, TRA, RAISE, REPEAT, EXTEND e pediátricos PETIT e PETIT2 respondem todas as negativas desta consulta, demonstrando que estes achados não são verdadeiros. Não há incertezas referentes a eficácia deste medicamento (pode ser confirmado com os estudos RAISE, TRA 100773B, REPEAT e EXTEND e os estudos pediátricos PETIT e PETIT2. Houve melhora na qualidade de vida do paciente e também melhora nas condições clínicas (estudo RAISE e meta-análise baseada em 6 estudos randomizados). Por fim, existem dados sim de eficácia e seurança am longo prazo deste medicamento, sendo comprovado pelo estudo EXTEND com dados de acompanhamento de mais de 9 anos dos pacientes</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Nesta nota técnica não foi levado em consideração os altos custos de resgate com Imunoglobulina e internações recorrentes devido a sangramentos que ocorrem comunmente nestes pácientes.</p> <p>5ª - Sim, O sofrimento deste pacintes, principalmente com muitos anos de tratamento com corticóide é terrível e o acesso a imunoglobulina é muito difícil devido ao seu alto custo e ainda assim, muitos pacientes não respondem também a este tratamento, seguindo com um prognóstico terrível.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
30/05/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Benefício muito grande para os pacientes com PTI. O tratamento elimina a necessidade e procedimentos dos "tratamentos" standard no mercado.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/05/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Recomendação não está em conexão com a avaliação apresentada pela SCTIE.</p> <p>2ª - Sim, Evidências clínicas de diversos estudos realizados com eltrombopague. Estudo EXTEND 2017</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Não foi avaliado pela CONITEC os altos custos com imunoglobulina e internações recorrentes destes pacientes devido sangramento</p> <p>5ª - Sim, Existem casos de PTI que já foram submetidas a corticóide altas doses, imunossupressores (ciclosporina), imunoglobulina, esplenectomia e não respondem , ou seja, após a intervenção com estas medicações e procedimentos supracitados , retornam com plaquetopenia grave e risco de sangramentos ameaçadores de vida ( plaquetopenia &lt; 10.000).E muitos destes casos respondem ao eltrombopague.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Devemos ter opções de tratamento para evitar a judicialização</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os argumentos utilizados para a recomendação não favorável estão completamente desatualizados. Há justificativa clínica e evidências científicas suficientes para que pacientes com PTI não precisem mais ser expostos aos efeitos danosos da imunossupressão em longo prazo.</p> <p>2ª - Sim, Eltrombopague é capaz de induzir remissão da PTI com melhora na qualidade de vida, redução do sangramento e já tem estudo de acompanhamento em longo prazo mostrando-se segura e bem tolerada pelo estudo EXTEND.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
05/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes refratários ao tratamento convencional devem ter mais uma opção terapêutica. Já que o eltrombopag é muito eficaz e tem um perfil de segurança favorável, considero adequado para tratamento a partir da 3ª linha.</p> <p>2ª - Sim, Resultado do estudo EXTEND após 2 anos de seguimento: Safety and efficacy of long-term treatment of chronic/persistent ITP with eltrombopag: final results of the EXTEND study Raymond S.M. Wong, Mansoor N. Saleh, Abderrahim Khelif, Abdulgabar Salama, Maria Socorro O. Portella, Paul Burgess and James B. Bussel Blood 2017 :blood-2017-04-748707; doi: <a href="https://doi.org/10.1182/blood-2017-04-748707">https://doi.org/10.1182/blood-2017-04-748707</a> Estudo retrospectivo de "vida real" da Coreia: Efficacy and safety of eltrombopag in adult refractory immunethrombocytopenia Yeo-Kyeoung Kim, Seung-Sin Lee, Sung-Hoon Jeong, Jae-Sook Ahn, Deok-Hwan Yang, Je-Jung Lee, Hyeoung-Joon Kim <a href="http://dx.doi.org/10.5045/br.2015.50.1.19">http://dx.doi.org/10.5045/br.2015.50.1.19</a> Blood Res 2015;50:19-25</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
05/06/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
05/06/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
05/06/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Fundamental ao paciente com PTI refratario 2ª - Sim, Estudo Extend 2017 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
05/06/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A incorporação do medicamento eltrombopag é fundamental no tratamento dos pacientes refratários 2ª - Sim, Conforme o estudo extend 2017 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Importante incorporacao do eltrombopague no sus para tratamento de pacientes portadores de pti que encontram se desassistidos pelas opções do PCDT vigente .</p> <p>2ª - Sim, Estudo Extend publicado recentemente tem acompanhamento superior a 9anos.Possui evidência de eficácia e segurança a longo prazo</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Acredito que a conitec não avaliou os altos custos de resgate com imunoglobulina e internações recorrentes</p> <p>5ª - Não</p>	
05/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A incorporação de eltrombopag no SUS é fundamental para o tratamento de pacientes com diagnóstico de PTI não respondedores ao corticoide.</p> <p>2ª - Sim, O Estudo EXTEND com mais de 9anos de acompanhamento possui evidências quanto à eficácia e segurança de eltrombopag a longo prazo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Os altos custos desses pacientes com uso de imunoglobulina e internações hospitalares por sangramento justificam a incorporação do eltrombopag no rol do SUS.</p> <p>5ª - Não</p>	
05/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Estudos clínicos favorecem o uso do medicamento para pti</p> <p>2ª - Sim, Indicações clínicas</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Usei em pacientes refratários a imunossupressão e inclusive já esplenectomizados, com ótima resposta.</p> <p>2ª - Sim, Estudo EXTEND com mais de 9 anos de acompanhamento mostra evidências quanto à eficácia e segurança a longo prazo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O custo de tratamentos com imunoglobulina humana e Rituximabe , com respostas por vezes transitórias, são muito mais altos.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Nas Considerações Gerais, ao final, descreve-se que "Em face ao exposto, recomenda-se a incorporação de eltrombopague olamina para o tratamento de crianças e adultos com PTI crônica após falha às estratégias medicamentosas com corticosteroides, igIV e à esplenectomia, devido a ser uma alternativa na qual todas os tratamentos anteriores não apresentaram resultados satisfatórios." A seguir, recomenda-se a não incorporação, sem explicitar-se qual é(são), claramente, o(s) motivo(s) desta recomendação. Levando-se em conta que as meta-análises citadas reportam taxas de resposta superiores a 50% dos casos, mantidas ao longo do tratamento, e que as outras opções, historicamente, fornecem taxas de resposta inferior a 1/3 dos pacientes, apreendo que eficácia não superior aos tratamentos padronizados não é um dos motivos. Quanto ao perfil de segurança, de fato não há seguimento de muito longo prazo, mas as alternativas terapêuticas (ciclofosfamida, azatioprina, danazol, vinxristina,...) sabidamente não são isentas de risco de complicações graves de longo prazo. Em relação à análise econômica, ver comentário abaixo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, A análise econômica projeta que o número de pacientes para tratamento de PTI refratária a corticoides, IVIg e esplenectomia deve triplicar ao longo dos próximos poucos anos. Isto não faz sentido, uma vez que a taxa de diagnóstico de PTI não tem aumentado e que as drogas atualmente utilizadas são antigas e que menos de 1/3 destes pacientes é mantido em uso prolongado destas drogas (devido à ineficácia). Portanto, esta população de pacientes refratários devia estar relativamente estável, e não em crescimento por progressão aritmética como indica a projeção. Talvez o crescimento do número de pacientes com CEAF observado de 2013 a 2017 pode ser explicado por falta de preenchimento, notificação e cobrança destes procedimentos, e não por crescimento real desta população.</p> <p>4ª - Sim, O impacto orçamentário fica comprometido porque a população alvo foi superestimada (ver comentários acima)</p> <p>5ª - Sim, A eficácia e segurança parecem estar bem demonstradas. Acredito que o impacto orçamentário baseia-se em análise de dados incompletos, e que a estimativa de pacientes para uso de Eltrombopag esteja muito superestimada. Assim, considerando-se um impacto orçamentário bastante inferior ao estimado, opino por recomendar a inclusão do medicamento. Declaração de Conflitos de Interesse potenciais: já fui pesquisador principal de ensaios multicêntricos patrocinados pela Novartis; Já tive participação em eventos científicos com apoio financeiro da Novartis</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. revolade tem boa resposta no tratamento de aplasia e PTI CRONICA, SEM NECESSIDADE DE CIRURGIA E SUAS COMPLICAÇÕES</p> <p>2ª - Sim, REVOLADE COM BOA EVIDENCIA NO TRATAMENTO CLINICO E CIENTIFICAMENTE COMPROVADA COM BASE EM LITERATURA</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
06/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. hoje o eltrombopague, é utilizado com boa resposta ekm pacientes refratários a esplenectomia. seu uso é seguro, apresenta menos efeitos colaterais que as medicações padroes.além disso o custo é mais barato que o uso de imunoglobulina humana.</p> <p>2ª - Sim, pacientes que tem acesso ao sitema privado de saude, usam eltrompag com excelente resposta. tenho experiencias nesse setor, e gostaria que os pacientes do SUS, respeitando o principio da universalidade do SUS, também tivessem acesso a essa medicação.</p> <p>3ª - Sim, 1 dose de imunoglobulina, consegue manter o custo de eltrombopague por 2 anos. Isso contando apenas o custo da medicação. Se formos levar em consideração os custos paralelos de hospitalização, veremos que esse custo é bem maior.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, hoje é um crime voce utilizar drogas imunossupressoras para pacientes com pti, com efeitos colaterais graves, inclusive tendencia a aumento de neoplasia, tendo disponível uma medicação com eficácia e segurança. Apenas o conitec deu esse parecer com desfavorável, hoje qualquer literatura mais recente, o eltrombopague é utilizado em PTI com forma segura e eficaz.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
06/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, DE ACORDO COM OS DIVERSOS ESTUDOS JA PUBLICADOS E TAMBEM O ESTUDO EXTEND QUE NAO FOI CONSIDERADO NO DOSSIÊ.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, A CONITEC NAO COLOCOU OS ALTOS CUSTOS DE RESGATE COM IMUNOGLOBULINAS, E INTERNACOE RECORRENTES DEVIDO A SANGRAMENTOS</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. As evidências científicas e a minha prática clínica e a de muitos colegas mostram que há melhora nos parâmetros laboratoriais e uma melhora significativa na condição clínica. Você ter em mãos um adulto jovem, esplenectomizado, com PTI refratária ou cortico-dependente, sem qualquer outra opção de tratamento e perceber ter uma melhora da contagem de plaquetas de forma que o paciente esteja fora do risco ou pare de sangrar, em minha opinião, é uma melhora clínica significativa. Concordo que o efeito quanto ao uso prolongado do medicamento e o aumento dos efeitos colaterais é preocupante, mas não resolve pensar em longo prazo se o seu paciente morrer de sangramento antes. Quanto a sustentabilidade de resposta, não considero que isso seja um argumento. Se o paciente parar de responder, deve-se suspender a medicação, portanto, sem custo para o sistema.</p> <p>2ª - Sim, Vide meu comentário acima.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Tenho três pacientes em uso de eltrombopag, todos eles através de mandado judicial para fornecimento pelo SUS. Os pacientes se informam, com redes sociais, sites de busca, etc e acabam sabendo da medicação, e considero muito difícil negar ao paciente a possibilidade de uso do medicamento, até mesmo porque acredito no seu efeito. Uma incorporação ao sistema, por exemplo, para pacientes recidivados ou refratários à esplenectomia ou para os pacientes com contraindicação à realização da mesma possivelmente custaria menos ao sistema público do que a compra para pacientes isolados.</p> <p>5ª - Não</p>	
06/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. RECOMENDAÇÃO TOTALMENTE DESCONEXA COM A AVALIAÇÃO APRESENTADA PELA SCTIE.</p> <p>2ª - Sim, De acordo com as evidencias clínicas e resultados apresentados nos estudos clínicos, a exemplo o Estudo EXTEND 2017, que não foi relacionado no dossiê.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Analise dos altos custos com o uso das Imunoglobulinas, internações recorrentes devido a sangramentos.</p> <p>5ª - Sim, Acompanho paciente do sexo feminino , diagnóstico em 2002 de PTIC, que já fez uso de corticoide , esplenectomizada, imunossupressores, imunoglobulina, sem resposta. em 2006,diagnóstico de segunda doença hematológica, Leucemia Mielóide Crônica, em tratamento com Inibidor tirosinoquinase, atualmente de segunda geração. evolui com sangramento cutâneo mucoso e do trato intestinal, e níveis plaquetários em torno de 5.000/mm3, só resolvendo com o uso do ELTROMBOPAGUE.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como médico hematologista trato de muitos pacientes que não responderam às alternativas de tratamentos propostas pelo SUS. Além disto, o eltrombopag já demonstrou ser superior em eficácia, segurança e comodidade para os pacientes.</p> <p>2ª - Sim, O eltrombopag tem êxito comparável à esplenectomia. O eltrombopag é superior ao rituximabe e ao micofenolato. O eltrombopag é mais barato que os imunoglobulina humana</p> <p>3ª - Sim, Estudos de fármaco -economia mostram as vantagens do eltrombopag em relação à imunoglobulina, que é padrão e muito onerosa.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Agonista da trombopoetina é uma opção promissora naqueles pacientes refratários ao corticóide, portanto deveria ter seu uso liberado como segunda linha de tratamento juntamente com a esplenectomia e outros imunossupressores.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/06/2018	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>	
07/06/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, De acordo com publicação de 2017 fo estudo extend. Há evidências de segurança e eficacia a longo prazo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O custo de terapias de resgate com imunoglobulina, internações e infecções recorrentes, necessidade transfusional precisam ser considerados.</p> <p>5ª - Não</p>	
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Ressalto os diversos estudos com o medicamento e a publicação do estudo extend , que não foi considerado no dossie</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/06/2018	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>	
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos os estudos mostram resultados relevantes para os pacientes que fizeram uso destas medicações</p> <p>2ª - Sim, Acrescentar estudo EXTEND que não foi considerado</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, è necessário acrescntar os custos de internamentos recorrentes , uso de Imunoglobulinas e ausencia de trabalho</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. esta medicação é de extrema importancia no tratamento dos pacientes com purpura trombocitopenia imune e aplasia de medula óssea</p> <p>2ª - Sim, tenho varios pacientes com PTI - purpurta trombocitopenia imune que foram refratasrios a outros tratamentos preconizados e apresentavam sangramentos ou tinham alto risco de sangramentos que iniciaram a medicação e responderam muito bem e hoje apresentam uma qualidade de vida normal e sem risco de sangramentos graves</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/06/2018	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, O eltrombopag é o único medicamento oral para tratamento da PTI refratária ao corticoide e para pacientes esplenectomizados que não tinham essa alternativa anteriormente.</p>	
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes refratários a tratamento prévio para PTI tem apresentado melhora com uso de Eltrombopag, com elevação de níveis plaquetarios e menos risco sangramento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é claramente 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
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eltrombopague já é internacionalmente reconhecido, recomendado e referendado como opção terapêutica na PTI.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Como profissional médico, considero que a não oferta de Eltrombopague como ferramenta terapêutica na PTI, fere o Código de Ética Médica, ademais do Código de Defesa do Consumidor e Código Civil, enquanto responsável de fato e de direito pelo desfecho clínico do indivíduo com tal enfermidade.</p>	
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Importante em pti refratária ao arsenal do sus</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As opções no SUS além de corticoide, Apos isso demonstraria superioridade e vantagens no trat com Revolade X Esplenectomia, corticoide e IViG. Rituximabe não eh disponível uma vez que não esta em bula. Não há outras opções diosniveis e o eltrombopag eh um medicamento consolidado mundialmente. Desta forma, concordo c o parecer técnico apresentado pelo Hosp Oswaldo Cruz e eventuais incertezas a respeito do eltrombopag são muito menores do que os benefícios comorovados</p> <p>2ª - Sim, Estudo EXTEND MOSTROU EVIDÊNCIAS CLÍNICAS QUANTO A EFICÁCIA E SEGURANÇA A LONGO PRAZO. Além deste, tenho conhecimento do Estduos RAISE E PÉTIT 1 e PÉTIT 2 PARA TRATAMENTO da PTI PEDIÁTRICA. A Romiplostima outra opção disponível no Brasil eh de uso endovenoso e de difícil manejo em relação ao tratamento oral.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O custo de resgate da imunoglobulina e internações recorrentes por sangramento e complicações do corticoide deve ser comparado ao custo unitário do eltrombopag. A avaliação de custo efetividade para o serviço de saúde ingles considerou o eltrombopag favorável para aquele país em relação a romiplostim.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. recomendação totalmente desconexa com avaliação apresentada pela SCTIE.</p> <p>2ª - Sim, RESSALTAR OS DIVERSOS ESTUDOS E A PUBLICAÇÃO DO ESTUDO extend que nao foi considerada no dossie.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, A CONITEC NAO COLOCOU COLOCOU OS ALTOS CUSTOS DE RESGATE COM IMUNOGLOBULINA E INTERAÇÕES RECORRENTES DEVIDO A SANGRAMENTO.</p> <p>5ª - Sim, JÁ ACOMPANHEI PACIENTES QUE CONSEGUIRAM O TRATAMENTO ATRAVES DE DEMANDA JUDICIAL E OS RESULTADOS FORAM MUITO BONS, POIS OS PACIENTES ADQUIRIRAM UMA QUALIDADE DE VIDA SEM EPISODIOS DE SANGRAMENTO, BEM COMO POR TER UA APRESENTAÇÃO EM CAPSULA FAVORECE A ADESAO.</p>	
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem pac que só respondem ao fármaco estimulante de produção plaquetasComo não dispõe no Sus termina judicializando gerando mãos custo ao estado</p> <p>2ª - Sim, Crie se protocolos claros com a indicação precisa</p> <p>3ª - Sim, Judicializar fica muito mãos caro ao Estado</p> <p>4ª - Sim, São casos de exceção que tem indicação do fármaco</p> <p>5ª - Não</p>	
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trabalhos demonstram resposta eltrombopague em PTI</p> <p>2ª - Sim, Trabalhos científicos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As opções no SUS além de corticoide, Apos isso demonstraria superioridade e vantagens no trat com Revolade X Esplenectomia, corticoide e IViG. Rituximabe não eh disponível uma vez que não esta em bula. Não há outras opções diosniveis e o eltrombopag eh um medicamento consolidado mundialmente. Desta forma, concordo c o parecer técnico apresentado pelo Hosp Oswaldo Cruz e eventuais incertezas a respeito do eltrombopag são muito menores do que os benefícios comorovados</p> <p>2ª - Sim, Estudo EXTEND MOSTROU EVIDÊNCIAS CLÍNICAS QUANTO A EFICÁCIA E SEGURANÇA A LONGO PRAZO. Além deste, tenho conhecimento do Estduos RAISE E PÉTIT 1 e PÉTIT 2 PARA TRATAMENTO da PTI PEDIÁTRICA. A Romiplostima outra opção disponível no Brasil eh de uso endovenoso e de difícil manejo em relação ao tratamento oral.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O custo de resgate da imunoglobulina e internações recorrentes por sangramento e complicações do corticoide deve ser comparado ao custo unitário do eltrombopag. A avaliação de custo efetividade para o serviço de saúde ingles considerou o eltrombopag favorável para aquele país em relação a romiplostim.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
08/06/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A recomendação preliminar feita pela CONITEC contrária à incorporação do eltrombopague no tratamento de portadores de PTI crônica se baseia na justificativa de há incertezas quanto a maior eficácia do medicamento e que as evidências apontam melhoras laboratoriais (de elevação da contagem plaquetária), mas que o mesmo impacto não foi demonstrado na melhora da condição clínica. Na nossa opinião esta conclusão deve ser revista, por três motivos principais. Em primeiro lugar, os estudos existentes na literatura até o presente momento sobre a ocorrência de sangramentos graves em portadores de PTI, indicam que a contagem plaquetária é um dos principais determinantes deste risco hemorrágico. Mais do que um marcador secundário, a plaquetopenia representa o cerne do defeito da hemostasia nestes pacientes (são as células efetoras), de forma que o incremento desta contagem é um desfecho robusto neste contexto. Tal assertiva baseia-se não apenas no conhecimento de que as plaquetas são as células efetoras da hemostasia, mas também da forte correlação entre plaquetopenia grave e sangramento. Desta forma acreditamos que existe sim importância clínica em se atingir e manter níveis plaquetários mínimos para reduzir a ocorrência de sangramentos maiores, e o medicamento avaliado neste relatório é efetivo em elevar a contagem plaquetária nesta população (informação reconhecida claramente pelo próprio relatório). Em resumo, o primeiro motivo solicita que a CONITEC reavalie o status de mero marcador secundário sem relevância clínica dado à plaquetopenia, já que a redução da contagem destas células hemostaticamente ativas é a causa essencial do sangramento nestes pacientes. O segundo ponto diz respeito à afirmativa do relatório de que o medicamento não é efetivo na redução de sangramentos significativos. Dentre os seis estudos incluídos na análise do relatório, apenas um (a revisão sistemática Cochrane de Zeng, 2011) teve esta conclusão. Os demais estudos citados no relatório apontam que houve uma redução na ocorrência de sangramentos quando o eltrombopague foi comparado com placebo. Finalmente, acreditamos que os medicamentos atualmente disponíveis no SUS têm uma eficácia limitada (e com embasamento na literatura ainda menor do que o ora proposto) e são necessárias opções mais efetivas, que devem ser reservadas para os casos de maior gravidade clínica. O fato é que uma parcela muito pequena de nossos pacientes mantém plaquetopenia grave com sangramentos clinicamente relevantes após o uso de todas as linhas terapêuticas disponíveis. No contexto do SUS estes pacientes estão hoje sem qualquer alternativa terapêutica. O Eltrombopague, guiado por uma diretriz clínica cuidadosamente planejada, seria fundamental para estes pacientes que são raros, mas existentes. Todos estes pontos serão detalhados nos próximos itens.</p> <p>2ª - Sim, Dentre os seis estudos citados no relatório, apenas a revisão sistemática Cochrane de Zeng, 2011, concluiu que não haviam evidências suficientes para comprovar a eficácia dos agonistas TPO. Esta revisão é de 2011, e inclui apenas dois trials com uso de eltrombopague (Cheng 2011 e Bussel 2009). Estes estudos não são adequados para afirmar que não há uma efetividade na redução de sangramentos importantes. O desfecho primário destes estudos era avaliar o incremento plaquetário, portanto estes estudos não foram desenhados para avaliação de sangramentos. O tempo de seguimento nos estudos foi muito pequeno (variando entre 6-24 semanas) para permitir a detecção de diferenças significativas em termos de taxas de sangramentos importantes. Apenas cerca de 10% dos pacientes adultos portadores de PTI crônica apresentam sangramentos graves, sendo assim, o tempo de seguimento para avaliação de um evento</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

relativamente infrequente precisa ser maior. Nesta revisão da Cochrane, apesar da conclusão final do manuscrito, o item sobre a redução no total de sangramentos, categoria WHO 1 a 4, mostra que houve uma redução no risco relativo de sangramentos (RR0,78; CI 0,68-0,89). Esta redução do risco se baseia exatamente nos dois estudos do Eltrombopague (Figura 8 do manuscrito, paginas 13 e 14). Os demais estudos incluídos na análise deste relatório apontaram que o uso do medicamento reduz a ocorrência de sangramentos. A revisão sistemática de Wang, 2016, que incluiu 6 trials do Eltrombopague, concluiu que os agonistas reduzem de forma significativa a ocorrência de sangramentos. Na subanálise do agonista Eltrombopague, mostrou uma redução significativa no total de sangramentos (RR 0,68; CI 0,51-0,9) e na ocorrência de sangramentos graves (RR 0,27; CI 0,07-1). Esta também é a conclusão da metanálise de Elgebaly, que analisou 6 trials do Eltrombopague, e concluiu que houve uma redução significativa no total de sangramentos (RR 0,74; CI 0,666-0,83) e sangramentos categoria WHO 2-4 (RR 0,56 e CI 0,41-0,77). O ECR multicêntrico de Yang, 2017, com inclusão de 155 pacientes, mostrou uma redução de 72% na chance de sangramentos. Existe ainda a evidência apontada no trial EXTEND, cuja última publicação feita por Wong et al, 2017, mostrou o uso a longo prazo do medicamento Eltrombopague, com seguimento médio de 2,4 anos, em uma população de 302 pacientes com PTI. Neste estudo a taxa de sangramentos de 57% observada na entrada do estudo, caiu para 16% ao final de um ano de seguimento (publicação em anexo). Além destas demonstrações nos estudos citados acima, sobre a observação direta da redução de ocorrência de sangramentos, o relatório conclui que existe a demonstração clara na eficácia em elevar a contagem plaquetária. Entendemos que este resultado tem uma importância clínica por si só, pelo seu papel na redução no risco de sangramentos. Em uma revisão sistemática recente sobre a ocorrência de sangramentos graves em portadores de PTI (Neunert et al, 2015, em anexo), os autores identificaram que os principais fatores preditivos de sangramentos graves são a contagem plaquetária, em valores inferiores a 10-20 x 10<sup>9</sup>/L e a ocorrência prévia de sangramentos menores. Esta revisão tem uma tabela suplementar (em anexo) onde são detalhados todos os estudos que apontam uma relação entre a contagem plaquetária e o risco de sangramentos maiores. Este é um tema ainda controverso na literatura e há muitas questões em aberto, mas na prática clínica, a contagem plaquetária e a história clínica (de sangramentos prévios) realmente são os marcadores que usamos na tentativa de prever quem são os pacientes que precisam ser tratados mais agressivamente ou com maior insistência (linhas terapêuticas sucessivas) com objetivo de evitar a ocorrência de sangramentos maiores. Desta forma, um medicamento que seja eficaz em elevar a contagem plaquetária nestes pacientes, é fundamental no manejo destes casos com maior risco hemorrágico. Salientamos que os estudos que existem com relação à eficácia dos medicamentos citados na PCDT do Ministério da Saúde são todos baseados em elevações das contagens plaquetárias. Tal fato reforça a robustez deste marcador, que como alegamos, representa o cerne da condição patológica no contexto da PTI. Além disso, a demanda por uma demonstração de redução estatisticamente significativa de sangramentos graves no curso limitado de um estudo clínico (que no contexto da PTI usa como desfecho primário a contagem plaquetária por tudo o que já foi exposto) pode na prática inviabilizar a adoção de qualquer novo tratamento para PTI. Isto ficaria ainda mais desafiador quando desejamos uma indicação mais restritiva do que a dos estudos clínicos de registro, como poderia ser neste caso. Por este motivo a disponibilidade de um desfecho laboratorial relevante na PTI não deve ser ignorada

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>na avaliação deste ou de novos medicamentos para PTI, como não foi no passado.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, O nosso serviço atua como um centro de referência na nossa região para tratamento de portadores de PTI. Temos uma ampla experiência clínica no tratamento e seguimento destes pacientes, com o uso de medicamentos disponíveis no SUS. Entendemos que há uma necessidade de definir de forma cuidadosa qual seria a subpopulação de portadores de PTI que de fato seria candidata à terapêutica com um medicamento de custo elevado, dentro do SUS. Desta forma, seriam necessárias diretrizes claras e objetivas, especificando qual seria esta população alvo, usando principalmente os critérios citados anteriormente (contagem plaquetária inferior a 10 ou 20 x 10<sup>9</sup>/L e sangramentos menores prévios), visando restringir o uso do medicamento em pacientes com elevado risco de sangramentos. Pela nossa casuística local, o número total de pacientes que se enquadrariam nestes critérios de gravidade seria extremamente baixo, inferior a 5% do total de pacientes portadores de PTI em seguimento em nosso serviço. Neste grupo restrito de pacientes, onde a gravidade clínica é preocupante e onde todas as alternativas disponíveis de tratamentos já foram tentadas sem sucesso, seria fundamental a disponibilidade de uma opção terapêutica eficaz. Entendemos também que outra possível aplicação clínica para o uso do eltrombopague é em pacientes que estão sendo preparados para esplenectomia, como medicamento usado no pré-operatório para elevar a contagem plaquetária. No presente momento o medicamento usado para este fim é a imunoglobulina humana, e entendemos que o uso do eltrombopague no seu lugar poderia reduzir custos. Existe uma publicação recente com uso do outro agonista TPO neste cenário, acreditamos que este dado possa ser extrapolado para o eltrombopague (Al-Samkari et al, 2018, em anexo). Essa é uma sugestão para análise da comissão.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
08/06/2018	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
08/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O eltrombopague é uma terapia factível, altamente eficaz para os pacientes com PTI especialmente no cenário da refratariedade, melhorando qualidade de vida e reduzindo riscos de sangramentos graves.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Lidamos com vários pacientes hoje no cenário da refratariedade da doença com frequentes sangramentos e conseqüentemente, internações, uso de terapia de resgate ( imunoglobulina, pulso terapia) gerando mais custos para o serviço público, sem falar dos riscos oferecidos ao paciente por ausência de acesso à terapia adequada e efeitos colaterais crônicos e graves de tratamento inadequado. O eltrombopague, quando bem indicado, respeitando o impacto econômico, trará menos custo ao serviço de saúde a médio prazo, além de garantir uma assistência humanizada e adequada aos seus clientes ( o que é mais importante).</p>	
08/06/2018	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>	
08/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. trabalhos demonstram a eficácia da terapia</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
09/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Excelente remedio para PTI REFRATÁRIA PÓS ESPLENECTOMIA</p> <p>2ª - Sim, Pacientes refratorios após esplenectomia</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Trabalho de graça na Santa Casa.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Discordo na não incorporação absoluta por acreditar que: (1) há sim evidências que o medicamento é eficaz; e (2) que a estimativa de impacto financeiro superestimou o número de pacientes, que pode ser reduzido com a proposta de um protocolo mais restritivo e controlado, além de redução de custo do medicamento.</p> <p>2ª - Sim, Além de muitas das evidências apresentadas no relatório demonstrarem sim uma redução de sangramentos, discordo frontalmente que a contagem plaquetária não seja, no contexto específico da PTI, um marcador relevante. Ele o é, e ignorá-la abriria um precedente que dificultaria qualquer incorporação de novos tratamentos na PTI. Ocorre que nos estudos clínicos em PTI, uma doença relativamente rara, para que sejam obtidos número relevantes de pacientes (e os mesmos sejam factíveis), acabam sendo incluídos pacientes com plaquetopenia e sangramentos, mas sem os sangramentos clinicamente relevantes que eu sugiria como critério para acesso ao eltrombopague no SUS (ver abaixo). Desta forma, é razoável supor que neste subgrupo de pacientes com sangramento clinicamente relevante a demonstração de melhora clínica fosse mais factível, mesmo nos estudos em que isto não ocorreu de forma clara (como em alguns dos citados). Além destas demonstrações (que diga-se de passagem, não são evidentes para vários ou todos os tratamentos para PTI do PCDT), a experiência clínica deixa claro que nos pacientes com plaquetopenias muito grave (abaixo de 10 mil), um incremento para 3 vezes este valor (&gt; 30 mil) é sim um desfecho extremamente relevante.</p> <p>3ª - Sim, Entendo que os valores citados para aquisição do eltrombopague são muito elevados, e dificultam o acesso, mesmo restrito, ao SUS, dentro de seu contexto e demais prioridades. Assim, é fundamental que estes sejam negociados para permitir a incorporação. Ao mesmo tempo, é importante destacar que o número de pacientes elegíveis pode ser reduzido com um protocolo de inclusão mais restrito.</p> <p>4ª - Sim, A estratégia usada para estimar o número de pacientes que utilizariam esta droga é válida, porém ao meu ver superestima este contingente. A azatioprina é uma droga de uso muito difundido na hematologia, sendo frequentemente escolhida como 2ª linha. Em minha visão, o eltrombopague deveria estar disponível apenas para pacientes com PTI refratária (pós-esplenectomia ou com contra-indicação MUITO BEM DOCUMENTADA) e com sangramento de alto risco (em geral, contagens inferiores a 10 ou no máximo 20 mil. Estimo que este contingente é mais próximo dos usuários de vincristina, usada nestas situações de resgate. Isto reduziria muito o impacto orçamentário e tornaria factível a incorporação.</p> <p>5ª - Sim, Sugiro que a fim de dar acesso a uma estratégia terapêutica a pacientes do SUS com PTI que de fato ficam desassistidos, seja desenhado um protocolo que contemple pacientes refratários, pós-esplenectomia (ou com contra-indicação muito bem documentada), sangramento clinicamente relevante, e contagens inferiores a 20 mil persistentemente. Seguindo por exemplo o modelo do fator VII ativado na hemofilia, em que a liberação era fortemente regulada, poder-se-ia ter um sistema mais rigoroso e controlado, que garantiria acesso, sem um impacto inaceitável ao SUS.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acredito que é necessário incorporar essa medicação visto que existem muitos pacientes refratarios as outras linhas de tratamento que se beneficiarao e com menor custo para o estado.</p> <p>2ª - Sim, Acredito que se forem feitos estudos de Farmacoeconomia certamente será comprovado grande impacto no uso dessa medicação principalmente quando comparada a Imunoglobulina Humana.Alem de sua eficacia ser comprovada sendo amplamente utilizado em outros paises.</p> <p>3ª - Sim, Imunoglobulina pode ser 10x mais caro e menos efetivo em comparação com Eltrombopage</p> <p>4ª - Sim, Imunoglobulina pode ser 10x mais caro e menos efetivo em comparação com Eltrombopage</p> <p>5ª - Não</p>	
11/06/2018	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
11/06/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Muitos portadores de Pti , ao fazerem uso de eltrombopague , saem de situações de risco , tendo uma qualidade de vida melhor e livre de riscos de hemorragias .Pois não respondem de forma satisfatória a outras formas de tratamentos.</p> <p>2ª - Sim, Muitos portadores de Pti , ao fazerem uso de eltrombopague , saem de situações de risco , tendo uma qualidade de vida melhor e livre de riscos de hemorragias .Pois não respondem de forma satisfatória a outras formas de tratamentos.</p> <p>3ª - Sim, Em relação a custos , varias internações e situações de risco por exemplo em vaga de uti para receber varios frascos de imunoglobulina , tem um custo bem maior , fora os danos e traumas que estas internações causam , principalmente nas crianças , digo isto como experiência própria por ter uma filha de 9 anos com PTI .</p> <p>4ª - Sim, Em relação a custos , varias internações e situações de risco por exemplo em vaga de uti para receber varios frascos de imunoglobulina , tem um custo bem maior , fora os danos e traumas que estas internações causam , principalmente nas crianças , digo isto como experiência própria por ter uma filha de 9 anos com PTI .</p> <p>5ª - Sim, Cada caso é um caso , como cada ser humano é unico , e quem sabe o tratamento mais indicado para o paciente é o médico que realiza o seu acompanhamento e estabelece o tratamento analisando risco x beneficio.Diante dessa situação não se deve medir esforços para fornecer o medicamento que esta sendo indicado para o paciente , pois estamos falando de vida .E fica facil pensarmos em não liberarmos algo por questões financeiras , quando não estamos doentes ou não temos um familiar passando por esta difícil situação. Espero que faça parte do SUS este tratamento.</p>	
11/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicamento aprovado pela ANVISA para uso em nosso país no tratamento de PTI.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Experiência pessoal com o medicamento em pacientes com PTI refratária. Excelente resposta clínica e laboratorial.</p>	
11/06/2018	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
11/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Os novos estudos ratificam um perfil de segurança além do aceitável e os benefícios clínicos são bem demonstrados . O que pode ser questionável é o tipo de paciente que se beneficiará deste tratamento pois esta medicação não é para ser usada para aumentar plaquetas mas para reduzir sangramentos em quem tem perfil sangrador bem como para preparo para cirurgias onde a baixa quantidade de plaquetas pode ser um fator de risco de hemorragias.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Uma proposta seria seguir o modelo canadense da bula. Além de esclarecer bem qual tipo de paciente merece ser tratado ela limita o uso para 12 meses. Depois o paciente deve ser reavaliado. Alguns pacientes tem elevação sustentada de plaquetas não precisando mais tomar a medicação e outros pararam de sangrar depois de terem corrigidos fatores de causa de sangramento como tratamento gengival, extrações, disfunções hormonais, etc.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
11/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Atualmente os únicos tratamentos cientificamente comprovados para PTI são o corticoide e a esplenectomia. Quando o paciente não responde a nenhum dos dois ou tem risco para fazer esplenectomia o eltrombopag é altamente eficaz.</p> <p>2ª - Sim, Estudos REPEAT, EXTEND, PETIT</p> <p>3ª - Sim, Estudos em andamento mostram que pacientes suspenderam o eltrombopag e mantiveram resposta por vários meses, levantando a possibilidade de uso intermitente.Os efeitos colaterais provocados pelo uso prolongado de corticoide são devastadores por provocarem ou agravarem doenças como diabetes, hipertensão, obesidade, distúrbios psiquiátricos, osteoporose, catarata, reativação de doenças infecciosas como tuberculose, toxoplasmose herpes, condiloma, etc, aumentando os custos de tratamento e o sofrimento dos pacientes.</p> <p>4ª - Sim, Nem todos os pacientes com PTI são elegíveis para uso de eltrombopag. Se os pacientes forem tratados de acordo com protocolos com linhas de tratamento bem definidas o impacto orçamentário será menor.</p> <p>5ª - Sim, A qualidade de vida dos pacientes que fazem uso crônico de corticoide é muito ruim. Vemos jovens deformados com síndrome de Cushing iatrogênica, obesos com acne grave, com estrias irreversíveis, distúrbios emocionais, baixa auto estima e com risco de sangramento. Pacientes mais velhos com hipertensão, diabetes, obesidade, osteonecrose. A diferença desses para os que usam eltrombopag remete a uma questão ética de proporcionar uma vida com qualidade para todos.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/06/2018	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/06/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, Diversos estudos comprovam eficácia da medicação 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/06/2018	Paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/06/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Já tive excelentes resultados com o referido medicamentoem casos refratários aos imunossupressores. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/06/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, Diversos estudos comprovam eficácia da medicação 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Tenho 3 pacientes utilizando revolade com melhora clínica evidente, amb todos após 3 tentativas c outros medicamentos e sem sucesso</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Já tive excelentes resultados com o referido medicamentoem casos refratários aos imunossupressores.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os tratamentos diposniveis para Purpura trombocitopenica pimune didopatica possuem efeitos colaterias muitas vezes que limitam o uso e que levam a efeitos colaterais que comprometem a qualidade de vida de muitos pacientes. Por isso a disponibilidade de Eltrobopag ajudaria a melhorar o manejo em situações onde o tratamento de priemira linha, unico com evidencia clinica de resposta ( corticoterapia), tem falha. O Eltromboga tem evidencias cientificas e robusta de sua efetividade com taxas de resposta que o defenderiam como tratamento de segunda linha em muitas situações.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim, Em situações de Purpura trombocitopenica há internações rcorrentes com necessidade de internações em terapia intesiva, uso de imunoglobulina e necessidade de transfusão. Tudo isso mostra o quanto de gasto que existe se não há quando a doená não esta controlada</p> <p>4ª - Sim, O pacientes com Purpura Trombocitopenica cronica se tornam improdutivos pois a multiplas internações prejudicam a prdutividade desses trabalhadores</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
12/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Ha inumeros artigos cientificos comprovando a eficacia da medicacao, principalmente nos casos refratarios ao tratamento de primeira linha, podendo fazer a diferenca na sobrevida de muitos doentes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/06/2018	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>	
12/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Alguns pacientes não respondem aos tratamentos disponíveis</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Alguns pacientes não respondem aos tratamentos disponíveis</p> <p>2ª - Sim, Sou a favor do uso em portadores de PTI crônica, sintomáticos, não responsivos aos tratamentos disponíveis e esplenectomia</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/06/2018	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>	
12/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. a MEDICAÇÃO JÁ SE PROVOU EFICAZ PARA O TRATAMENTO DE PTI EM DIVERSOS PAISES DO MUNDO E JÁ FAZ PARTE DE DIVERSOS GUIDILENES INTERNACIONAIS, PREVENINDO EVENTOS GRAVES POR SANGRAMENTO E DIMINUINDO OS EFEITOS COLATERAIS DO USO CRONICO DE CORTICOTERAPIA.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, PACIENTE EM USO DE ELTROMBOPAGUE NÃO PRECISARAM USAR IMUNOGLOBULINA, MEDICAÇÃO MUITO MAIS CARA E COM EFEITO POUCO DURADOURO.</p> <p>5ª - Sim, O PACIENTE NÃO É OBRIGADA A SE SUBMETER A CIRURGIA DE ESPLENECTOMIA, COM RISCOS INERENTES AO PROCEDIMENTO E RISCOS A LONGO PRAZO DE INFECÇÕES.</p>	
12/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho varios pacientes de PTI que sangravam e não responderam a outras opções terapêuticas e estão bem com Eltrobopague, sem manifestações hemorrágicas.</p> <p>2ª - Sim, Resposta dos pacientes à medicação.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas PTI que baseia em grande parte o parecer da Conitec, publicado em 2013 está embasado com conceitos já ultrapassados, dado a grande evolução ocorrida nos últimos cinco anos e não considera diversas alternativas novas. A denominação de púrpura trombocitopênica idiopática já não é mais usada na literatura mundial, uma vez que a doença não é idiopática e sim imune. Os guidelines internacionais também trocaram a denominação para trombocitopenia imune. A vincristina, droga recomendada no protocolo clínico é um quimioterápico não isento de efeitos colaterais de longo prazo. Além disso, por ser uma droga altamente vesicante, sua utilização sem a colocação de um cateter, incorre em riscos para o paciente. A Azatioprina, o Danazol e a ciclofosfamida também são terapias embasadas em estudos antigos, com pequeno número de casos em desuso no mundo todo. Além disso, são medicamentos com grande gama de efeitos colaterais e riscos. Transcrevo um texto do Guideline publicado em 2011, ou seja, há sete anos, comentando sobre medicamentos como vincristina e outros: The 1996 ASH guideline noted that numerous agents such as azathioprine, danazol, and interferon have been used in a small number of children and adolescents with chronic or persistent ITP who failed to respond to more conventional therapy. Although the list of such agents has expanded and now includes mycophenolate mofetil, cyclosporine, anti-CD52 monoclonal antibody, and others, data for any single agent, with the possible exception of dapsone, or combination of agents remain insufficient for specific recommendations. A retrospective analysis of dapsone in chronic or persistent ITP that included 35 children demonstrated a response rate of 66% and continuous complete response rate (maintenance of a platelet count &gt; 50 × 10<sup>9</sup>/L with or without dapsone) of 31%." (Neunert C, Lim W, Crowther M, Cohen A, Solberg L Jr, Crowther MA; American Society of Hematology. The American Society of Hematology 2011 evidence-based practice guideline for immune thrombocytopenia. Blood. 2011 Apr 21;117(16):4190-207. doi: 10.1182/blood-2010-08-302984.) Outros agentes já bastante citados na literatura como o Rituximabe, sequer são considerados como alternativa no Protocolo Clínico nacional, embora já tenha grande número de artigos que embasam o seu uso. Como o rituximabe já é medicamento considerado antigo e que em breve terá uma apresentação similar à de marca, é quase pueril esperar que a indústria realize estudos clínicos visando a incorporação na bula do tratamento da PTI. A esplenectomia, também realizada no passado com grande frequência, tem sido usado com mais parcimônia em vários países, devido a crescente possibilidade de efeitos colaterais tardios, como risco aumentado de sepse e trombose de veia porta. Transcrevo parte de outro artigo recentemente publicado In the last decade, changes in our understanding of the pathophysiology of the disorder have led to the publication of new guidelines for the diagnosis and management of ITP and standards for terminology. Current evidence supports alternatives to splenectomy for second-line management of patients with persistently low platelet counts and bleeding. Long-term follow-up data suggest both efficacy and safety, in particular, for the thrombopoietin receptor agonists and the occurrence of late remissions. Follow-up of patients who have undergone splenectomy for ITP reveals significant potential risks that should be discussed with patients and may influence clinician and patient choice of second-line therapy. Novel therapeutics are in development to address ongoing treatment gaps. (Lambert MP, Gernsheimer TB. Clinical updates in adult immune thrombocytopenia. Blood. 2017 May 25;129(21):2829-2835. doi: 10.1182/blood-2017-03-754119) Outro problema demonstrado na análise da</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>Conitec é a utilização da sobrevida como um desfecho principal. É sabido que a PTI causa grande impacto na qualidade de vida dos pacientes, todavia a mortalidade nos primeiros anos é muito pequena, sendo assim a mortalidade inadequadamente utilizada como desfecho nesse parecer técnico.</p> <p>2ª - Sim, O Eltrombopag é um medicamento testado em estudos randomizados em pacientes pediátricos com PTI. Comparado com placebo teve taxa de resposta sustentada de 40%, contra 3% no grupo controle. Embora seja uma droga nova e os efeitos colaterais de muito longo prazo sejam desconhecidos, os efeitos colaterais no curto prazo não foram diferentes daqueles já relatados em adultos. Também já há acompanhamento por períodos de cerca de cinco anos. Convém ressaltar que são esparsos os estudos que avaliam os efeitos tardios de azatioprina, vincristina, ciclofosfamida no contexto do tratamento da PTI (Grainger JD, Locatelli F, Chotsampancharoen T, et al. Eltrombopag for children with chronic immune thrombocytopenia (PETIT2): a randomised, multicentre, placebo-controlled trial. Lancet. 2015 Oct 24;386(10004):1649-58 ) (Bussel JB, de Miguel PG, Despotovic JM, et al. Eltrombopag for the treatment of children with persistent and chronic immune thrombocytopenia (PETIT): a randomised, multicentre, placebo-controlled study. Lancet Haematol. 2015 Aug;2(8):e315-25) Assim, o eltrombopague pode ser uma medicação de grande utilidade no manejo de casos difíceis, onde existe a recidiva pós esplenectomia, onde há necessidade de se adiar a esplenectomia, ou em casos onde os medicamentos inicialmente utilizados não tenham tido eficácia. (Kim TO, Despotovic J, Lambert MP. Eltrombopag for use in children with immune thrombocytopenia. Blood Adv. 2018 Feb 27;2(4):454-461) O que é bastante preocupante e foi demonstrado em estudos recentes é que com muita frequência os protocolos não são seguidos, ou seja, um número elevado de pacientes acaba recebendo tratamento sem necessidade. Particularmente as crianças, que tem prognóstico melhor e onde a contagem de plaquetas, não necessariamente indica um pior prognóstico, acabam recebendo tratamentos de primeira linha. (Witmer CM, Lambert MP, O'Brien SH, Neunert C. Multicenter Cohort Study Comparing U.S. Management of Inpatient Pediatric Immune Thrombocytopenia to Current Treatment Guidelines. Pediatr Blood Cancer. 2016 Jul;63(7):1227-31.) Conclusões: • Sugere-se urgente atualização do PCDT -PTI a fim de incorporar novos tratamentos e excluir aqueles com baixo perfil de segurança e sem evidência clínica suficiente; • Eltrombopague tem um papel no manejo de casos graves de PTI, como aqueles onde há persistência da trombocitopenia após a esplenectomia; • Medicamento também tem efeito em casos especiais onde se deseja adiar a esplenectomia para realizá-la em condições ideais (após vacinação) ou em falha de resposta a outros tratamentos; • Em caso de falhas ao eltrombopague é possível substituí-lo por romiplostina; • A análise econômica ficou prejudicada, pois o comparador chamado de "tratamento padrão", como a vincristina, ciclofosfamida e etc, são medicamentos praticamente abandonados na prática clínica mundial, com pouco suporte em literatura e com efeitos colaterais importantes; • Sugere-se fortemente a incorporação da Eltrombopague dentro de protocolos estritos, apenas em casos muito graves que não possam ser submetidos a esplenectomia, quando seja desejável adiar a esplenectomia ou àqueles que mantiverem trombocitopenia após a esplenectomia; Autor: Cláudio Galvão de Castro Junior Ex-Presidente da Sociedade Brasileira de Oncologia Pediátrica Membro do Conselho Deliberativo da Associação Brasileira de Hematologia e Hemoterapia Chefe do Serviço de Oncologia e Hematologia Pediátricas da Santa Casa de Porto Alegre Títulos de Especialista em: Hematologia e Hemoterapia – Pediatria – Transplante de Medula Óssea - Oncologia</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>Pediátrica</p> <p>3ª - Sim, A análise econômica apresentada fica prejudicada, já que alternativas como vincristina, ciclofosfamida e azatiopina, foram há muito abandonadas na prática clínica mundial e carecem de evidências sólidas</p> <p>4ª - Sim, A crescente judicialização de novas terapias pelos pacientes faz com que as drogas muitas vezes sejam adquiridas sem planejamento, de modo emergencial e por um preço elevado. A incorporação responsável de novas tecnologias pode minimizar esses impactos.</p> <p>5ª - Não</p>	
13/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Para os pacientes com trombocitemia imune crônica refratária e esplenectomizados há poucas opções de tratamentos e ainda há os pacientes que, por diversas situações, não podem realizar a esplenectomia. Os tratamentos atualmente disponíveis no SUS para PTI refratária têm efeitos colaterais diversos, são pouco eficazes, levam à imunossupressão crônica em sua maioria, aumentam chance de infecção, internações desnecessárias e alguns pacientes são dependentes de transfusão de plaquetas. O eltrombopague é opção segura e eficaz para o tratamento, a despeito da necessidade do uso crônico da medicação. Já há literatura e experiência suficiente para indicar o seu uso nas situações de PTI refratária.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Para pacientes refratários aos tratamentos de primeira linha o eltrombopague mostrou grande impacto na qualidade de vida destes pacientes que cessam o quadro de sangramentos recorrentes</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
13/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Droga extremamente experimentada, com boa tolerabilidade e segurança, ressalto o estudo extend que não foi colocado no dossiê.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Os grandes gastos com drogas de resgate e internações em pacientes refratários.</p> <p>5ª - Não</p>	
13/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Ressalto a segurança e efetividade já publicado nos estudos e ressaltar o estudo Extend que não foi publicado no dossiê.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Não foi relacionado, os gastos com drogas de resgate e internações nos pacientes refratários, além dos custos com a utilização repetitiva de hemocomponentes.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/06/2018	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A NOVARTIS BIOCÍÊNCIAS S.A., com sede na cidade de São Paulo, estado de São Paulo, na Avenida Professor Vicente Rao número 90, Brooklin Paulista, inscrita no CNPJ/MF sob o no 56.994.502/0001-30, por seus representantes legais abaixo assinados, vem respeitosamente, por meio desta, contribuir na consulta pública da CONITEC nº 27/2018, iniciada em 26 de maio de 2018. Em primeiro lugar, gostaríamos de reconhecer os importantes avanços da CONITEC em relação a transparência dos processos de incorporação de tecnologia no Sistema Único de Saúde. A Novartis com o objetivo de contribuir para o aprimoramento do tratamento da trombocitopenia imune primária (PTI) no Brasil e, especificamente, de melhorar o atendimento às necessidades dos pacientes com PTI no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), apresenta suas contribuições para justificar nosso posicionamento a favor da incorporação de eltrombopague olamina no SUS para o tratamento de PTI.</p> <p>2ª - Sim, A eficácia do eltrombopague olamina já foi avaliada em diversos estudos pivotais: 2 estudos randomizados, duplo-cegos, controlados (RAISE1 e TRA 100773B2) e em 2 estudos abertos (REPEAT3 e EXTEND4). Em população pediátrica, o medicamento comprovou sua eficácia em dois estudos PETIT5 e PETIT26. A revisão sistemática é o nível mais alto de evidência e é capaz de reduzir as incertezas quanto à eficácia e segurança de tratamentos. Uma revisão sistemática realizada por Elgebaly et al.7 em 2016, intitulado “Tolerability and Efficacy of Eltrombopag in Chronic Immune Thrombocytopenia: Meta Analysis of Randomized Controlled Trials” incluiu 6 estudos, duplo-cegos e randomizados com 611 pacientes e concluiu que o Revolade é seguro e efetivo em pacientes adultos e pediátricos com PTI crônica com nível de evidência classe 1. A qualidade dos estudos desta revisão sistemática foi considerada de moderada a alta utilizando a ferramenta de risco de viés da Cochrane. Toda revisão sistemática foi de acordo com o “Cochrane Handbook of Systematic Reviews of interventions” seguido do checklist PRISMA. Este estudo foi publicado de maneira independente, sem financiamento da indústria e obedecendo os mais altos critérios para se realizar uma revisão sistemática. A metodologia da Cochrane para revisões sistemáticas são mundialmente reconhecidas e de acordo com o site “As Revisões Sistemáticas Cochrane são revisões de estudos primários na área de saúde humana, cuidados em saúde e políticas em saúde. Elas são reconhecidas internacionalmente como o mais alto padrão de fonte de informação em saúde baseada em evidências. As revisões investigam os efeitos de intervenções para a prevenção, o tratamento e a reabilitação. Elas também avaliam a acurácia de testes diagnósticos para um determinado problema de saúde em um local ou grupo específico de pacientes”8. Portanto podemos afirmar que não há incertezas quanto a eficácia do tratamento com eltrombopague olamina para pacientes com PTI. Ressaltamos também que além das melhoras laboratoriais também foi observado impacto na condição clínica. A meta-análise conduzida por Elgebaly et al.,7 demonstrou que os pacientes no braço de eltrombopague apresentaram uma redução na incidência de sangramento significativo (RR 0,56 – IC [0,41;0,77]), número de casos de resgate (RR 0,45 – IC [0,32;0,65]) e incidência de qualquer sangramento (RR 0,74 – IC [0,66,0,83]). Além da redução de eventos clinicamente significativos, durante a condução do estudo pivotal RAISE1 foram aplicados dois questionários de qualidade de vida, o SF-36v2 e o FACT-Th6. Através do questionário SF-36v2 foi comprovado uma melhora geral no componente físico (1,8 vs 0,3; p&lt;0,003) e mental (1,7 vs -0,6; p&lt;0,045) nos pacientes que estavam no braço do Revolade. Quando se aplicou o FACT-Th6, também foi observada uma melhora no braço do Revolade (2,1</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

vs 0,7;  $p < 0,001$ ). Portanto podemos concluir que o eltrombopague traz benefícios clínicos importantes e significativos para os pacientes com PTI crônica. Em relação a utilização do uso prolongado do medicamento, o estudo EXTEND (Eltrombopag eXTENDED dosing) foi um estudo fase 3 de extensão, aberto para avaliar a segurança, tolerabilidade e eficácia a longo prazo de eltrombopague em pacientes com PTI que finalizaram estudos anteriores com a medicação. Uma atualização do estudo EXTEND9 foi publicada recentemente e contou com a avaliação de 302 pacientes. O estudo foi iniciado em junho de 2006 e terminou em julho de 2015, ou seja, um acompanhamento superior a 9 anos. O estudo demonstrou que 86% dos pacientes responderam ao tratamento (plaquetas  $> 50 \times 10^9/L$ ), 91% atingiu níveis de plaquetas superiores a  $30 \times 10^9/L$  sendo que apenas 11% saíram do estudo por falta de eficácia. Utilizando os critérios de sangramento da Organização Mundial da Saúde (graus 1 a 4), estes diminuíram de 57% (baseline) para 16% após um ano de tratamento. Dos 101 pacientes que estavam recebendo tratamentos concomitantes (corticosteróides, danazol e azotioprina), 34% conseguiram parar um ou mais destes tratamentos. Pacientes mostraram resposta sustentada e alguns deles chegaram a utilizar eltrombopague por até 8,76 anos<sup>9</sup>. Em relação à segurança, eventos tromboembólicos e hepatobiliares não aumentaram após o primeiro ano e apenas 14% dos pacientes saíram do estudo por eventos adversos demonstrando que o medicamento é bem tolerado. A maioria dos eventos adversos foi de graus 1 e 2 onde os mais comuns foram dor de cabeça, nasofaringite e infecção do trato respiratório superior<sup>9</sup>. Além disso não houve aparecimento de novos eventos adversos por causa do uso prolongado, reforçando a segurança a longo prazo. Podemos concluir por este estudo que eltrombopague é eficaz, bem tolerado e seguro mesmo a longo prazo.

3ª - Não

4ª - Sim, Um modelo de impacto orçamentário foi desenvolvido pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde e apresentado na submissão para a CONITEC. De acordo com o estudo, à partir de uma regressão linear, a população elegível para utilizar eltrombopague olamina nos próximos anos seriam de: Ano 2019 2020 2021 2022 2023 Pacientes 1055 1179 1302 1426 1549 Tabela 1: pacientes elegíveis a eltrombopague olamina Para estimar o Impacto orçamentário da tecnologia, foram criados 3 cenários de difusão por meio de análise de sensibilidade: Ano Cenário Baixo Cenário Base Cenário Alto 2019 15% 40% 70% 2020 20% 45% 75% 2021 25% 50% 80% 2022 30% 55% 85% 2023 35% 60% 90% Tabela 2. Cenários de difusão do eltrombopague olamina Para estimar o custo atual dos medicamentos que são utilizados na prática clínica, foi realizado uma estimativa de custo anual por paciente de acordo com a proporção e custos de cada um dos medicamentos disponíveis (azatioprina, ciclofosfamida, danazol e vincristina), chegando-se ao custo médio anual por pacientes de R\$ 987,01. O custo anual do tratamento com eltrombopague olamina foi realizado de acordo com o menor preço realizado ao governo R\$ 103,51 (comprimido de 25 mg) e R\$ 207,05 (comprimido de 50 mg). Também foi constatado que 16% dos pacientes do CEAF eram menores de 18 anos e foi assumido uma premissa que pacientes menores de 18 anos receberiam 50 mg e adultos 75 mg. Portanto assumiu-se que o custo médio anual com pacientes menores de 18 anos seria de R\$ 75.573,25 e R\$ 113.354,40 para maiores de 18 anos, estimando-se um custo médio anual de R\$ 107 mil. Tratamento Custo anual % de pacientes Custo médio anual 50 mg (<18 anos) R\$

[Clique aqui](#)

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>75.573,2516%R\$ 107.366,0375 mg (&amp;#8805;18 anos)R\$ 113.354,4084%Tabela 3. Custo médio anual segundo a análise da CEAFSe utilizarmos a dosagem média dos estudos pivotais, a dose mediana dos pacientes pediátricos de 6 a 11 anos foi de 50 mg/dia enquanto pacientes de 12 a 17 anos receberam uma dose mediana de 69 mg/dia (PETIT2)6. Assumindo que a população entre 12 a 17 anos receberia 75 mg/dia, o custo médio para pacientes menores de 18 anos seria de R\$ 94.463,83, maior que a estimada pelo CEAF (R\$ 75.573,25).TratamentoCusto anual% de pacientesCusto médio anual50 mg (6 a 11 anos)R\$ 75.573,2500%R\$ 94.463,8375 mg (12 a 17 anos)R\$ 113.354,4050%Tabela 4. Estimativa de custo médio anual por paciente menor que 18 anos (estudo PETIT2)Utilizando o mesmo racional para pacientes adultos, as dose médias segundo o estudo RAISE1 foram de 25 mg (21%), 50 mg (35%) e 75 mg (44%), portanto o custo médio por paciente adulto seria de R\$ 84.260,62.TratamentoCusto anual% de pacientesCusto médio anual25 mgR\$ 37.781,1521%R\$ 84.260,6250 mgR\$ 75.573,2535%75 mgR\$ 113.354,4044%Tabela 5. Estimativa de custo anual por paciente maior que 18 anos (estudo RAISE2)Portanto, a estimativa de custo médio anual por paciente com eltrombopague utilizando como base a dose dos estudos pivotais seria de R\$ 85.893,13 (conforme tabela abaixo).TratamentoCusto anual% de pacientesCusto médio anual50 mg (&lt;18 anos)R\$ 94.463,8316%R\$ 85.893,1375 mg (&amp;#8805;18 anos)R\$ 84.260,6284%Tabela 6. Estimativa de custo anual por paciente baseado nas doses médias dos estudos pivotaisSe utilizássemos as doses médias do estudo EXTEND9, onde 39% estavam utilizando a dose de 75 mg/dia, 23% a dose de 50 mg/dia e 36% estavam utilizando em dias alternados (exemplo: 25 mg dia sim, dia não ou com menor frequência), o custo médio anual por paciente poderia cair para R\$ 73 mil/ano.O impacto orçamentário em 5 anos estimado pela CEAF e pela análise interna da Novartis está descrita conforme tabela abaixo utilizando todos os cenários de difusão que foram utilizados no estudo. Na análise da Novartis, utilizamos o valor conservador médio de R\$ 85.893,13 por paciente ao ano.Impacto orçamentário (5 anos)CEAFNovartisDiferença entre as análisesBaixoR\$ 179.790.267,81R\$ 143.448.887,37R\$ 36.341.380,44BaseR\$ 353.016.745,27R\$ 281.654.821,93R\$ 71.361.923,34AltoR\$ 560.888.518,22R\$ 446.500.900,25R\$ 114.387.617,97Tabela 7. Estimativa de impacto orçamentário em 5 anosTambém realizamos um cenário incluindo a redução da necessidade de terapia de resgate com imunoglobulina. A terapia de resgate para pacientes com PTI mais utilizada é a Imunoglobulina numa dose de 1 g/kg/dia durante 2 dias10. De acordo com o site comprasnet11, o preço médio da imunoglobulina (5 gramas) em 2018 foi de R\$ 788,47. Portanto, se considerarmos o peso médio do brasileiro em 65 kilos (IBGE)12, a estimativa de custo médio por resgate para o governo é de R\$ 20.500,22.Preço imunoglobulina (5 gramas)R\$ 788,47Peso médio65 kilosQuantidade de frascos por dose13Custo por dia de aplicaçãoR\$ 10.250,11Custo por resgate (2 aplicações)R\$ 20.500,22Tabela 8. Custo médio por resgateSegundo o estudo publicado por Stasi et al., em 2012, pacientes com PTI que não estavam em uso de agonistas do receptor de trombopoietina, apresentaram uma taxa de 4,8 eventos relacionados a sangramento com resgate de imunoglobulina/100 pacientes/semana13. Se convertermos este dado, teremos uma taxa média de 2,5 resgates/paciente/ano. A meta-análise conduzida por Elgebaly et al., baseada em 6 estudos randomizados mostrou que os pacientes no braço de eltrombopague apresentam uma redução no risco de casos de resgate de 55% (RR 0,45 – IC [0,32;0,65])7. Portanto a incorporação de eltrombopague poderia reduzir os custos com imunoglobulina em</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>até R\$ 28.220,02 paciente/ano. Média de resgate/paciente 132,50 Média de resgate/paciente (com eltrombopague) 1,125 Redução de custos com IglV/paciente (com eltrombopague) R\$ 28.220,02 Tabela 9. Estimativa de redução de custos com IglV após incorporação de eltrombopague Portanto, o impacto orçamentário em 5 anos considerando redução de custos de resgate com imunoglobulinas poderia variar de R\$ 95 a R\$ 298 milhões, conforme tabela abaixo. Impacto orçamentário (5 anos) EAF Novartis (descontando IglV) Diferença entre as análises Baixo R\$ 179.790.267,81 R\$ 95.771.168,43 R\$ 84.019.099,38 Base R\$ 353.016.745,27 R\$ 188.041.970,10 R\$ 164.974.775,17 Alto R\$ 560.888.518,22 R\$ 298.098.602,96 R\$ 262.789.915,26 Tabela 10. Impacto orçamentário da incorporação de eltrombopague descontando a redução de resgates por imunoglobulinas Além das imunoglobulinas, também já está comprovado que o eltrombopague reduz o risco de sangramentos significativos (RR 0,56 – IC [0,41;0,77])<sup>7</sup> e incidência de qualquer sangramento (RR 0,74 – IC [0,66,0,83])<sup>7</sup>. Um outro estudo de vida real, demonstrou que 53% de pacientes que obtiveram resposta completa conseguiram sustentar a resposta sem eltrombopague e nenhuma outra terapia adicional<sup>14</sup>. Se contássemos com estes fatores, o impacto orçamentário da incorporação de eltrombopague olamina no SUS seria ainda menor que o descrito na tabela. Portanto, a inclusão de eltrombopague olamina no SUS elevaria o tratamento da PTI equiparando-se a países de primeiro mundo, traria um benefício clínico para uma parcela da população atualmente desassistida e teria um baixo impacto orçamentário, devido a uma redução do uso de imunoglobulinas, redução de eventos relacionados a sangramentos e levando em consideração que uma parcela destes pacientes conseguem sustentar a resposta. A Novartis reforça seu compromisso com o Ministério da Saúde e está disposta a desenvolver soluções que possam facilitar o reembolso e viabilizar o acesso de eltrombopague para os pacientes do SUS. Nos colocamos a inteira disposição para a realização deste objetivo em comum.</p> <p>5ª - Sim, A Novartis reforça seu compromisso com o Ministério da Saúde e está disposta a desenvolver soluções que possam facilitar o reembolso e viabilizar o acesso de eltrombopague para os pacientes do SUS. Nos colocamos a inteira disposição para a realização deste objetivo em comum.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
13/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Não há incertezas quanto a eficácia do tratamento. Eficácia avaliada em 2 estudos randomizados, duplos-cegos, controlados (RAISE e TRA 100773B) e em 2 estudos abertos (REPEAT e EXTEND). Em população pediátrica, o medicamento comprovou sua eficácia nos estudos PETIT e PETIT2.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Conitec não colocou os altos custos de resgate com Imunoglobulina e internações recorrentes devido a sangramentos</p> <p>5ª - Sim, As acima</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/06/2018	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eltrombopag é eficaz no tratamento da PTI e segunda linha de Anemia Aplástica Severa</p> <p>2ª - Sim, Experiência clínica por utilização como profissional de saúde</p> <p>3ª - Sim, Uma grande maioria entra em remissão , sendo desnecessária outras terapias mais caras e internações dispendiosas</p> <p>4ª - Sim, Não há efeitos colaterais e resposta rápida e sustentável</p> <p>5ª - Sim, Esplenectomia como segunda linha é um procedimento cirúrgico que aumenta a morbi-mortalidade e dias de internação</p>	
13/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Medicação excepcional e que modificou positivamente o paradigma do tratamento de pacientes com plaquetopenia.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Previne o uso de medicamentos , tais como imunoglobulina e anticorpos monoclonais que tornam o tratamento excepcionalmente caro.</p> <p>5ª - Sim, Paciente fez uso de varias doses de imunoglobulina sem sucesso e com pequenas doses de Revolade houve marcante aumento na série plaquetaria,.</p>	
13/06/2018	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>	
13/06/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É o único medicamento em que mantém essa doença sobre controle</p> <p>2ª - Sim, Relatório de controle da doença (exames de sangues)</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eltrombopague olamina tem se mostrado uma opção terapêutica eficaz e segura para os pacientes adultos com PTI crônica esplenectomizados, cuja doença persiste refratária a outros medicamentos de 2a linha ou naqueles em que a esplenectomia é contraindicada. A experiência do Ambulatório de Plaquetopenias do Serviço de Hematologia do HCUFGM é a de que este grupo de pacientes corresponde a menos de 10% do total de pacientes com PTI atendidos (total de cerca de 200 pacientes com PTI atendidos por ano) e o uso do medicamento tem representado uma sensível melhoria na qualidade de vida dos pacientes com diminuição importante dos eventos hemorrágicos.</p> <p>2ª - Sim, Os trabalhos de Bussel JB 2007 E 2009 e de Cheng G 2011 resumidos no Guideline on Immune Thrombocytopenia in adults da ABHH 2018</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Gostaria de acrescentar uma observação sobre o possível "impacto orçamentário" para o paciente e que, acredito, mereça estudo específico. Uma vez ultrapassada a fase inicial de ajuste de dose e avaliação da tolerância ao uso do Eltrombopague e uma vez atingida a resposta com elevação e estabilização do número de plaquetas, a consequente redução dos eventos hemorrágicos e a subsequente melhoria da qualidade de vida implicam numa redução do número de consultas e das idas ao serviço de emergência. Para o paciente do SUS, apenas esta pequena mudança de rotina, diminuindo o deslocamento para exames e consultas, já representa uma grande economia e repercute também na sua qualidade de vida.</p> <p>5ª - Sim, Importante considerar que pacientes acima de 60 anos com PTI crônica ou crônica e refratária apresentam na grande maioria dos casos diversas comorbidades, tais como, diabetes, hipertensão arterial sistêmica, dislipidemias, para citar apenas as mais frequentes, que implicam em limitações ao uso de muitos dos medicamentos de 2a linha e a contraindicação da esplenectomia. Também importante considerar o impacto da imunossupressão causada por muitos dos medicamentos de 2a linha, neste grupo de pacientes. O Eltrombopague olamina tem sido bem tolerado por este grupo de pacientes idosos.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
14/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação extremamente importante no contexto do tratamento da PTI</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
14/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. SOU MÉDICO E ATENDO PACIENTES DO SUS NO HOSPITAL ERASTO GAERTNER E TENHO AMPLA EXPERIÊNCIA COM O USO DA MEDICAÇÃO EM PACIENTES COM PTI E OS RESULTADOS SÃO EXCELENTES. PRATICAMENTE NÃO OBSERVAMOS EFEITOS ADVERSOS E, CLINICAMENTE, OS PACIENTES FICAM ESTÁVEIS E COM RESPOSTAS SUSTENTÁVEIS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A MELHORA CLÍNICA É SIM SUSTENTADA E EXISTE BENEFÍCIO AO PACIENTE CONTRADIZENDO A CONCLUSÃO DO PARECER DESTA CONITEC. SENDO ASSIM, A MEDICAÇÃO DEVE SER INCORPORADA AO SUS.</p>	
14/06/2018	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Não existem atualmente terapêuticas disponíveis para pacientes que não respondem às terapêuticas de primeira e segunda linha disponíveis e que apresentam sangramento, e os análogos de receptor de TPO (p.ex. revolade) seriam a única opção disponível com taxas de resposta acima de 90%, com baixa toxicidade. Estas drogas também seriam a única alternativa disponível para pacientes que não foram submetidos a esplenectomia e não respondem a nenhuma terapia disponível. Os análogos de TPO podem ser utilizados como ponte para este procedimento que apresenta potencial curativo em 60-70% dos pacientes, reduzindo portanto custos e morbidade</p> <p>2ª - Sim, Podem ser utilizados como terapia de `terceira linha` em pacientes sintomáticos, refratários a tratamentos prévios, com taxas de resposta superior a 90%</p> <p>3ª - Sim, Não foi contabilizado o gasto com o tratamento emergencial para o controle de sangramento com o uso de imunoglobulina, e estas drogas seriam uma opção para os pacientes que não respondem às outras terapias</p> <p>4ª - Sim, Vide justificativa item 12</p> <p>5ª - Sim, Vide anexos</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
14/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente, a medicação eltrombopague tem indicações precisas para PTI, com evidencia na literatura.</p> <p>2ª - Sim, Estudo EXTEND 2017</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Paciente plaquetopenicos podem custar muito para o sistema único de saúde em decorrência do alto custo das internações para tratamento de sangramentos e resgate de Imunoglobulina</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/06/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Excelente resposta em pacientes que já retiraram o baço 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
14/06/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
14/06/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. PRECISAMOS GARANTIR O ACESSO AOS PACIENTES QUE POSSUEM ESSE DIAGNOSTICO Á UMA MEDICAÇÃO SEGURA E EFICAZ 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
14/06/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
14/06/2018	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
14/06/2018	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>	
14/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Minha sugestão é que esta medicação seja disponibilizada para um grupo selecionado de pacientes, cuja liberação seja realizada de forma controlada, com uso racional dos recursos do SUS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Não foi feita avaliação econômica no caso de pacientes refratários, com sangramentos e que necessitam utilizar imunoglobulina humana intravenosa. Além disto, o cálculo de pacientes incluiu o total de pacientes que utilizaram azatioprina, ciclofosfamida, danazol e vincristina - sabemos que apenas um subgrupo destes pacientes é que teriam indicação de outra terapia.</p> <p>4ª - Sim, Não foi avaliada a redução de custo decorrente da prevenção de sangramentos nos pacientes refratários às medicações preconizadas pelo PCDT</p> <p>5ª - Sim, Acredito que seria adequada a inclusão da medicação para o tratamento da PTI em um grupo selecionado de pacientes (refratários às medicações atualmente disponíveis, com critérios de risco para sangramentos graves, com contra-indicação para esplenectomia ou como ponte para a realização da esplenectomia, quando não responsivos às outras medicações).</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. O parecer foi baseado no conhecimento técnico-científico publicado em grandes estudos, não considerando o impacto da falta de opções terapêuticas em situações de hemorragias com risco de vida em pacientes que não respondem rapidamente aos medicamentos disponíveis. Já considerando o ponto de vista clínico, o eltrombopag constitui opção terapêutica com resposta rápida (aumento da contagem plaquetária e controle de sangramento), tão seguro quanto outras opções disponíveis, mas que seria destinado apenas a uma pequena parcela de pacientes sem resposta a outros medicamentos. Tanto assim, que foi incorporado em algumas diretrizes de tratamento e por alguns sistemas de saúde mundo afora, conforme citado no próprio documento da CONITEC.</p> <p>2ª - Sim, Gostaria de destacar a eficácia e segurança do eltrombopag como opção de tratamento de 2ª linha para PTI, atestadas através de evidências nível I. Essas características fizeram com que esse medicamento fosse incluído em diretriz internacional de tratamento dessa condição, bem como na recentemente publicada revisão dos guidelines brasileiros de tratamento da PTI no adulto. Ressalto que o medicamento deve ser reservado aos casos graves, refratários a outras opções de 2ª linha ou com contra-indicação/ intolerância a outras opções de 2ª linha e que apresentem alto risco hemorrágico ou hemorragias recorrentes.</p> <p>3ª - Sim, Considerando a revisão das diretrizes brasileiras para o tratamento da PTI no adulto, o eltrombopag seria indicado para o tratamento de 2ª linha de pacientes graves e refratários ou com contra-indicações a outros tratamentos de 2ª linha. O cálculo de impacto orçamentário considerou o eltrombopag em igualdade com outras opções de 2ª linha e com risco de ter seu uso expandido pelo fato de os pacientes apreciarem o fato de ser oral e acompanhado por poucos eventos adversos. Com isso, houve uma estimativa exagerada do uso de eltrombopag e, conseqüentemente, do impacto sobre o orçamento destinado ao custeio desse tipo de tratamento. Na nossa prática clínica, acredito que seu uso seria reservado a menos de 10% dos casos de PTI tratados com medicamentos de 2ª linha.</p> <p>4ª - Sim, Vide acima.</p> <p>5ª - Sim, A exemplo do que ocorre com o tratamento da hemofilia e de outras coagulopatias hereditárias, o Ministério da Saúde é capaz de garantir que a liberação do eltrombopag adquirido com recursos públicos seja restrita aos casos em que o medicamento seja de fato necessário, evitando assim uma ruptura no orçamento destinado ao tratamento desse tipo de doença. Deixar de incorporar um recurso terapêutico dessa monta, com eficácia e segurança comprovadas cientificamente e já incluído até nas diretrizes brasileiras de tratamento do próprio Ministério da Saúde, é deixar de pensar em uma parcela de pacientes graves que talvez tenha nesse medicamento a única chance de deixar de morrer por sangramento.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. existem casos que a utilização do eltrombopague pode trazer muitos benefícios ao paciente com PTI, superando os riscos e custos de uma internação.</p> <p>2ª - Sim, Pacte com PTI com sangramento importante, com plaquetas &lt; 20000 e que sejam corticorresistentes.</p> <p>3ª - Sim, Os custos de uma internação em um pacto com quadro hemorrágico importante e com risco de morte devem ser considerados em um caso de PTI para liberação do eltrombopague. A inexistência de resposta a várias medicações utilizadas (corticoide, levamisole, dapsona, hidroxicloroquina, azatioprina, vincristina).</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/06/2018	Sociedade médica	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação tem indicação específica para trombocitopenia imune crônica na criança de evolução grave. Vide parecer</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
14/06/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eficácia avaliada em 2 estudos randomizados, duplos-cegos, controlados (RAISE e TRA 100773B) e em 2 estudos abertos (REPEAT e EXTEND). Em população pediátrica, o medicamento comprovou sua eficácia nos estudos PETIT e PETIT2. Eficácia avaliada em 2 estudos randomizados, duplos-cegos, controlados (RAISE e TRA 100773B) e em 2 estudos abertos (REPEAT e EXTEND). Em população pediátrica, o medicamento comprovou sua eficácia nos estudos PETIT e PETIT2.</p> <p>2ª - Sim, Não foi avaliado pela CONITEC os altos custos de resgate com Imunoglobulina e internações recorrentes devido a sangramentos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	