

# Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Nusinersena para atrofia muscular espinhal - CONITEC

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/08/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Esse medicamento é o único no mundo que pode salvar as pessoas com AME É de total responsabilidade do SUS fornecer esse medicamento com urgência 2ª - Sim, Meu filho faz uso do medicamento e tem apresentado grandes resultados sim 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não existe nenhuma outra forma de tratar a AME e a referida droga já mostrou através de robustas evidências ser altamente relevante para a melhora dos portadores de AME. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/08/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. o nusinersena vem.mostrando no.mundo inteiro melhora significativa na parte motora é respiratória de crianças e portadores de AME. Alem.disso as crianças que fazem o tratamento comprovadamente vivem maos igreja o nutri edema a SALVA VIDA das pessoas que fazem uso. É desumano deixar as crianças e pessoas no geral morrerem de uma doença cujo.tratamemto já existe! 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essencial para nossos pacientes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação tem unica e fundamental importância para o tratamento da doença. A não incorporação da medicação no Sistema Único de Saúde impede que pacientes diagnosticados sejam tratados e fiquem a mercê de possíveis enfermidades, além do isolamento social.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esta doença é cruel, e como na constituição a saúde é direito de todos, é importante que o estado promova bem estar à estes pacientes e aos seus familiares bem estar e uma vida saudável.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Cada vida é importante, se ponham no lugar dos pais dessas crianças, se fosse com vcs? Vcs fariam de tudo para dar o melhor para o seu filho se ele tivesse AME, é isso q esse pais estão buscando para os entes queridos, todos os impostos que pagamos, metade do ano q trabalhamos para pagar todos os impostos, mais que justo dessa medicação entrar no sus</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Pagamos tantos impostos durante o ano para o governo e não temos retorno em tantas áreas, q venha o retorno na forma da medicação então</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/08/2018	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>	
29/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É fundamental para a sociedade, e principalmente, para cada paciente da AME que o remédio nusinersena seja liberado pelo SUS. Os portadores da doença necessitam desse tratamento para a não progressão da doença e pela luta da sua vida. Sendo que o mesmo tem um alto custo, impossibilitando muitos a ter acesso ao medicamento, perdendo até a própria vida. Vamos dizer sim, a liberação de medicamentos de alto custo pelo SUS, vamos dizer sim a vida, pois não sabemos do nosso dia de amanhã.</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
29/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Aprovar o uso desse medicamento (ANVISA) e negar o seu fornecimento, na prática, significa que todos os pacientes irão recorrer a judicialização. O medicamento passará a ser fornecido de forma indiscriminada (o que não será desejável, sobretudo do ponto de vista econômico). O CONITEC fará um grande serviço a população estabelecendo critérios estritos de inclusão, exclusão e descontinuação do tratamento, baseado no parecer de especialistas.</p> <p>2ª - Sim, O estudo "Nurture" foi colocado nas referências bibliográficas do parecer técnico da CONITEC (HWU, W et al. Outcomes after 1-year in presymptomatic infants with genetically diagnosed spinal muscular atrophy (SMA) treated with nusinersen: interim results from the NURTURE study. Neuromuscular Disorders. 2017;27(Supplement 2):S212), porém não houve menção aos seus resultados no corpo do parecer. Trata-se de um estudo fase 2, que incluiu 20 lactentes pré-sintomáticos, com 2 ou 3 cópias do gene SMN2. Os pacientes foram acompanhados por 12 meses e todos adquiriram os marcos do desenvolvimento esperados para a faixa etária. Mesmo nos outros estudos citados, como no ENDEAR, algumas crianças com AME tipo 1 chegaram sentar (cerca de 8%) e a andar (1%), o que não seria possível sem o uso do medicamento. Assim, não resta dúvida que o medicamento funciona. O que precisa ser feito é estabelecer critérios bem definidos para quais crianças irão receber o remédio e critérios de descontinuação do tratamento (p.ex., no caso de doses sucessivas não demonstrarem manutenção ou melhora da função do marco motor). Também se poderia negociar uma redução substancial no preço do remédio, assim como foi feito pelo CADTH.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2018	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>	
29/08/2018	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
29/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eu discordo porque é um medicamento que pode salvar vidas , e eles não dão importância a isso .vocês não sabe o que é agente ver o filho da gente perdendo a força a cada dia, não sabe como é triste ver isso acontecer e não ter o poder de fazer nada pra salvar a vida dos nossos filhos, como é cruel vcs tem o poder pra deixa nossos filhos viver uma vida mais saudável e não faz nada pra ajudar , o que custa liberar esse medicamento pelo sus , esse medicamento dará uma vida longa aos nossos filhos , a vida de nossos filhos não tem preço . Quem tem ame tem pressa .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2018	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>	
29/08/2018	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>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
29/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Visto que e o unico medicamento que pode salvar as vidas desses pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Medicamento com valor de mercado inviavel para que a familia arque sem ajuda do governo, todos temos o direito a vida, portanto e de suma importancia que esse medicamento seja oferecido pelo sus para garantir o tratamento das crianças do nosso pais e aumentar a qualidade de vida das familias</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/08/2018	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>	
29/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Porque a melhora do paciente é notório, eles já conseguem se mexer, mostrar emoções, respiram melhor, o medicamento estabiliza o avanço da doença.</p> <p>2ª - Sim, Crianças que não tinham nenhum movimento passaram a ter.</p> <p>3ª - Sim, Uma vida não tem preço, o governo pode economizar em outras áreas e manter o custo de uma medicação que está salvando crianças de mortes tão rápidas.</p> <p>4ª - Sim, É só o governo economizar em outras áreas</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há casos comprovados de melhoria apos o uso do remédio. Mesmo se o remédio apenas fizer a doença progredir, ainda sim, ela é válida, o estado deve isso a todos os cidadãos, garantir a Saúde, o que Sus disponibiliza para esta doença hoje é apenas um time para que a morte venha a ocorrer.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Vendo o caso do garoto jago, é visível o avanço que ele tem apresentado, então facilitar para que outros casos também avance no tratamento é de grande contribuição para a sociedade brasileira.</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
30/08/2018	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>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo, pois venho acompanhando casos de crianças que conseguiram dar início ao tratamento, e pode se observar o quão a medicação é importante pois lhes dão a chance de viver, e evoluir.. pois em um país tão corrupto como o Brasil é vergonhoso ver que podemos bancar milhões de ladrões, mas ajudar essas crianças a ter uma chance de vida deixam-se de lado como lixo.</p> <p>2ª - Sim, Acompanho no Instagram uma criança que possui a Ame e desde o início da medicação pode se ver claramente sua evolução, a capacidade de se comunicar que ele vem adquirindo, seus movimentos.. su força de viver e aprender!</p> <p>3ª - Sim, Quanto vale uma vida? O que é a chance de viver em meio a turbilhões de corrupção!</p> <p>4ª - Sim, Tire do bolso dos políticos corruptos e todas crianças terão direito ao tratamento, e ainda sobra pra sustentar 90% do país.</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Vendo o caso do garoto joga, é visível o avanço que ele tem apresentado, então facilitar para que outros casos também avance no tratamento é de grande contribuição para a sociedade brasileira.</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
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A doença AME ficou conhecida pela maioria das pessoas do Brasil através das redes sociais dos pais que criam páginas implorando ajuda para o tratamento para seus filhos, haja vista o número absurdo de filhos morrendo por essa doença! Na esperança de que seus filhos sejam SALVOS por verem que em outros países crianças estão sendo SALVAS uso do medicamento, esses pais, que na sua grande maioria ou totalidade, não tem condições de adquirir a medicação com recursos próprios, é de extrema importância e urgência a incorporação do remédio para o tratamento da doença AME!</p> <p>2ª - Sim, As crianças que já receberam o tratamento através da medicação tiveram uma melhora visível aos olhos! Vejo nas redes sociais as famílias comemorando cada mínimo movimento, interação e principalmente VIDA de seu filho!</p> <p>3ª - Sim, A recomendação diz que o aporte econômico para disponibilizar a medicação para os pacientes é superior à evidências clínicas de melhora do quadro da doença, mas isso é uma inverdade visto que as crianças que receberam o tratamento estão vivas, estão mostrando melhora, estão voltando a se movimentar, a respirar melhor.</p> <p>4ª - Sim, É certo que o impacto orçamentário é grande porém estamos falando da vida de milhares de crianças que não podem morrer por não ter um tratamento adequado!</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo dessa preliminar não favorável a esse medicamento não disponibilizar -lo pelo SUS, onde se tem resultados positivos desse medicamento em crianças portadora da AME.</p> <p>2ª - Sim, Vivência de crianças em tratamento com o medicamento que tem um bom resultado.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	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 - Sim,</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2018	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>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acredito que todos possuem o direito de possuir um tratamento de qualidade e que traga maior perspectiva de vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por tratar se de um medicamento / tratamento extremamente caro, gostaria de perguntar: Como pacientes de baixa renda conseguirão viver sem o mesmo?</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente, pois a AME, geralmente se manifesta bem na idade em que foi diagnosticado no relatório, se a criança for tratada logo, vários casos poderão ser solucionados. e mesmo sendo tartado até mais tarde com 3, 4 anos pode sim apresentar efeitos bons</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Sim, a médica é um alto custo, mas como o Brasil está numa fase de só escutarmos falar em roubos e milhões desviados, e com todo o imoposto que pagamos, onde temos q trabalhar meio ano pra pdoer pagar esses impostos, SIM, o Brasil pode sim custear essa medicação</p> <p>4ª - Sim, Não exisitirá impacto orçamentários, com todos os impostos q somos obrigados a pagar todos os dias, o Brasil tem condições sim te pagar por essa medicação</p> <p>5ª - Sim, É só observar o caso dos irmão João e Miguel de Florianópolis, esse sim está sendo o melhor exemplo e estudo pra afirmar que a medicação funciona</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos têm direito a vida. Esse medicamento tem salvado e dado esperanças de mais anos pela frente</p> <p>2ª - Sim, Vejo e acompanho crianças com avanços nítidos no seu dia-a-dia. Crianças que se movimentam, que tem segurança de tronco, arrastando, melhora na fala, voltando a ter força muscular. As mudanças são enormes, esse medicamento tem trago vida a essas crianças, com instabilidade no seu quadro clínico.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. acompanho crianças que fazem uso do medicamento e além de parar a doença que é degenerativa ele proporciona uma qualidade de vida pra elas...uma vez que as crianças gradativamente vão tendo uma vida normal</p> <p>2ª - Sim, crianças com AME vão indo até parar de respirar...é o medicamento devolve a elas o direito de viver</p> <p>3ª - Sim, mesmo que seja caro. qual valor de uma vida</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, estamos falando de anjos de Deus que merecem todo e qualquer sacrifício pra viverem dignamente</p>	
30/08/2018	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>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa luta é pelo direito à vida, o direito de ir e vir. Os portadores dessa doença estão morrendo por dia, todo os dias eles deixam de viver um pouco é assim sua família. Nossa luta é pela vida! Nossa luta é por amor ao próximo!</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
30/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há evidências científicas dos efeitos positivos nos pacientes com AME!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos devem ter direito, por parte do estado, município, país, a uma inclusão em todos os meios possíveis e com a saúde não seria diferente. Mais que um simples remédio, a nusinersena se trata de uma esperança de vida a mais pra todos os pacientes que sofrem com o AME diariamente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	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>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho acompanhado crianças q na primeira dose do medicamento ja alcançaram otimos resultados.</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
30/08/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
30/08/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É notório os benefícios que o medicamento nusinersena está trazendo ao pacientes que possuem AME. Melhor qualidade de respiração, menos intercorrências, movimentos das partes do corpo, dentre tantos outros benefícios! 2ª - Sim, Como negar os benéficos do medicamento? Vemos todos os dias as crianças que estão utilizando a medição sendo beneficiadas com inúmeros progresso!! 3ª - Não 4ª - Sim, Políticos deixando de roubar sobra dinheiro para tratamento das crianças! 5ª - Não	
30/08/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Hoje em dia existem vários casos de pacientes com atrofia muscular espinhal, então essa medicação deveria ser disponibilizada para todos os pacientes que tem a AME. Essa medicação deverá sim ser disponibilizada pelo sistema único de saúde. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Venho acompanhando alguns casos de crianças portadoras desta doença e também tenho visto resultados notáveis ao longo do tratamento. Acredito que essas crianças têm uma chance de continuar vivendo e que esse medicamento é essencial para tanto. Sou mãe e me solidarizo com as mães dessas crianças e imagino o quão significativo é para essas mães e pais, a esperança de salvar a vida de seus filhos. Eu acredito em um País que prioriza a vida e a saúde do seu povo, parto da premissa de que antes mesmo de se discutir qualquer outro tema de cunho político, deve-se atentar para o fato de que pessoas estão morrendo por carência de saúde pública. Acho lamentável e sinceramente fico indignada como cidadã, quando ouço que uma pessoa faleceu por falta de um medicamento ou pelo mal funcionamento da saúde pública. Por essa razão, peço a Deus que coloque pessoas sensatas e de bom coração no caminho dessas crianças que sequer tiveram a oportunidade de conhecer prazeres simples da vida, prazeres que nós e nossos filhos, na maioria das vezes usufruímos e sequer nos damos conta do quanto cada detalhe é importante. Muitos pais já perderam seus filhos para essa cruel doença, mais ainda existem muitas crianças que dependem desse tratamento para viver, uma chance é tudo que essas crianças precisam.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Na verdade venho contribuindo junta às contas pessoais de algumas crianças, com o objetivo de arrecadar a quantia necessária para a contra das doses do medicamento e pretendo continuar ajudando da maneira que estiver ao meu alcance.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. E se você só tivesse essa chance? Assim começo meu comentário, pois esta é a posição em que as famílias de portadores da AME encontram-se. Fiz a leitura do relatório e ainda que um termo ou palavra científica não entenda ficou-me o entendimento, como um todo, deste, contudo cabe-me salientar que apesar da ausência de volumes maiores de estudos e/ou qualidade destes, esta é a única opção que essas famílias tem. Por sorte (Deus) meus filhos não tem qualquer problema de saúde, contudo pondo-me no lugar destas famílias, qualquer tempo de sobrevida/melhora de funções motoras é um grande ganho para estas. Igualmente entendo a questão orçamentaria, contudo estamos falando de vidas e creio (apesar de minha ignorância quanto às leis) que em nossa Constituição deve ter a preservação da vida como uma de suas diretrizes, ou seja, resumidamente e em uma linguagem mais direta. Dar-se um jeito quando se quer. Desta forma vejo que as questões econômicas não podem ser empecilho para liberação de tal. Há de se procurar uma solução. Quanto ao quadro clínico. Qualquer ganho (conforme citei acima) é maior do que os riscos envolvidos, visto que não se tem outra escolha e desconheço caso de complicação pela utilização deste. Obrigado.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A doença não escolhe renda familiar. Como que pessoas pobres custearão o tratamento de seus filhos?? Esse medicamento é a melhor chance dessas crianças.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Enquanto crianças morrem pela falta de tratamento, há categorias neste país ganhando auxílio moradia milionário, pessoas diga-se de passagem nem um pouco pobres.</p> <p>4ª - Sim, Impacto orçamentário são os mensalões da vida. Isso sim impacta negativamente o orçamento. Salvar vidas é a prioridade, não importa de onde cortem.</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. SOU TOTALMENTE A FAVOR A INCORPORAÇÃO DO NUSINERSENA NO SUS!! ACHO QUE TODAS AS PESSOAS TEM DIREITO A UM TRATAMENTO PARA UMA 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
30/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por menor que seja a evolução, esta causa um grande impacto na vida do paciente. Buscamos progresso, não perfeição!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os portadores da AME merecem ter a chance de viver melhor com essa medicação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O medicamento Nusinersena tem eficácia comprovada no tratamento de paciente com Atrofia Muscular Espinhal 5q</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	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
30/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Se no relatório houve melhora de 1% para o portado AME.E muito importante,que o paciente faça o tratamento no SUS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, SE O GORNO TEM ORSAMENTO DE 3 BILHOES PARA PARTIDOS POLITICOS.PORQUE NAO TERIA PARA UM MEDICAMENTO TAO IMPORTANTE</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A eficácia esta comprovada junto a diversos organismos internacionais como a agência de saúde americana o FDA e a agência de saúde Europeia, não há nada que desabone a eficácia do medicamento, pelo contrário o que se tem visto dentro e fora da comunidade científica são ganhos expressivos dentro do quadro clínico em que se encontram os portadores de AME 5q TIPO 1, é um equívoco restringir o tratamento.</p> <p>2ª - Sim, No Brasil já temos crianças (tipo 1) que utilizaram o medicamento e vem apresentando melhoras no seu quadro; não temos um acompanhamento pelas universidades para poder divulgar os resultados de melhoras e divulgar corretamente a sua melhora.</p> <p>3ª - Sim, Quando se fala em vida não são medidos esforços para poder salvar "Direito a Vida".</p> <p>4ª - Sim, No Brasil temos somente algumas centenas de pessoas com AME (tipo I, II, III e IV) que só tomaram o medicamento se devidamente comprovado pelo teste DNA e tendo o exame de MLPA para evitar gastos desnecessário diminuindo como isso o impacto orçamentário desnecessário do medicamento.</p> <p>5ª - Sim, Precisamos que as Faculdades Públicas ou Particulares de Medicina acompanhe os casos de AME para melhor sanar as dúvidas pendentes, ou seja uma melhor forma de estudo após a liberação neste primeiro momento do medicamento.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
30/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Independente da condição financeira das famílias dos portadores o direito a saúde e de fármacos para melhor qualidade de vida ou cura é de todos, ainda mais de um medicamento com um custo tão alto.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O tratamento é sim necessário para os portadores da AME, já comprovado a melhora é um direito dos portadores conforme constituição que o estado arque com os remédios em caso de necessidade! A melhora é evidente e comprovada, só falta o poder público tomar suas responsabilidades e dar toda assistência e arcar com os custos do tratamento!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	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>	
30/08/2018	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 - Sim,</p>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. segundo a constituição brasileira todos tem direito a saúde e tratamentos e esse é o unico medicamento para essa doença</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Sim uma valor que eu posso contribuir pra ajudar no tratamento</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Tendo em vista a Constituição vigente no país, é dever do Estado garantir saúde de qualidade para todos os cidadãos brasileiros, independente de classe social e raça. Logo, a União deve disponibilizar o medicamento para todas as crianças portadoras da doença referida.</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Infelizmente esse problema tem afetado muitas crianças que dependem exclusivamente dessa medicação para sobreviver.Sendo que ainda tem um agravante, pq qto mais demora o começo do uso, pior segue o estado de saúde das mesmas pois vai perdendo os movimentos do corpo e são danos irreparáveis.Com o uso da medicação a doença é estabilizada e a criança começa a ter um pouco de qualidade de vida.Não podemos deixar essas crianças sofrerem mais e até mesmo perderem a sua vidinha por falta de tratamento adequado.</p> <p>2ª - Sim, Temos o caso dos irmãos João e Miguel que acompanho pelo instagran, onde os dois conseguiram a medicação com a ajuda de doações do povo e tem tido uma melhora surpreendente.Issso prova mais uma vez que o tratamento é eficaz, por mais que seja caro para o SUS, precisamos da aprovação para que esses pequeninos tenham uma chance de viver e viver felizes.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Relatório parcial não abrange os resultados concretos da aplicação do medicamento atualmente em pacientes com AME de todos os tipos.</p> <p>2ª - Sim, Laudos Médico e de Fisioterapeuta.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O Ministério da Saúde deveria negociar com o laboratório, conforme notícia em anexo.</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
30/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. meu irmão era um garoto saudável, corria, surfava, jogava bola, volei.. mas a doença o pegou e de uma certa idade pra cá ele só piorou, parou de realizar todas as atividades físicas e hoje depende de ajuda. Acho que esse remédio é uma esperança para as pessoas que sofrem dessa doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Infelizmente, já perdi duas filhas com esta doença agressiva e hoje tenho um filho com a mesma doença. Saber que o único tratamento disponível no mercado e que pode salvar a vida do meu filho e de tantas outras crianças ser negado é muita falta de solidariedade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	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>	
30/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação está aprovada em bula, pela ANVISA, para os pacientes com diagnóstico de AME 5 q, contemplando todos fenótipos, sem exceção de idade ou tipo.</p> <p>2ª - Sim, Nursinesena obteve uma melhora da função motora em pacientes com AME tipo I em 51% no Estudo Endear, pela escala HINE II, reduzindo em 47% o risco de óbito ou ventilação permanente. Desta forma, podemos considerar que a medicação é eficaz nos pacientes com AME tipo I e nos pacientes com AME tipo II e III, onde o estudo CHERISCH, de fase III, que avaliou pacientes com esse perfil, obtendo melhora.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	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>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É fato que o medicamento ajuda sim essas crianças ! Qualidade de vida é direito de todossss.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	
30/08/2018	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>	
30/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou fisioterapeuta e tenho visto melhora na qualidade de vida de pacientes com AME após o uso do medicamento. Proporcionando o suporte necessário, é sim o obter ganhos para esses 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
30/08/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
30/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. porque so quem conhece uma pessoa com a AME sabe como é dificil para o paciente e para todo seus familiares, tenho o orgulho de ter conhecido uma menina assim ela hje está com 13 anos onde sua respectiva de visa seria ate seus 6 anos de idade 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
30/08/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
30/08/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Insistir na negociação com a indústria farmacêutica Biogen para redução do custo.Se não fosse a frenética corrupção, teríamos maiores verbas destinadas à saúde e às pesquisas e, ao invés de importar o medicamento, estaríamos produzindo no Brasil por preços acessíveis. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Acho q todos tem direito a vida.</p> <p>2ª - Sim, Se precisar e só chamar.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existe comprovação de melhora dos pacientes. Inclusive e principalmente para tipos 2/3.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	
30/08/2018	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>	
30/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação e a única forma de melhorar a qualidade de vida de um paciente</p> <p>2ª - Sim, O Derick é um lutador acompanhado de perto</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tal decisão deixa famílias totalmente desamparadas sem auxílio a doença, no qual é um absurdo!</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
30/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa recomendacao preliminar de nao incorporacao do nusinersena no tratamento tira qualquer possibilidade de uma vida digna , ou até mesmo a própria chance de viver. Pacientes com AME precisam dessa medicação que infelizmente não é acessível devido ao preço absurdo. Tirar a chance de um ser humano viver é desumano.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A única contribuição que posso fornecer tem um aspecto humanizado mesmo. Salvar vidas deveria ser a prioridade sempre .</p>	
30/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Estou acompanhando crianças que já receberam as doses e as melhoras são notáveis!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2018	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>	
30/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Um absurdo o valor do medicamento, as famílias não tem condições. O SUS precisa sim oferecer o tratamento medicamentoso</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
30/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É nítida a melhora clínica dos pacientes que realizaram tratamento com o medicamento. Desde a primeira aplicação observa-se ganho no controle muscular, sustentação de pescoço, melhora respiratória, entre outros movimentos que eram impossíveis antes da aplicação. Descrevo isso baseado nos resultados observados em varias pacientes que tiveram acesso. se existe o medicamento para o tratamento dos efeitos da AME É DIREITO DO PACIENTE TER ACESSO AO MESMO, independente do custo. Do contrário estarão assinando suas sentenças de morte, negando acesso ao tratamento.</p> <p>2ª - Sim, Obste-se resultado desde a primeira aplicação na melhora de movimentos musculares em pacientes que usaram o medicamento.</p> <p>3ª - Sim, Quanto vale a vida de um ser humano?? Não tem preço! Se existe medicamento, este deve ser disponibilizado!</p> <p>4ª - Sim, Quanto vale a vida de um ser humano?? Não tem preço! Se existe medicamento, este deve ser disponibilizado!</p> <p>5ª - Sim, Quanto vale a vida de um ser humano?? Não tem preço! Se existe medicamento, este deve ser disponibilizado</p>	
30/08/2018	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>	
31/08/2018	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>	
31/08/2018	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
31/08/2018	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>	
31/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É inaceitável que após tantos estudos clínicos randomizados adequados (bem desenhados e metodologicamente apropriados) e diante de tantas evidências científicas de segurança e eficácia no uso da Nusinersena para AME tipos 1 e 2 que a CONITEC tenha recomendação preliminar desfavorável à incorporação. É simplesmente lamentável, deplorável e inadmissível, grave retrocesso essa opinião.</p> <p>2ª - Sim, Referências bibliográficas (com amplo reconhecimento da segurança e da eficácia da medicação): 1. <a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02292537">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02292537</a> 2. <a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5858681/3">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5858681/3</a>. <a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5858681/4">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5858681/4</a>. <a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/287995785">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/287995785</a>. <a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/28977438">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/28977438</a> 6. <a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4782111/7">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4782111/7</a>. <a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/282293098">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/282293098</a>. <a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/288846209">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/288846209</a>. <a href="https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT0219307410">https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT0219307410</a>. <a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/2793905911">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/2793905911</a>. <a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/2909157012">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/2909157012</a>. <a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/26823478">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/26823478</a></p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo pois todos tem direito à saúde.</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
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Vejo pelo aspecto social da causa, pois são várias as pessoas lesionadas que não possuem condições financeiras para aquisição do medicamento e os órgãos governamentais terão condições de identificar essas pessoas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As crianças precisam disso para viver</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. SÃO VIDAS QUE ESTÃO MORRENDO MINHA GENTE!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O relatório demonstrou que melhora na qualidade de vida dos pacientes, pó isso é válido o uso do medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Sempre que houver melhoras para qualquer doença o tratamento é válido.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essas crianças precisam dessa chance, são a única solução pra elas. Meu Deus, como pode uma vida custar tão caro.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esta medicação tem que ser incorporada para tratamento da AME. As vidas destas crianças tem que ser salvas. Muitas estão morrendo por falta da inercia do estado.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. isso e um absurdo negar a vida, esta sendo provado por muitas crianças que estão fazendo um uso da medicação, que pode melhorar e da outro rumo a vida essa criança..sem falar que estão negando o direito delas lutarem pela própria sobrevivência.</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
31/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. é o único tratamento disponível</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	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>	
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não concordo pois acompanho o caso de crianças que tomaram esse medicamento e tiveram parte das suas funções devolvidas, afastando assim a morte até a primeira infância.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, é so acompanhar as crianças que tiveram acesso a essa medicação logo após o diagnostico das que nunca tiveram esse contato, alias muitas das quais faleceram por não ter acesso ao mesmo.</p>	
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. todo ser humano tem direito a vida , não é possivel que uma doença tão cruel , que seus portadores e familia ainda tem que sofrer tanto , e ainda tenha que aceitar essa sentença de morte , a vida não tem preço</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
31/08/2018	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>	
31/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Boa tardeA maioria das crianças e pessoas diagnosticadas com essa doença,não tem condições de arcar com o tratamento. Cabe ao governo ajudar.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Doença gravíssima, caríssima, passível de recuperação. Totalmente fora do poder aquisitivo da populaçãoO Brasil precisa de SAÚDE. E o SUS pode dar a solução.</p> <p>2ª - Sim, Veja o que está acontecendo com minha família por causa disso. Dependemos de favores da Justiça que nem sempre é confiável.</p> <p>3ª - Sim, Na verdade não sei como fazer.</p> <p>4ª - Sim, Não tem dinheiro? Não acredito.</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. tenho acompanhado há algum tempo nas redes sociais crianças com AME e é muito claro a evolução do tratamento com esse medicamento que é extremamente importante para eles.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tinha duas filhas com ame a mais nova faleceu.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim,</p>	
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Todo o individuo tem o direito a saúde. Com isso, o governo tem a obrigação de ajudar o cidadão, principalmente nessa causa.</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
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Um absurdo, ridículo, so no Brasil essas coisas, crianças inocentes morrendo por nao conseguir custear o tratamento, e politicos pegando pra si o que pagaria o tratamento de muitos deles!!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Nao vai impactar se os politicos pararem de roubar tanto o dinheiro publico, e mesmo se impactar, é por uma boa caisa</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. pacientes com AME I que estão ainda INDEPENDETES de ventilação mecânica e possuem mais COPIAS do gen SM2 podem ser beneficiados com a medicação que adiará ou impedirá a dependência física.</p> <p>2ª - Sim, Trabalho em hospital pediátrico e UTIs que atendem crianças portadoras de AME e permanecem hospitalizadas por meses ou anos até a morte. Contribuir com a oferta de dados sobre pacientes medicados para serem comparados com não medicados servirá para novas decisões em políticas de saúde e , quem sabe, a longo prazo para a redução de custos do tratamento.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. pacientes com AME I que estão ainda INDEPENDETES de ventilação mecânica e possuem mais COPIAS do gen SM2 podem ser beneficiados com a medicação que adiará ou impedirá a dependência física.</p> <p>2ª - Sim, Trabalho em hospital pediátrico e UTIs que atendem crianças portadoras de AME e permanecem hospitalizadas por meses ou anos até a morte. Contribuir com a oferta de dados sobre pacientes medicados para serem comparados com não medicados servirá para novas decisões em políticas de saúde e , quem sabe, a longo prazo para a redução de custos do tratamento.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas portadoras da AME precisam desse medicamento para terem uma vida digna. Lembre: DIGNIDADE DA PESSOA HUMANA é um princípio constitucional. Um direito de todos!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da recomendação pois várias crianças que receberam a medicação fora do país estão tendo resultados positivos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Estou acompanhando 2 crianças que começaram o tratamento e a evolução é notória.</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
01/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Peço que considere a proposta de liberação do Medicamento Nusinersena para tratamento aos pacientes tipo I II e III, pelo sistema unico de saúde SUS, pois é a chance que essas vidas tem, nunca houve medicamento que trouxesse a paralisação da doença degederativa AME, como esse medicamento tem apresentado em todo mundo, por favor nos ajude, peço que lembrem que poderia ser vocês, seus filhos sua família, sabemos que o laboratório já fez propostas com melhor preço ao SUS, por favor considere gente, peço que lembre isso por favor.. o mundo todo já liberou, peço por favor liberem o medicamento e que Deus posso olhar que isso esta em suas mãos.</p> <p>2ª - Sim, a) Indicações terapêuticas na BulaSPINRAZA™ (nusinersena) é indicado para o tratamento de pacientes com Atrofia Muscular Espinhal (AME) com deleção ou mutação no gene SMN1 localizado no cromossomo 5q.Segue relatoEsse é exatamente o cenário que vemos no tratamento das pessoas com AME (Atrofia Muscular Espinhal). Agosto tambémé o mês da conscientização sobre AME. Como propositor desta audiência pública, tenho esperança e fé de que possamosunir esforços e avançar para que os medicamentos e tratamentos da AME realmente aconteçam em nosso País, porquena verdade já passou do tempo.Esta audiência pública se junta a várias outras ações que acontecem este mês no Brasil inteiro. Mesmo não podendo estarpresente fisicamente em cada uma delas, estarei torcendo para que cada evento que seja realizado possa representar asemente da esperança junto aos pacientes com atrofia muscular espinhal. O medicamento Spinraza, que mostra resultadosbastante promissores no tratamento da AME e que já foi aprovado pela Anvisa, ainda não é disponibilizado pelo SUS. Asfamílias, que veem seus filhos, amigos e muitas crianças morrerem pela falta de medicamento, desesperam-se e pedem aatenção do Poder Público. A proposta da conversa de hoje é tentar uma abordagem diferente para sair desse impasse, écolocar na mesma mesa os fabricantes de medicamentos, associações de pacientes, órgãos públicos e o Poder Judiciáriopara tentar chegar a um modelo baseado em parceria e não em conflito. Essa é a nossa grande ideia, o nosso grandeinteresse com este evento de hoje. Todos saem perdendo quando a única forma de conversa é através de atas e decisõesprotocolares. Todos querem a mesma coisa: ver nossos filhos e amigos vivos, saudáveis e felizes. Todos têm necessidades e todos têm algo a oferecer.Por favor precisamos da liberação do medicamento conforme lei,</p> <p>3ª - Sim, Vivemos em um país onde contribuimos para momentos como este, quando se deve liberar o medicamento para AME, podemos apenas ter direito a vida...lembre se e se fosse vocês o que vocês iriam fazer?</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como podem ter a coragem de negar o direito a vida? e se fosse seu filho? seu familiar? gostaria de saber se vcs tb irao tirar do SUS remédios pra aidéticos, quimio? afinal nenhum deles é cura. porque a MAE não pode ter direito de lutar? vcs já viram e acompanham crianças que estão recebendo a medicação?</p> <p>2ª - Sim, releiam as notas taquigráficas da audiência pública, com relatos de médicos com anos de experiência em AMe contarem os avanços de seus pacientes, olhem na pagina do facebbok Spinraza, a evolução dos pacientes brasileiros e revejam seus conceitos</p> <p>3ª - Sim, Quanto vale uma vida? porque não reveem a negociação do teto proposta pelo laboratorio?</p> <p>4ª - Sim, com a melhora dos pacientes , as internaçõe em UTI e home car tb diminuiram, a longo prazo esse investimento será muito mais lucrativo. chamem um matematico pra fazer as projeções.</p> <p>5ª - Sim, insisto para acompanharem a evolução dos pacientes no Brasil e em outros países dos pacientes que já estão em uso da medicação.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Completamente errado, a posição de vocês de se colocar contra a liberação de um medicamento que esta salvando vidas, e se fosse o filho de vocês, todos contribuem nesse Brasil e sabemos que temos recursos, olha o qto foi liberado para financiamento de campanha política, temos direitos de viver, e se Deus resolve colocar a mão sobre vocês e sobre os filhos, pense se coloque no lugar, suas vidas, por favor pessoal, liberem o medicamento, sabemos que existe um acordo entre laboratório e governo, sei que são pressionados, mas tenha misericórdia, pois isso esta em suas mãos, e sangue de inocentes também, é como uma arma, vocês escolhem o que fazer... nos ajudem</p> <p>2ª - Sim, O caso do paciente de AME e do medicamento Spinraza é bastante emblemático e por isso achamos que ele pode apontar um rumo. Se conseguirmos desenhar juntos uma solução que possibilite o pleno acesso aos medicamentos a um custo razoável, com uma logística que permita o diagnóstico e o tratamento com agilidade, teremos dado um passo importantíssimo que poderá ser replicado para as outras doenças. Por isso, agradeço mais uma vez a presença de todos vocês e vou chamar a tomarem assento à mesa os convidados que vão participar hoje desta audiência pública. Vamos dividir em duas mesas. A primeira mesa será montada com o Desembargador Federal, Presidente da 3ª Seção do TRF da 1ª Região, Desembargador Souza Prudente. (Palmas.) Médico Oncologista e Assessor Técnico do Ministério da Saúde, Sr. Omar Ali Abdallah. (Palmas.) Representante da Associação Unidos pela Cura e pai de Gianluca Trevelin, Renato Trevelin. (Palmas.) Presidente da Associação Brasileira de Atrofia Muscular Espinhal (Abrame) e mãe de Lucas Braga, Srª Fátima Braga. (Palmas.) Médico Neurologista da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo, Dr. Edmar Zanoteli. (Palmas.)</p> <p>3ª - Sim, Na primeira eleição presidencial com a proibição de doações de pessoas jurídicas, a Justiça Eleitoral divulgou nesta sexta-feira (15) o valor exato do fundo público eleitoral, o Fundo Especial de Financiamento de Campanha, montant... - Veja mais em <a href="https://noticias.uol.com.br/politica/eleicoes/2018/noticias/2018/06/15/tse-confirma-fundo-de-r-17-bi-para-eleicao-e-divulga-cota-de-partidos.htm?cmpid=copiaecola">https://noticias.uol.com.br/politica/eleicoes/2018/noticias/2018/06/15/tse-confirma-fundo-de-r-17-bi-para-eleicao-e-divulga-cota-de-partidos.htm?cmpid=copiaecola</a></p> <p>4ª - Sim, Respeitamos todo cada indivíduo, mas Não lutamos por estética, lutamos pela vida.</p> <p>5ª - Sim, Travestis e transexuais têm direito ao acesso ao Processo Transexualizador no Sistema de Único de Saúde (SUS), que abrange: a garantia da integralidade e humanização da atenção, promovendo um atendimento livre de discriminação; inclusão de procedimentos como a hormonioterapia, que garantam o atendimento não só a população de transexuais, mas também de travestis; atendimento por equipe interdisciplinar e multiprofissional (psiquiatra, psicólogo, clínico geral, ginecologista, urologista, endocrinologista; enfermagem e assistente social) visando acompanhamento psicoterápico, hormonioterapia e procedimentos de redesignação sexual.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. È uma vergonha, vivemos em um país que não cumprimos as leis, direitos de todos a saúde, o unico direito que temos é de impostos, tantas outras coisas por leis são feitas, mas o direito a vida, ao medicamento, que é liberado nas maioria dos países, peço que libererm, pois sabemos que o laboratório tem proposta de melhor preço na negociação com o SUS, por favor se coloque no lugar dessas crianças, e se fosse filhos de vocês, o sangue dos inocentes estão sobre vocês, peço que analisem que não estamos pedido algo, apenas um medicamento que esta salvando vidas, a responsabilidade humana nem sempre é protocolo, pois sabemos que vivemos em um país que tem condições, por favor liberem o medicamento..</p> <p>2ª - Sim, Sim, conhecemos várias crianças que melhoraram com o medicamento, estão algumas ate trocando passos, até ontem não estavam nem respirando, sei que existe protocolos, mas esperamos a anos este medicamento, e agora que temos a chance de salvar vidas, por favor nos ajude, pais e profissionais estão vendo a melhora nas crianças com AME Tipo I II III que tiveram melhoras, ganhos...</p> <p>3ª - Sim, Respeitamos outras intenções,mas eu contribuiu com os impostos, e não peço nada, apenas que esse medicamento seja liberado pelo SUS para os pacientes com AME, tenha misericórdia e que Deus possa agir em suas vidas, pois sabemos que temos responsabilidades sobre as pessoas, de ajudar ou atrapalhar...tenham misericórdia</p> <p>4ª - Sim, pra tantas outras, temos recursos, para salvar vidas no Brasil não temos nada, nos ajudem...</p> <p>5ª - Sim, Cirurgias de mudança de sexo são realizadas pelo SUS desde 2008Para obter atendimento os pacientes devem atender requisitos como: maioridade, acompanhamento psicoterápico por pelo menos dois anos, laudo psicológico/psiquiátrico favorável e diagnóstico de transexualidadepublicado: 06/03/2015 17h19, última modificação: 22/12/2017 10h34A+ A A-OUVIRTweetCompartilhar no Google+Compartilhar no LinkedInO processo transexualizador ou cirurgia de mudança de sexo pode ser definido como um conjunto de estratégias assistenciais para transexuais que pretendem realizar modificações corporais do sexo, em função de um sentimento de desacordo entre seu sexo biológico e seu gênero - em atendimento às legislações e pareceres médicos. No Brasil, o Ministério da Saúde oferece atenção às pessoas nesse processo por meio do Sistema Único de Saúde (SUS) desde a publicação da Portaria Nº 457, de agosto de 2008.Até 2014, foram realizados 6.724 procedimentos ambulatoriais e 243 procedimentos cirúrgicos em quatro serviços habilitados no processo transexualizador no SUS.Desde novembro de 2013, o Ministério da Saúde, por meio da Portaria nº 2.803, ampliou o processo transexualizador no SUS, aumentando o número de procedimentos ambulatoriais e hospitalares e incluindo procedimentos para redesignação sexual de mulher para homem. Antes das cirurgias, é realizada uma avaliação e acompanhamento ambulatorial com equipe multiprofissional, com assistência integral no processo transexualizador.Idade mínimaPara ambos os gêneros, a portaria do Ministério da Saúde estabelece que a idade mínima para procedimentos ambulatoriais seja de 18 anos. Esses procedimentos incluem acompanhamento multiprofissional e hormonioterapia. Para procedimentos cirúrgicos, a idade mínima é de 21 anos. Qualquer cidadão que procurar o sistema de saúde público apresentando a queixa de incompatibilidade entre o sexo anatômico e o sentimento de pertencimento ao sexo oposto ao do nascimento tem o direito ao atendimento humanizado, acolhedor e livre de qualquer</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> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>discriminação. Entenda o processo O termo mudança de sexo refere-se à alteração das características físicas sexuais de uma pessoa, por meio de cirurgia ou de tratamento com hormônios. A expressão também é frequentemente utilizada para descrever a terapia de mudança de sexo, ou seja, os procedimentos médicos que transexuais podem seguir, ou especificamente à cirurgia de mudança de sexo, a qual se refere somente à cirurgia genital a qual pessoas podem submeter-se ou serem submetidas quando crianças. Mudanças à base de medicamentos e cirurgias são frequentemente necessárias para tornar uma mudança de gênero socialmente viável, bem como representar benefícios a autoestima da pessoa atendida. Requisitos e legislação A Advocacia-Geral da União (AGU) confirmou, na Justiça, que é imprescindível atender às exigências do Sistema Único de Saúde (SUS) para realização de cirurgia de troca de sexo. Os advogados da União entendem que, por ser um procedimento irreversível, é preciso que o paciente se enquadre em todos os requisitos: maioridade, acompanhamento psicoterápico por pelo menos dois anos, laudo psicológico/psiquiátrico favorável e diagnóstico de transexualidade. Unidades aptas a realizarem o processo no Brasil De acordo com a portaria, os hospitais devem oferecer serviços de Atenção Especializada com médicos das áreas de endocrinologia, ginecologistas, urologistas, obstetras, cirurgiões plásticos, psicólogos e psiquiatras, além de enfermeiros e assistentes sociais. Os hospitais habilitados junto ao SUS para a realização do Processo Transsexualizador são: Hospital das Clínicas da Universidade Federal de Goiás, Goiânia (GO); Hospital de Clínicas de Porto Alegre, da Universidade Federal do Rio Grande do Sul, em Porto Alegre (RS); Hospital Universitário Pedro Ernesto, da Universidade Estadual do Rio de Janeiro (RJ); Fundação Faculdade de Medicina, da Universidade de São Paulo (USP); e Hospital das Clínicas da Universidade Federal de Pernambuco (UFPE), em Recife (PE). Precisão nos termos científicos Outros termos utilizados para definir especificamente o processo de mudança de sexo são cirurgia de redesignação de gênero, cirurgia de reconstrução sexual, cirurgia de reconstrução genital, cirurgia de confirmação de gênero e, mais recentemente, cirurgia de afirmação de sexo. Os termos comumente usados - "mudança de sexo" ou "operação sexual" - são considerados imprecisos. Os termos genitoplastia de feminilização e genitoplastia de masculinização são mais usados pela área médica em alguns países. Para as mulheres transexuais (MtF — Male to Female, de homem para mulher, em inglês), a cirurgia de redesignação sexual envolve essencialmente a reconstrução dos genitais (embora outros procedimentos possam ocorrer; em muitos casos, algumas mulheres transexuais decidem não se submeter à cirurgia de redesignação genital), enquanto que nos homens transexuais (FtM — Female to Male, de Mulher para Homem, em inglês) ela compreende um conjunto de cirurgias, incluindo remoção dos seios, reconstrução dos genitais e lipoaspiração. A retirada dos seios é usualmente o único procedimento que eles se submetem, além da histerectomia, principalmente porque as técnicas atuais de reconstrução genital para homens transexuais ainda não criam genitais com uma qualidade estética e funcional satisfatória. Muitos optam por fazer uma faloplastia com médicos renomados do exterior. Para mulheres transexuais, a cirurgia de feminilização facial e o aumento de seios são passos do processo de redesignação sexual. Histórico da mudança de sexo no Brasil Até 1997, cirurgias de mudança de sexo eram proibidas no Brasil. Pessoas que desejassem passar pela mesma eram obrigadas a recorrer a clínicas clandestinas ou, mais frequentemente, a médicos no exterior. Em 2008, o governo brasileiro decide finalmente oficializar as cirurgias de redesignação sexual, implantando o "Processo Transsexualizador" por</p>	

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

meio do Sistema Único de Saúde.Fonte:Portal Brasil com informações do Ministério da Saúde e Agência Brasilerror while rendering plone.belowcontentbody.relateditems

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eu não acredito que vocês estão discordando de incorporar o medicamento Nusinersena pelo SUS, por favor isso não pode acontecer, se coloque no lugar dessas crianças, perdendo a vida, e se fosse filhos de vocês, nós sabemos que o laboratório tem um melhor preço com o governo que trabalha com nosso dinheiro, assim como os pacientes com HIV tem direito a vida, muitas vezes por opção, mundaça de sexo tem direito a isso pelo SUS, porque essas crianças que ninguém sabia, nasceram cheias de alegria, querendo apenas viver... coloque as mãos na consciência e veja se vale a pena, agir assim, tenha misericórdia, isso não é humano... Deus pode agir em prova de nossas escolhas, por favor liberem</p> <p>2ª - Sim, Sabemos que temos um sistema universal de saúde subfinanciado, com milhares de pessoas com doenças prevalentes e com algumas pessoas com doenças raras. Isso cria um dilema: onde se aplicar esse recurso? Pode passar. Na sexta-feira, o Juiz Sérgio Moro fez uma declaração muito interessante. Ele dizia que não consegue visualizar na sociedade um grupo de pessoas mais vulnerável do que o dos pacientes com doenças raras. Isso, realmente, é uma grande verdade. Por quê? Os medicamentos, por tudo aquilo que já foi dito na abertura, encontram grande dificuldade na incorporação no SUS, primeiro porque há os critérios de Medicina baseados em evidências, e nós somos um número muito pequeno, e essa evidência fica um tanto quanto complexa para se observar. Há a questão do custo e da efetividade, e o grande argumento que se usa é o de que é uma doença incurável, é o de que esses remédios não curam. Agora, doença incurável é igual a doença sem tratamento? Pode passar. O que nos resta é a judicialização. Infelizmente, até mesmo na judicialização nós temos encontrado algumas barreiras. A primeira é a questão de algumas notas técnicas que foram emitidas, que contêm alguns equívocos e que apresentam outros recursos como paliativos, que atenderiam à necessidade dos doentes raros. A gente volta a perguntar: diabetes e 3/38 Reunião de: 08/08/2018 Notas Taquigráficas - Comissões SENADO FEDERAL hipertensão têm cura? Não. Mas elas são tratáveis. Por que se tratam de modo diferente as doenças raras? Por enquanto, ainda não há cura, mas elas precisam e devem ser tratadas. Pode passar. Essas imagens mostram alguns recursos que são usados, como a reabilitação, o Cough Assist, o BiPAP, o Ambu. Tudo isso traz qualidade de vida? Traz. Isso ajuda a combater o quê? As consequências da doença. Eles trazem qualidade de vida e aumento de sobrevida, sim. Pode passar. No entanto, os medicamentos que estão surgindo vão buscar combater a causa da doença, vão tentar corrigir o defeito genético. Pode passar. Há solução? Acreditamos que sim. Há uma necessidade muito grande de se alterarem, de se modificarem os critérios de avaliação de incorporação desses medicamentos. Em vez de uma medicina baseada em evidências, por que não usar os múltiplos critérios? Por que não fazer a aprovação condicional, com a liberação de comercialização, e acompanhar o resultado desses medicamentos nos pacientes? Todos os países que fizeram isso não voltaram atrás nessa aprovação condicional. Pode passar. Eu gostaria de deixar algo para nós pensarmos e refletirmos. Há alguns séculos um antropólogo disse que existiam cidadãos com direito cívico maior do que outros. Hoje, com a situação dos doentes raros, como eu falei, a gente está praticamente sem alternativa. Há dificuldade de incorporação do medicamento no rol SUS, por todas as colocações que foram feitas aqui, e tentamos a judicialização, que não é aquilo que nós gostaríamos de fazer. Nós gostaríamos de ter direito de acesso ao medicamento, assim como se dá com todos os outros medicamentos, sem a questão da judicialização. E a gente pergunta: pelo fato de termos uma</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		doença rara, somos cidadãos com menos direitos cívicos que outros? A saúde não é direito de todos? Eu gostaria que nós refletíssemos bastante sobre isso, sobre a necessidade de olharmos com outro olhar para os pacientes com doenças raras.	
		3ª - Sim, todos tem direito conforme artigo anexo	
		<p>4ª - Sim, Todos tem direitos de viver...A COMISSÃO Entenda a CONITEC Histórico Institucional Legislação Reuniões da Comissão Biblioteca virtual AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS Submissão de propostas Tecnologias demandadas Recomendações da CONITEC Consultas Públicas Enquetes RENAME 2017 RENASES 2012 Medicamento para prevenção do HIV é incorporado no SUS Publicado: Segunda, 29 de Maio de 2017, 13h16 Última atualização em Quinta, 17 de Agosto de 2017, 09h30 Acessos: 1311</p> <p>Profilaxia Pré-exposição (PrEP) será ofertada para as populações com maior risco de infecção pelo HIV. Medida, adotada pelo Ministério da Saúde, não substitui o uso do preservativo O Ministério da Saúde vai ofertar no Sistema Único de Saúde (SUS) medicamentos antirretrovirais para reduzir o risco da infecção pelo HIV antes da exposição ao vírus. Conforme decisão publicada hoje, segunda-feira (29/05), no Diário Oficial da União (DOU), o medicamento terá até 180 dias para sua implementação no SUS. A Profilaxia Pré-Exposição (PrEP) será oferecida conforme as orientações do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) sobre o tema. A PrEP consiste na utilização de um antirretroviral, que associa os medicamentos tenofovir e emtricitabina em um único comprimido, em pessoas não infectadas pelo HIV e que mantêm relações de risco com maior frequência. “O Brasil, mais uma vez, sai como um dos pioneiros na prevenção e tratamento do HIV”, afirmou o ministro Ricardo Barros, durante entrevista coletiva realizada na última quarta-feira, 24/05. Ele lembrou que a iniciativa é muito importante para as pessoas expostas ao vírus, mas ressaltou que a sua inclusão no SUS não dispensa o uso dos outros métodos preventivos. A incorporação foi recomendada pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), após consulta pública realizada para obter informações, opiniões e críticas de pesquisadores e outros setores da sociedade. Com a nova medida, o Brasil se torna o primeiro país da América Latina a utilizar essa estratégia de prevenção como política de saúde pública. A Organização Mundial de Saúde (OMS) recomenda, desde 2012, a oferta de PrEP para casais soros diferentes, gays; homens que fazem sexo com homens; profissionais do sexo e pessoas transgêneros (travestis e transexuais), consideradas populações-chaves. A PrEP já é utilizada em países como Estados Unidos, Bélgica, Escócia, Peru e Canadá, onde é comercializada na rede privada, além da França, África do Sul, entre outros, que incorporaram ao sistema público de saúde. O investimento inicial do Ministério da Saúde será de U\$ 1,9 milhão na aquisição de 2,5 milhões de comprimidos, o que deve atender a demanda pelo período de um ano. No Brasil, a estimativa é que a PrEP seja utilizada por uma população de 7 mil pessoas que fazem parte das populações-chave, no primeiro ano de implantação. Cabe esclarecer que fazer parte desses grupos não é o único critério para indicação da PrEP. Para isso, será necessária uma avaliação da vulnerabilidade do paciente, de acordo com comportamento sexual e outros contextos de vida. Essa análise deverá ser feita pelos profissionais de saúde. “Uma série de critérios devem ser levados em conta antes da indicação da PrEP, como o número de parceiros sexuais, os outros métodos de prevenção utilizados, o compromisso com a adesão ao medicamento, entre outros”, destacou a diretora do Departamento de IST,</p>	<a href="#">Clique aqui</a>



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>Aids e Hepatites Virais do Ministério da Saúde, Adele Benzaken. É importante destacar que a PrEP só será indicada após testagem do paciente para HIV, uma vez que ela é contraindicada para pessoas já infectadas pelo vírus. Nesses casos, a PrEP pode causar resistência ao tratamento. Por essa razão, as pessoas que já vivem com o vírus não serão submetidas à profilaxia, e sim encaminhadas para tratamento imediato.</p> <p>PREVENÇÃO COMBINADA - A PrEP insere-se como uma estratégia adicional dentro de um conjunto de ações preventivas, denominadas “prevenção combinada”, como forma de potencializar a proteção contra o HIV. A prevenção combinada inclui: testagem regular; profilaxia pós-exposição ao HIV (PEP); teste durante o pré-natal e tratamento da gestante que vive com o vírus; redução de danos para uso de drogas; testagem e tratamento de outras infecções sexualmente transmissíveis (IST) e das hepatites virais; uso de preservativo masculino e feminino, além do tratamento para todas as pessoas. HIV NO BRASIL – De acordo último boletim do Ministério da Saúde, 827 mil pessoas vivem com HIV/aids no país atualmente. Desse total, 372 mil ainda não estão em tratamento, sendo que 260 mil já sabem que estão infectadas e 112 mil pessoas não sabem que têm o vírus. O Brasil foi um dos primeiros países do mundo a oferecer o acesso ao tratamento de forma integral e universal desde meados dos anos 1990. De janeiro a outubro do ano passado, 34 mil novas pessoas com HIV e Aids iniciaram o tratamento pelo SUS. Atualmente, são 498 mil pessoas em tratamento (dados de dezembro de 2016). Acesse o relatório técnico que embasou a recomendação da Conitec e o PCDT que orientará o uso da PrEP no SUS. Fonte: Agência Saúde Texto editado pela CONITEC</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente, pois vivemos em um país de direitos, pelo menos direito a vida, assim como ninguém escolhe ser preto, branco, e todos devem por diretos contribuir, e porque quando anos todos esperavam um medicamento, vem o medicamento e agora não temos condição de pagar, de comprar, pois sabemos que o governo tem proposta do laboratório para custear o direito a vida, respeito pacientes com HIV, apesar que muitos é opção da doença... respeito a cirurgia mudança de sexo, mas ela ocorre e ajuda a contribuir...agora mediante isso se o seu filho pede apenas pra viver, respirar, peço que considere nosso pedido e possa aceitar nosso pedido e liberar Nusinersena para os pacientes com AME Tipo I II e III, por favor que Deus possa tocar o seu coração pra não viver o que famílias e crianças vivem, porque esta em suas mãos</p> <p>2ª - Sim, Temos contatos com Pais, que seus filhos usaram, e muitos não conseguiam respirar, e agora ficam em pé, e melhoram a cada dia, tantos videos na internet para pessoas que não conhecem pacientes com ame antes e depois da aplicação</p> <p>3ª - Sim, Segue anexo outros direitos a vida que também conseguiram..</p> <p>4ª - Sim, Sabemos que sempre temos problemas, mas no Brasil abençoado, onde ainda tem pessoas que cruzam os braços diante da vida, e so lembramos quando o problema é com quem amamos, se coloquem no lugar dessas crianças, desses pais, pense você tentando salvar seu filho, e o politico podendo gastar, o que não tem. e vocês sabem que no Brasil é assim , que poucos tem chance...a unica coisa que peço que tenhamos direito a vida</p> <p>5ª - Sim, Sabemos que sempre temos problemas, mas no Brasil abençoado, onde ainda tem pessoas que cruzam os braços diante da vida, e so lembramos quando o problema é com quem amamos, se coloquem no lugar dessas crianças, desses pais, pense você tentando salvar seu filho, e o politico podendo gastar, o que não tem. e vocês sabem que no Brasil é assim , que poucos tem chance...a unica coisa que peço que tenhamos direito a vida</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
01/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acho que deve ser cedido pelo governo uma vez que o medicamento custa caro</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
01/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
01/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes estão evoluindo bem com o medicamento. Não podem parar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou a favor da medicação da doença AME , pois vejo muito evolução a as crianças com a doença , acompanho o Gian nas redes sociais e vejo que ele está a cada dia melhor . 2ª - Sim, Pois vejo melhoras nas crianças que usam essa medicação . 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A filha de uma amiga tem essa doença, e muito sofrimento ver um anjo sofrendo morrendo aos poucos, esse medicamento e a esperança de vida para uma criança que luta 24 hrs por dia. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa medicacao tem que ser liberada pelo sus , pois e muito cara e existem muotas crianacas com essa doenca , e estao morrendo por falta da medicacao .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/09/2018	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>	
02/09/2018	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>	
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. tenho acompanhado a evolução de alguns pacientes pelo facebook , spinraza, a evolução dos pacientes brasileiros e de outros dois meninos aqui de perto que já estão usando essa medicação e vejo muitos venefícios.</p> <p>2ª - Sim, acompanhem algumas crianças que já estão recebendo a medicação e revejam seus conceitos,</p> <p>3ª - Sim, o SUS vai eonomizar com internações e e outros tratamentos a longo prazo, e a farmaceutica ofereceu possibilidade de negociação.</p> <p>4ª - Sim, não tem lógica um país que gasta fortunas com camapnhas políticas, negar um medicamento que pode melhorar a vida de muitas pessoas.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. já vi muitos pacientes melhorando com medicação</p> <p>2ª - Sim, anvisa aprovou para todos os tipos de AME. não pode haver exclusão,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. porque existem muitos benefícios pra as crianças que já estão usando a medicação.tem que ser revisto para todos os tipos de Ame, todos merecem o tratamento</p> <p>2ª - Sim, acompanhem nos grupos de facebbok e vejam a evolução dos pacientes e coloquem a mão na consciencia e revejam o parecer de vcs.</p> <p>3ª - Sim, vcs estão com disponibilidade de entrar em negociação com a empresa que vende. então negociem.</p> <p>4ª - Sim, não faz sentido e não tem lógica um país que paga cirurgia de troca de sexo e não cuida de crianças inocentes doentes.</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. os pacientes que estão recebendo a medicação estão tendo sim muitos ganhos, sugiro vcs tb acompanharem a evoluçãõ dessas crianças, até em outros países, e reavaliem tb para todos os tipos de AME</p> <p>2ª - Sim, em anexo douemntos que comprovam a aeficácia desse medicamento para todos o stipos de Atroifa,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. porque a Anvisa liberaria a medicação pra todos os tipos de AME se ela não fosse cientificamente comprovada? A Anvisa é um órgão muito sério.</p> <p>2ª - Sim, basta acompanhar nas redes sociais a evolução dos pacientes,</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
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. meu primo tem essa doença e acompanho no face .. Spinraza, a evolução dos brasileiros e os vídeos provam que as crianças que estão recebend a medicação estão tendo sim muitas melhoras. alguém aí já viu o vídeo do Ryan de outro país? ele tem tipo II e está andando.</p> <p>2ª - Sim, existem muitas evidências, relatos de médicos . vídeos de pacientes, basta pesquisar, como podem não ser favoráveis?</p> <p>3ª - Sim, negociem com a Biogem, eles estão abertos a isso;;;e vcs estão calculando o primeiro ano de medicação, os demais anos serão menos doses, não terá as doses de ataque. pensem...</p> <p>4ª - Sim, não me venham falar em dinehrio num país que rouba bilhões e os culpados saem em pune. é possível sim fazer essa medicação chagar a todos os portadores, basta serem honestos e não usarem outros bilhões em camapnahs política.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. se as pessoas estão tendo melhora com a medicação, como negar? como podem ser contra?</p> <p>2ª - Sim, médicos neurologistas com experiência em Atrofia confirmaram muitas evoluções dos sus pacientes, videos na internet confirmam pra qualquer leigo ver. e outra como a Anvisa liberou, porque vcs podem dizer não?</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, impacto orçamentário é o governo roubar e não saber investir onde precisa.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pagamos altos impostos para termos uma saúde digna e termos acesso a tratamentos para as doenças de nossos familiares! Tanto roubam nossos direitos e privam os que precisam desse tratamento e tantos outro!</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
02/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há complicação medica que a medição apresentou eficácia em grande parte dos que possivelmente poderiam fazer uso do medicamento</p> <p>2ª - Sim, Posso contribuir com a participação em eventos beneficentes</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. é um absurdo vcs negarem a única chance de melhora de vida desses pacientes. e não só para os tipos 1, os tipos 2 e 3 tb merecem a medicação.</p> <p>2ª - Sim, basta olhas os videos, acompanhar o face. a audiencia publica teve relato de médicos experientes. Como vcs podem negar? vcs não acreditam na Anvisa. porque a Anvisa já liberou sabia?</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, impacto orçamnetário dá com os roubos dos politicos corruptos do pais, não com investimento em saude</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não acredito que a CONITEC, foi desfavorável a proposta de incoporação do Nusinersena, para fazer cirurgia de mudança de sexo tem como, agora pra salvar vida de inocentes que tanto esperarão um medicamento vocês dizem que não tem condições, por favor gente nos ajude. as crianças precisam da liberação do medicamento, peço que considerem, e se coloque no lugar dessas crianças, e se fosse filhos, ou seus pais com a patologia, irmãos, por favor consideram e aprovelem o medicamento.</p> <p>2ª - Sim, Peço que analisem os documentos abaixo, pois todos os outros paises estão liberando pelo sistema do governo.</p> <p>3ª - Sim, Temos condições, se tem pra HIV que muitos provacarão a situação, para mudança de sexo, que é opção ninguém morre se não mudar de sexo, agora as crianças com Atrofia Muscular Espinhal tipo I II III precisam dessa liberação, e que Deus veja o esforço de vocês salvarem vidas</p> <p>4ª - Sim, Temos condições, se tem pra HIV que muitos provacarão a situação, para mudança de sexo, que é opção ninguém morre se não mudar de sexo, agora as crianças com Atrofia Muscular Espinhal tipo I II III precisam dessa liberação, e que Deus veja o esforço de vocês salvarem vidas</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. acho que deveriam liberar a medicação para todos os tipos de AME, tipo 1 2 e 3. Todos tem direito a vida, todos tem que ter chance de lutar</p> <p>2ª - Sim, anvisa liberou para todos os tipos de AME, foi comprovada a eficácia. medicos experientes em AME confirmaram sua eficácia, é simplesmente ridículo vcs darem parecer negativo com tantas provas.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, conheçam a historia e vivencia de familias com portadores de AME, e reflitam sobre impacto orçamentário, mães que vivem para cuidar dos filhos em UTI, qual o gasto disso? reflitam</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Vergonha, a Conitec recusar a incorporação do nusinersena, Crianças Inocentes estão morrendo e vocês fazendo isso, que Deus coloque sua mão sobre a vida de vocês, peço que liberem, é triste crianças morrendo, agora depois de anos que aparece o medicamento que salva vidas, vocês começam a dizer que não podem liberar, sabemos que o laboratório tem proposito de preços melhores para um pacote de medicamentos, peço que considerem, amanhã poderá ser o filho de vocês</p> <p>2ª - Sim, Segue Documentos provando que podemos salvar vidas...</p> <p>3ª - Sim, Sim, pois o laboratório de Nusinersena, tem propostas para o medicamento ser liberado pra o SUS a um melhor preço...</p> <p>4ª - Sim, Pagamos impostos, assim como pessoas que estão ganhando para mudar de sexo pelo SUS, e isso não morre, coloque a mão na consciência, a vida dessas crianças, quando olharem pras familias de vocês lemrem que vocês podem mudar a vida delas</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. como negar uma medicação que a Anvisa liberou para todos os tipos de AME? já foi comprovada a eficácia.</p> <p>2ª - Sim, vcs já viram uma página do facebook chamada, Spinraza, a evolução dos pacientes brasileiros?pois então, ótimo lugar pra começar a ver a evolução e os ganhos que esses pacientes estão tendo, e nem são só os tipo I, TODOS os tipos estão tendo ganho. leiam os anexos, só pode ter faltado isso pra vcs lerem pra terem tido coragem de negar um direito. o direito a vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, impacto orçamentário é o que acontece na vida de familais que tem um portador de atrofia muscular espinhal. negociem com a biogem, vcs já obtiveram um proposta deles, negociem mais, eles tb estão desesperados pra vender. sejam inteligentes.</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. anvisa liberou. quem são vcs pra dizerem que não tem eficácia?</p> <p>2ª - Sim, acompanhem os pacientes e vejam o erro que vcs estão cometendo. médicos dizem que tem eficácia, anvisa liberou, bula diz que é pra todos os tipos de Ame. tipos 2 e 3 tb precisam ter direito.</p> <p>3ª - Sim, é um medicamento caro sim, mas quanto vale uma vida, policem os políticos corruptos que já vai sobrar dinheirio suficiente para medicação.</p> <p>4ª - Sim, pacientes saindo de utis, mãe podem voltar a trabalhar e girando a economia, isso não é um impacto orçamentário tão grande, certo? e outra vcs jogam o valor lá em cima, calculem os anos seguintes, que não vão ter as doses de ataque, vcs só divulgam o que querem, pensam que a população é burra. é possível sim, salvar muitas vidas. e agora me digam... negaram pro tipo I, e o tipo II está liberado? e o tipo 3?</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo, que vergonha CONITEC! tanto investimento na política, e o senhores negando um medicamento que esta salvando cientificamente vidas..peço que considerem o medicamento...pra cobrar impostos ninguém pergunta ...e se fosse o filho de vocês..</p> <p>2ª - Sim, Na documentação temos as provas da eficaz do tratamento para paciente AME tipo I II e III,</p> <p>3ª - Sim, Biogen Brasil submete pedido de incorporação do SpinrazaÚltima atualização 29 maio, 2018 1.104 Indique para um amigoA Biogen, empresa de biotecnologia líder no segmento da neurociência, está empenhada em garantir que os pacientes elegíveis possam se beneficiar do Spinraza® (nusinersena), única terapia aprovada para tratar a atrofia muscular espinhal (AME). Para que os pacientes possam ter acesso ao tratamento no SUS, o mais rapidamente possível, a empresa submeteu o dossiê de incorporação do Spinraza® (nusinersena) à Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (Conitec) do Ministério da Saúde, em 25 de maio. “Nosso compromisso com a comunidade brasileira de AME sempre foi o de possibilitar uma via legítima e sustentável de acesso que pudesse beneficiar todos os pacientes elegíveis. Assim, conseguimos em menos de 18 meses os registros sanitário, de preço, e, agora, formalizar o pedido de incorporação do Spinraza® (nusinersena) ao SUS”, explica André Lamas, diretor de Acesso ao Mercado e Relações Corporativas da Biogen Brasil.Segundo a lei 12.401/2011 que regulamenta o processo de avaliação e incorporação de tecnologias no sistema público de saúde, a Conitec tem um prazo de 180 dias para avaliar o dossiê de incorporação – esse prazo pode ser prorrogado por mais 90 dias. Nesse período, está incluído o prazo para abertura de consulta pública, de cerca de 20 dias, e todas as etapas da análise do processo. A decisão final da Conitec é publicada no Diário Oficial da União e deve ser ratificada pelo Secretaria de Ciência e Tecnologia do Ministério da Saúde.Caso a decisão seja pela incorporação, o Decreto nº 7.646/2011, que dispõe sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde no SUS, define novo prazo de 180 dias para que a terapia seja disponibilizada aos pacientes pelo SUS a contar da data da publicação da decisão no Diário Oficial da União. Esse prazo permite aos entes federados (União, Estados e Municípios) se organizarem para desenvolver e implementar um Protocolo Clínico de Diretrizes Terapêuticas para definir o esquema de tratamento e atenção aos pacientes de AME.A atrofia muscular espinhal é uma das mais de 8 mil doenças raras conhecidas no mundo e afeta, aproximadamente, entre 7 a 10 bebês em cada 100 mil nascidos vivos, sendo a maior causa genética de morte de bebês e crianças de até dois anos de idade. No Brasil, não há ainda um estudo epidemiológico que indique o número exato de pessoas afetadas pela doença.Modelo inovadorLevando em consideração os desafios do sistema público de saúde brasileiro, a Biogen desenvolveu um mecanismo inovador de controle do impacto orçamentário para melhor atender os anseios da comunidade de AME em relação ao acesso ao Spinraza® (nusinersena). “Queremos firmar uma parceria com o SUS que vai além de apenas vender o tratamento. Queremos poder contribuir com a elevação do padrão de tratamento da AME no país”, conclui Lamas.Apoio aos pacientes e continuidade nas pesquisasA Biogen desenvolveu o AME+, Programa de Apoio ao Paciente de Atrofia Muscular Espinhal, que disponibiliza atendimento pelo número 0800 200 0550, de segunda à sexta das 8 às 20 horas. O objetivo é do programa é fornecer orientações educacionais sobre a doença e orientações quanto à correta utilização do medicamento, após obtenção da prescrição. A equipe de</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>atendimento do programa AME+ é composta por profissionais habilitados e capacitados disponibilizar informações acuradas e de maneira ética e individualizada, em total conformidade com os regulamentos locais aplicáveis.A companhia continua comprometida com a comunidade de pacientes de atrofia muscular espinhal. Para tanto, investe em estudos de vida real de acompanhamento do Spinraza@ (nusinersena) após o lançamento e em novas pesquisas que possam gerar outras soluções para o tratamento da AME. Em dezembro de 2017, a Biogen firmou novo acordo de parceria com a empresa americana de biotecnologia Ionis, já parceira no desenvolvimento clínico do nusinersena. O acordo visa intensificar pesquisas que promovam o desenvolvimento de novos oligonucleotídeos antisense para o tratamento da doença.Fonte: Redação Panorama Farmacêutico</p>	
		<p>4ª - Sim, E Essa opção gera impacto no Orçamento, e olha que nem morre se não mudar de sexo...&gt; Cirurgias de mudança de sexo são realizadas pelo SUS desde 2008IDENTIDADE DE GÊNEROCirurgias de mudança de sexo são realizadas pelo SUS desde 2008Para obter atendimento os pacientes devem atender requisitos como: maioridade, acompanhamento psicoterápico por pelo menos dois anos, laudo psicológico/psiquiátrico favorável e diagnóstico de transexualidadepublicado: 06/03/2015 17h19, última modificação: 22/12/2017 10h34A+ A A-OUVIRTweetCompartilhar no Google+Compartilhar no LinkedInO processo transexualizador ou cirurgia de mudança de sexo pode ser definido como um conjunto de estratégias assistenciais para transexuais que pretendem realizar modificações corporais do sexo, em função de um sentimento de desacordo entre seu sexo biológico e seu gênero - em atendimento às legislações e pareceres médicos. No Brasil, o Ministério da Saúde oferece atenção às pessoas nesse processo por meio do Sistema Único de Saúde (SUS) desde a publicação da Portaria Nº 457, de agosto de 2008.Até 2014, foram realizados 6.724 procedimentos ambulatoriais e 243 procedimentos cirúrgicos em quatro serviços habilitados no processo transexualizador no SUS.Desde novembro de 2013, o Ministério da Saúde, por meio da Portaria nº 2.803, ampliou o processo transexualizador no SUS, aumentando o número de procedimentos ambulatoriais e hospitalares e incluindo procedimentos para redesignação sexual de mulher para homem. Antes das cirurgias, é realizada uma avaliação e acompanhamento ambulatorial com equipe multiprofissional, com assistência integral no processo transexualizador.Idade mínimaPara ambos os gêneros, a portaria do Ministério da Saúde estabelece que a idade mínima para procedimentos ambulatoriais seja de 18 anos. Esses procedimentos incluem acompanhamento multiprofissional e hormonioterapia. Para procedimentos cirúrgicos, a idade mínima é de 21 anos. Qualquer cidadão que procurar o sistema de saúde público apresentando a queixa de incompatibilidade entre o sexo anatômico e o sentimento de pertencimento ao sexo oposto ao do nascimento tem o direito ao atendimento humanizado, acolhedor e livre de qualquer discriminação.Entenda o processo O termo mudança de sexo refere-se à alteração das características físicas sexuais de uma pessoa, por meio de cirurgia ou de tratamento com hormônios.A expressão também é frequentemente utilizada para descrever a terapia de mudança de sexo, ou seja, os procedimentos médicos que transexuais podem seguir, ou especificamente à cirurgia de mudança de sexo, a qual se refere somente à cirurgia genital a qual pessoas podem submeter-se ou serem submetidas quando crianças.Mudanças à base de medicamentos e cirurgias são frequentemente necessárias para tornar uma mudança de gênero socialmente viável, bem como representar benefícios a autoestima da pessoa atendida.Requisitos e legislaçãoA Advocacia-Geral da União</p>	

(AGU) confirmou, na Justiça, que é imprescindível atender às exigências do Sistema Único de Saúde (SUS) para realização de cirurgia de troca de sexo. Os advogados da União entendem que, por ser um procedimento irreversível, é preciso que o paciente se enquadre em todos os requisitos: maioridade, acompanhamento psicoterápico por pelo menos dois anos, laudo psicológico/psiquiátrico favorável e diagnóstico de transexualidade. Unidades aptas a realizarem o processo no Brasil De acordo com a portaria, os hospitais devem oferecer serviços de Atenção Especializada com médicos das áreas de endocrinologia, ginecologistas, urologistas, obstetras, cirurgias plásticas, psicólogos e psiquiatras, além de enfermeiros e assistentes sociais. Os hospitais habilitados junto ao SUS para a realização do Processo Transexualizador são: Hospital das Clínicas da Universidade Federal de Goiás, Goiânia (GO); Hospital de Clínicas de Porto Alegre, da Universidade Federal do Rio Grande do Sul, em Porto Alegre (RS); Hospital Universitário Pedro Ernesto, da Universidade Estadual do Rio de Janeiro (RJ); Fundação Faculdade de Medicina, da Universidade de São Paulo (USP); e Hospital das Clínicas da Universidade Federal de Pernambuco (UFPE), em Recife (PE). Precisão nos termos científicos Outros termos utilizados para definir especificamente o processo de mudança de sexo são cirurgia de redesignação de gênero, cirurgia de reconstrução sexual, cirurgia de reconstrução genital, cirurgia de confirmação de gênero e, mais recentemente, cirurgia de afirmação de sexo. Os termos comumente usados - "mudança de sexo" ou "operação sexual" - são considerados imprecisos. Os termos genitoplastia de feminilização e genitoplastia de masculinização são mais usados pela área médica em alguns países. Para as mulheres transexuais (MtF — Male to Female, de homem para mulher, em inglês), a cirurgia de redesignação sexual envolve essencialmente a reconstrução dos genitais (embora outros procedimentos possam ocorrer; em muitos casos, algumas mulheres transexuais decidem não se submeter à cirurgia de redesignação genital), enquanto que nos homens transexuais (FtM — Female to Male, de Mulher para Homem, em inglês) ela compreende um conjunto de cirurgias, incluindo remoção dos seios, reconstrução dos genitais e lipoaspiração. A retirada dos seios é usualmente o único procedimento que eles se submetem, além da histerectomia, principalmente porque as técnicas atuais de reconstrução genital para homens transexuais ainda não criam genitais com uma qualidade estética e funcional satisfatória. Muitos optam por fazer uma faloplastia com médicos renomados do exterior. Para mulheres transexuais, a cirurgia de feminilização facial e o aumento de seios são passos do processo de redesignação sexual. Histórico da mudança de sexo no Brasil Até 1997, cirurgias de mudança de sexo eram proibidas no Brasil. Pessoas que desejassem passar pela mesma eram obrigadas a recorrer a clínicas clandestinas ou, mais frequentemente, a médicos no exterior. Em 2008, o governo brasileiro decide finalmente oficializar as cirurgias de redesignação sexual, implantando o "Processo Transexualizador" por meio do Sistema Único de Saúde. Fonte: Portal Brasil com informações do Ministério da Saúde e Agência Brasil [error while rendering plone.belowcontentbody.relateditemsVOLTAR AO TOPO](#) registrado em: SAÚDE CIRURGIA MUDANÇA DE SEXO DIA INTERNACIONAL DA MULHER PROCESSO TRANSEXUALIZADOR MINISTÉRIO DA SAÚDE MULHER Todo o conteúdo deste site está publicado sob a licença creative commons cc by nd 3.0 brasil REDES SOCIAIS

5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. se a anvisa liberou e se na bula diz que é para todos os tipos de Ame, porque vcs dizem que não ajuda? vão suspender tb o remédio pra Aids? quimioterapia? cirurgia de sexo?</p> <p>2ª - Sim, muitos pacientes já estão muitas melhoras, tem crinaça nos eua tipo II andando. como vcs podem dizer que não tem beneficio, em anexo coloca a bula do medicamento, a liberação da anvisa, carta da biogem, vcs só podem ter deixado de ler isso tudo né?</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
02/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Recomendo o fornecimento do medicamento Nusinersen para tratamento de criança portadoras da AME. Esse é o único medicamento capaz de controlar o avanço da doença, sendo portanto, essencial o uso para a patologia.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/09/2018	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
02/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Sou médica pediatra e coordeno o Programa de Assistência Ventilatória Domiciliar do Hospital Infantil Albert Sabin em Fortaleza-Ceará. Assistimos em domicílio pacientes com Amiotrofia Espinhal Tipos I, II e III com visitas domiciliares por equipe multiprofissional, com suporte ventilatório mecânico e cuidados diários por cuidador familiar. Obtemos resultados satisfatórios em relação à qualidade de vida e sobrevivência dos pacientes. Temos atualmente onze pacientes com AME. O custo da assistência está aproximadamente R\$ 6000,00 por mês. Concordo que o custo-efetividade do nusinersena não justifica a incorporação no SUS. Pelo resultado do nosso trabalho posso afirmar que o que faz a diferença na sobrevivência de pacientes com AME é a assistência domiciliar.</p> <p>2ª - Sim, O estudo ENDEAR e o estudo CHERISH excluiu pacientes dependentes de ventilação mecânica. Pacientes com AME apresentam condição crônica complexa e tem indicação de cuidados paliativos. São beneficiados com assistência domiciliar ( anexo capítulo publicado no Livro Tratado de Pediatria)</p> <p>3ª - Sim, No serviço que coordeno, os custos mensais são em torno de R\$ 6000,00 por paciente dependente de ventilação mecânica invasiva no domicílio</p> <p>4ª - Sim, O custo é extremamente elevado para um medicamento que pode modificar a evolução da doença com ganhos motores incipientes</p> <p>5ª - Sim, Sugiro ampliar o acesso do diagnóstico molecular dos pacientes com suspeita clínica de AME tipos I, II, III e IV através da Rede SARAH. Sugiro que seja também seja estudada a incorporação ou não do Nusinersena para AME tipo II e III pois existem vários pacientes inclusive com ações judiciais.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
03/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos tem o direito essa medicação, estudo comprovam a eficácia da medicação para todos os tipos de atrofia muscular espinhal</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Desejo que a medição Spinraza seja inclusa para todos os tipos de Ames, pois todos tem direito a vida.</p>	
03/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. todos os seres humanos tem direito a vida e essa medicação é para todos os tipos de atrofia muscular espinhal.</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
03/09/2018	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>	
03/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. ACHO QUE A JUSTIFICATIVA FINANCEIRA NÃO É MOTIVO DESSE RECOMENDAÇÃO PRELIMINAR, SENDO QUE A 17 ANOS TEMOS SRTN NO BRASIL, E ESSE ALTO CUSTO INICIAL SERIA UM ACUMULO DE ANOS ANTERIORES, SEM CONTAR que só 30% desses pacientes serão responsivos, ASSIM ESSES CUSTOS SERÃO MENORES COM O PASSAR DO TEMPO. Outro motivo seria o fato da fenilcetonúria ser uma doença que não dispõe de nenhum medicamento</p> <p>2ª - Sim, OS PACIENTES QUE ATENDO E QUE USAM O KUVAN, CONSEGUIRAM TRAVES DE MEDIDA JUDICIAL O QUE AUMENTA MAIS AINDA ESSES CUSTOS, POIS SÃO COMPRAS FEITAS A PREÇO DE MERCADO, ALEM DA COMPROVAÇÃO DE MELHORA DOS MESMO. UM DOS CASOS SÃO IRMÃOS GÊMEOS QUE UM DELES FALECEU EM FEVEREIRO, TALVEZ POR TER INICIADO O TRATAMENTO TARDIO, SENDO QUE O OUTRO GEMELAR TEM MELHORADO A CADA DIA SUAS FUNÇÕES COGNITIVAS, MOTORAS E SOCIAIS</p> <p>3ª - Sim, ESSA AVALIAÇÃO ECONÔMICA DEVERIA CONSIDERAR AS JUSTIFICATIVAS QUE JÁ FIZ ACIMA, ALEM DE QUE A DIETA NÃO MELHORA A TOLERÂNCIA A FENILCETONURIA, JÁ A KUVAN SIM, COM O TEMPO ESSA TOLERÂNCIA E MELHORADA E O PACIENTE PODE SER ALIMENTADA COM PROTEÍNA DE ORIGEM NATURAL, ALÉM DISSO POR MAIS QUE O PACIENTE NÃO DEIXE DE TOMAR A FORMULA, MAS A QUANTIDADE MENSAL USAdA TAMBÉM DIMINUIRIA, SENDO QUE A FORMULA TAMBÉM TEM SEU CUSTO ALTO, SERIA UM PONTO QUE PODERIA COMPENSAR O OUTRO, E AINDA TERIA O FATOR PSICLÓGICO, SOCIAL E AFETIVO QUE REPRESENTA A ALIMENTAÇÃO.</p> <p>4ª - Sim, como falado acima esse impacto não está considerando a quantidade de anos que esses pacientes não se beneficiaram dessa medicação, assim esse impacto não seria real. Sendo que no valor licitação sempre se consegue um preço menor, devido a quantidade e próprio processo em si que ja barateia o produto.</p> <p>5ª - Sim, Peço que considerem DIANTE DO EXPOSTO, CONSIDERANDO A VIDA AFETIVA, PSICOLÓGICA, COGNITIVA DESSES PACIENTES, PRINCIPALMENTE PENSANDO NESSAS CRIANÇAS COMO ADULTAS SAUDÁVEIS E PRODUTIVOS NA SOCIEDADE,</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
03/09/2018	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>	
03/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Art. 196 C.F</p> <p>2ª - Sim, pode ser utilizado em quase todos os casos, após avaliação de um médico, visto que não há contra indicações e o resultado é visivelmente eficaz</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
03/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. DISCORDO. POIS EXISTE MELHORAS SIGNIFICATIVAS A OLHO NU, EM TODOS OS PACIENTES QUE RECEBERAM O MEDICAMENTO. O MEDICAMENTO FAZ EFEITO SIM! O MEDICAMENTO APRESENTA MELHORAS SIM!</p> <p>2ª - Sim, É SIMPLES, BASTA ACOMPANHAR CRIANÇAS QUE TIVERAM ACESSO AO MEDICAMENTO DIANTE DOAÇÕES DE CAMPANHAS REALIZADO POR AMIGOS E FAMILIARES, ONDE AS EVIDENCIAS SÃO VISIVEIS DE MELHORAS.</p> <p>3ª - Sim, A VIDA DE UMA PESSOA NÃO PODE SIMPLEMENTE SER DESCARTADATODOS COM AME TEM O DIREITO DE RECEBER O MEDICAMENTO</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim, É SIMPLES, BASTA ACOMPANHAR CRIANÇAS QUE TIVERAM ACESSO AO MEDICAMENTO. NÃO EXISTE CONTRIBUIÇÃO NEM ARTIGO CIENTIFICO MELHOR DO QUE VER A DOENÇA SENDO ABATIDA PELO MEDICAMENTO</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. DISCORDO. EXISTE MELHORAS SIGNIFICATIVAS EM TODOS OS PACIENTES QUE TIVERAM ACESSO AO MEDICAMENTO</p> <p>2ª - Sim, SÓ PRECISA ACOMPANHAR AS CRIANÇAS QUE TIVERAM ACESSO AO MEDICAMENTO. AS EVIDENCIAS SÃO VISIVEIS, AS MELHORAS SAO SIGNIFICANTES E O RESULTADO DE CADA DOSE É MUITO RAPIDO</p> <p>3ª - Sim, A VIDA DE UMA PESSOA NÃO PODE SER DESCARTADATODOS COM AME TEM O DIREITO DE RECEBER O MEDICAMENTO</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim, BASTA ACOMPANHAR AS CRIANÇAS QUE TIVERAM ACESSO AO MEDICAMENTO. NÃO EXISTE CONTIBUIÇÃO NEM ARTIGO CIENTIFICO QUE MOSTRE E PROVE. O MEDICAMENTO ABATENDO ESSA DOENÇA CRUEL</p>	
03/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. A medicação é extremamente cara e deveria ser incorporada apenas para aqueles pacientes com AME tipol, 5q, nas fases bem iniciais da doença, que é onde foi comprovadamente benéfica. Quando foge aos critérios de boa resposta deve ser indeferida. Portanto devem ter meios de diagnóstico precoce para tratar.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, A medicação é extremamente cara para uma doença que não escolhe situação econômica. Trabalhando 13 horas por dia, até hoje por 34 anos, eu não conseguiria tratar um filho ou neto com esta doença. Deveria haver uma política de preço na qual todos fossem condecorados, o paciente, governo e laboratório de pesquisa. Generosidade para com estes pacientes, por favor.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
03/09/2018	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 - Sim, A sociedade já paga impostos altíssimos para poder ter saúde de qualidade. Sem o remédio disponível aos pacientes na rede pública, não há expectativa de vida. Acompanho dois irmãos, o João e o Miguel, e a melhora deles depois do remédio é nítida. Aumentar a qualidade de vida de pacientes com AME é sim DEVER do governo.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
03/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
03/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os caso de pessoas com a AME que acompanho e tomaram o medicamento percebi que ouve uma melhora considerável. Portanto discordo totalmente da preliminar que não foi favorável. 2ª - Sim, Em pesquisas científicas 3ª - Sim, 4ª - Sim, 5ª - Sim,	
03/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. sem esse tratamento nossos guerreiros não terão um futuro digno, ou melhor não terão futuro , pois a doença mata. 2ª - Sim, 3ª - Sim, 4ª - Sim, 5ª - Não	
03/09/2018	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
03/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
03/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. sem esse tratamento as pessoas nao terao um futuro digno, ou seja, nao terao futuro pois a doença mata. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
03/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
03/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acompanhamento de pacientes que utilizam a medicação e tiveram uma melhora surpreendente! 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É visível a melhora dos pacientes que são submetidos ao tratamento, até por quem, como eu, não é técnica na aérea. Além disso, o sofrimento das crianças com a artofria e dos pais é algo bastante cruel. O medicamento é caríssimo e sem ajuda do governo, muitos não conseguem ter acesso.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
03/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um direito a vida</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acompanho algumas crianças e é visível a evolução delas ; e acho de extrema importância a liberação do 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
04/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Deveria se atendida</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Acredito que se houve uma melhora, mesmo que pequena, é uma esperança para ao longo do tempo atingir melhores resultados. É uma vida que vale a pena salvar</p> <p>2ª - Sim, Se há uma evidencia clínica, precisa-se de mais tempo para chegar a um resultado. Algo precisa ser feito para atingir o objetivo. Se há uma evidência é por esse caminho que se deve seguir para encontrar a solução</p> <p>3ª - Sim, Pesquisa para saúde não tem preço.</p> <p>4ª - Sim, Destinando verba para pesquisa e tecnologia, economizamos no futuro</p> <p>5ª - Não</p>	
04/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As crianças portadoras de AME merecem ter mais qualidade de vida e a medição ajudaria e muito a isso acontecer.</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
04/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Temos visto, pelas redes sociais, crianças que estão fazendo o uso do medicamento e suas evoluções. Pode ser que não fiquem 100%, mas temos a garantia de que a qualidade de vida deles melhora muito. Muitos conseguem respirar sem ajuda de aparelho, muitas voltam a andar sozinhas. e com isso, podem usufruir de uma vida mais tranquila e confortável. Espero que vocês possam reavaliar essa liberação, pois muitas crianças dependem dessa medicação para viver, e enquanto isso nao acontece, muitas podem perder suas vidas. Sobre o alto custo, vamos ser bem sinceros, o tanto que pagamos de impostos, se tiver uma administração séria, daria pra pagar o tratamento pra muitas crianças.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. O alto custo para uma baixa melhora em termos evolutivos (embora para a família o mínimo seja muito) e especialmente para uma doença em que os estudos até o momento não demonstram uma melhora no desfecho final (entende-se como a doença segue evoluindo embora em ritmo mais lento, com progressão para necessidade de ventilação assistida da mesma forma). Trata-se de uma doença rara mas não tão rara, com incidência de 1 para cada 8.000 a 10.000 nascidos vivos o que representaria em 2016 (a grosso modo) 358 crianças com a doença (que nasceriam naquele ano). No ano seguinte, teria-se um gasto de 358 novas crianças e a manutenção de outras 358 e assim se mantém em caráter crescente. Não só há o custo da medicação em si (que novamente, não é curativa e não muda o desfecho final) como todo o custo envolvido no procedimento para a aplicação intratecal da medicação. Com o advento da PEC 241 torna esse problema ainda maior. O valor investido em um indivíduo, pode gerar saúde preventiva para um grupo muito maior de pessoas. Deve-se levar em conta que o tratamento é vitalício.</p> <p>2ª - Sim, Como descrito acima: Prevalência de 1:8.000-10.000 nascidos vivos. Dados do IBGE para o Brasil de 2016 2.857.800 nascidos vivos o que podem representar 358 crianças. Com o preço da medicação pela metade do que estaria custando agora com base na tabela do laboratório custando R\$420.000,00, teríamos o custo de R\$209.000,00 por aplicação (levando em conta somente custos da medicação - deve ser levado em conta agulhas, seringas, luvas,...) teria um gasto aos cofres públicos de R\$ 448.932.000,00 reais em um ano. No ano seguinte será este mesmo valor acrescido de 50% e assim indefinitivamente. É inviável mesmo para um sistema de saúde de um país de primeiro mundo para algo que não melhora o desfecho final.</p> <p>3ª - Sim, Descrita acima. Documentos em anexo.</p> <p>4ª - Sim, Descrita acima. Documentos em anexo.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é eficaz sim, existe comprovação científica da sua eficácia, não só para AME I e sim para todos os tipos .Essa medicação é a unica forma de salvar a vidas das pessoas acometidas pela doença.Peço que seja analisado novamente está recomendação e que seja incorporado ao SUS , pois se isso não acontecer, a sentença de morte de centenas de pessoas estarão sendo assinada por vocês, que fazem parte desse governo corrupto que envergonha o cidadão de ser brasileiro.</p> <p>2ª - Sim, Existe sim evidencias clinicas que o medicamento é eficaz e que o uso é recomendado para TODOS os tipo de AME, não só para AME I.A qualidade de vida de pacientes que tomam a medicação é outra e os pacientes sim, ganham força muscular, respiratória entre outros benefícios. Esse medicação foi aprovada por países rigorosos com relação a medicação, e também pelo órgão brasileiro ANVISA.</p> <p>3ª - Sim, Realmente é uma medicação de alto custo, onde as famílias brasileiras não teriam condições de custear o tratamento, mais aqui no Brasil existe um órgão chamado SUS, que tem o dever de fornecer essa medicação em questão aos portadores, afinal pagamos impostos, contribuimos com taxas e mais taxas para que.Existe recurso destinado a saúde e esses recursos devem ser usados para compra de medicação e não para desvios e mais desvios como vemos diariamente no noticiário.</p> <p>4ª - Sim, A justificativa de que a aprovação dessa medicação causará um impacto orçamentário é mera desculpa para não incorporá o medicamento ao SUS.È um direito constitucional, é direito a VIDA.O que causa impacto orçamentário é a corrupção, salários altíssimos injustificáveis e falta de humanidade nas pessoas que governa ou assessoram esse país vergonhoso, chamado BRAsil.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. A recomendação, taxativamente contrária à incorporação de nusinersena ao SUS, deve permanecer como está, ressaltando que os desfechos clínicos demonstrados nos estudos são, além de modestos, passíveis de alto risco de viés. Além disso, por mais que não haja estabelecido no Brasil um limiar de custo-efetividade para subsidiar as decisões, uma razão de custo-efetividade incremental beirando a R\$ 300 mil por MÊS de vida (podendo chegar a R\$ 3,5 bilhões por ano de vida) demonstra a completa e irrestrita INEFICIÊNCIA deste medicamento no tratamento de pacientes com AME 5q tipo I, a ameaça à sustentabilidade do SUS enquanto um sistema UNIVERSAL e o descontrole regulatório do mercado de medicamentos - mundial e especialmente no Brasil.</p> <p>2ª - Sim, Boa revisão das evidências, com bom rigor metodológico. Seria interessante descrever melhor no texto (2.2 Tratamento recomendado ou 4 Análise das Evidências) como funcionam e o que é considerado nos instrumentos utilizados para avaliar pacientes com AME. Ou, pelo menos, referenciar suas descrições feitas como Apêndices. Além disso, alguns apêndices estão no idioma inglês e deveriam ser traduzidos para o português. Na seção 4.4 Qualidade das evidências, é importante que sejam discutidos criticamente os riscos de viés dos estudos e como eles afetam os resultados clínicos informados.</p> <p>3ª - Sim, A razão de custo-efetividade incremental de nusinersena em relação ao controle, segundo o texto, é de R\$ 283.222,37 por mês de vida ganho. Contudo, no resumo a RCEI está com o valor do Custo Incremental (R\$ 259.701,08) de nusinersena em relação ao controle. Necessário corrigir. Além disso, e mais importante, a avaliação econômica foi feita considerando um preço cinco a seis vezes MENOR para o medicamento nusinersena e este cenário foi o mais destacado no texto e no resumo executivo. Contudo, o cenário que utiliza o preço REAL do medicamento foi citado em um pequeno parágrafo. Portanto, é necessário dar destaque idêntico a esse cenário com o preço REAL do medicamento, de forma a informar à sociedade brasileira a REAL razão de custo-efetividade desse medicamento, que é de R\$ 6,7 bilhões por MÊS de vida ganho, o que pode chegar aos impensáveis R\$ 80 bilhões por ano de vida ganho. É necessário acrescentar no resumo, no texto (inclusive com a tabela de custo-efetividade) e nas considerações finais as informações referentes ao preço REAL desse medicamento.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Os três últimos parágrafos das Considerações Finais deveriam ser retirados do relatório, pois fazem considerações a uma potencial incorporação do medicamento, porém a recomendação inicial da CONITEC é desfavorável à incorporação. Tais considerações somente terão sentido no relatório se a CONITEC alterar sua recomendação.</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo porque sabemos da eficiência e eficácia deste medicamento único por enquanto, o qual é a porção da vida para todos portadores de ame. Medicamento aprovados em vários países e com tratamento gratuito. Constatado através das mídias a evolução e felicidade dos portadores que estão fazendo o tratamento. Então a vida é um direito e não tem preço.</p> <p>2ª - Sim, As evidências clínicas desse medicamento está clara em muitos países incluindo toda comunidade europeia. Além das análises clínicas positivas com resultados além do normal, como ocorrido aqui no Brasil, EUA, todos os países da comunidade europeia, Japão entre outros.</p> <p>3ª - Sim, Como remédio único a tendência é ser de valor altíssimo. Mas com a incorporação o governo com seus técnicos responsáveis sabem muito bem como lidar com a situação de negociação de diminuir o preço.</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>
04/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Visível melhora clínica com uso da medicação</p> <p>3ª - Sim, Melhora clínica será menos dispendiosa do que internação, uso de respiradores e etc</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. se a Anvisa liberou para todos os tipos de AME, acho que vcs devem liberar tb...</p> <p>2ª - Sim, bulas do remédio, facebook Spinraza a evolução dos pacientes brasileiros, basta olhar, isto já são evidências clínicas.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, quanto vale uma vida? vão cancelar todas as terapias do SUS então? como podem escolher quem tem direito a vida e a morte, baseados em valor apenas?</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. ABSURDO, TODOS OS CIDADÃOS TEM O DIREITO A SAÚDE, ESTA EM LEI. PAGAMOS TODOS OS IMPOSTOS QUE NÓS É COBRADO E QUANDO SE PRECISA NÃO TEMOS DIREITOS ??? ESPERAMOS QUE SEJA RESOLVIDO O MAIA RÁPIDO POSSÍVEL , POIS TEMOS VIDAS ENVOLVIDAS NESSE ASSUNTO TÃO IMPORTANTE PRINCIPALMENTE CRIANÇAS !</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, JÁ PAGAMOS TODOS OS IMPOSTOS QUE NOS SÃO COBRADOS, QUEREMOS SÓ NOSSOS DIREITOS</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa medicação é uma chance de tratamento para inúmeros pacientes, principalmente os do tipo I com melhora considerável da qualidade de vida e impedimento da progressão da doença.</p> <p>2ª - Sim, A partir do início do tratamento de um casal de irmãos, poderei estar analisando as evidências clínicas e publicar a eficácia do tratamento.</p> <p>3ª - Sim, O valor do tratamento inicialmente é caro mas a partir do segundo ano de tratamento será bastante reduzido.</p> <p>4ª - Sim, O impacto orçamentário individual de cada família será incalculável.</p> <p>5ª - Não</p>	
04/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Muitas crianças com AME, não possuem dinheiro para tratamento e muitas vezes recorrem a fazer campanhas nas redes sociais para serem ajudados, mas muitas vezes não conseguem o dinheiro ou as crianças acabam não aguentando.... Então discordo totalmente da recomendação preliminar. Eles tem q disponibilizar sim o Spinraza.</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
04/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O custo do medicamento é altíssimo para os as pessoas com a doença possam pagar, mesmo vendendo propriedades muitos não conseguem pagar se quer uma dose do medicamento (lembrando que uma única dose da medicação não ajuda em nada, para efeito de melhora precisa ser tomada as doses descritas no tratamentos, doses de ataque e manutenção). Temos gastos com políticos diariamente, gastos que podem ser cortados para bancar a medicação dos enfermos. A medicação salva vidas, da melhor condição de vida!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, corte de gastos com políticos do brasil todo para bancar o medicamento.</p> <p>4ª - Sim, Governo não deve bancar gastos particulares de politico, corta todos os benefícios de politico, pois já recebem um salário considerável (altíssimo) em vista da população, então não tem porque o governo arcar com gastos desnecessários, ex: auxilio moradia, combustível entre outros, politico deve receber apenas o salário mensal e nada mais, cortando gastos sobra orçamento para comprar o medicamento.</p> <p>5ª - Não</p>	
05/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Se o medicamento traz benefícios e qualidade de vida para os portadores da AME, o mesmo deve ser distribuído pelo SUS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/09/2018	Outra	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Manifestação DPU e documentos anexos.</p> <p>2ª - Sim, Manifestação DPU e documentos anexos.</p> <p>3ª - Sim, Manifestação DPU e documentos anexos.</p> <p>4ª - Sim, Manifestação DPU e documentos anexos.</p> <p>5ª - Sim, Manifestação DPU e documentos anexos.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. carta internacional de direitos humanos, respeito e dignidade.como podem negar algo que é a única chance de muitas pessoas, muitas crianças? o medicamento tem muitos benefícios.</p> <p>2ª - Sim, vcs já leram a bula? já leram as notas taquigráficas ? já acompanharam alguma criança que já recebeu a medicação? acredito que não, pois senão não teriam sido contra. e os outros tipos de AME. queremos para todos os tipos de AME</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, como vcs podem negar um medicamento que dá a chance de melhora, pensando no valor? vao cortar quimio? remedios para AIDS tb? tb não são a cura...</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
05/09/2018	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>	
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. discordo 1000%. como negar o direito a vida? a uma melhor qualidade de vida sabendo-se de todas as melhoras que o medicamento está fazendo?</p> <p>2ª - Sim, todas em anexo. Anvisa liberou para TODOS OS TIPOS DE AME. os AMES QUEREM VIVER...</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, o cálculo que vcs apresentam ao "mundo" não é real, o primeiro ano da medicação tem as doses de ataque e os demais anos serão num valor menor, outra coisa vcs tem a chance de negociar com a Blogem, sem contar que vão economizar com internamentos de UTI, home-car etc.</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. meu bisneto tem essa doença e a gente acompanha os vídeos de crianças melhorando muito com esse remédio. acho que TODOS os tipos devem receber</p> <p>2ª - Sim, os anexos comprovam a eficácia do remedio</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
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo porque esse remédio tem ajudado muitas crianças. DEVE SER LIBERADO PARA TODOS OS TIPOS DE AME</p> <p>2ª - Sim, leiam os anexos que afirmam que todos os tipos tem melhoras. e a anvisa liberou para todos os tipos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. se o remédio está fazendo efeito pra crianças e a gente pode ver pelo facebook os vídeos, como vcs negam essa esperança para as crianças?</p> <p>2ª - Sim, anvisa liberou para TODOS os tipos de AME, todos merecem viver</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. TODOS OS TIPOS DE AME DEVEM RECEBER A MEDICAÇÃO</p> <p>2ª - Sim, BASTA OLHAR os vídeos no facebok das crianças e jovens e ate adultos que já receberam a medicação e estão tendo melhoras, anvisa liberou PARA TODOS OS TIPOS DE AME. BULA DIZ PRAR TODOS OS TIPOS DE AME</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. ANVISA LIBEROU E APROVOU O REMÉDIO PARA TODOS OS TIPOS DE AME</p> <p>2ª - Sim, tanto na bula, quanto nos vídeos que vemos no face, tanto pela liberação foi comprovado que o remédio causa muito melhora sim, e em todos os tipos de AME.</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
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. DEVEM LIBERAR PARA TODOS OS TIPOS DE AME</p> <p>2ª - Sim, BULA spinraza para todos os tipos anvisa liberou para todos os tipos de ame audiência pública com senador romario tem comprovaçãod e varios medicos, familias e até uma portadore provando a eficacia do remedio para todos os tipos ame</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
05/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Diante dos resultados positivos de nusinersena no AME, nao vejo motivos pelo qual o orgao seja desfavorável à esta recomendação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. devem liberar para todos os tipos de Ame</p> <p>2ª - Sim, bula para todos os tipos liberado pela anvisa para todos os tipos médicos na audiência pública afirmando que é pra todos os tipos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
05/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acompanho o paciente João Gilbertto desde maio 2017 na clínica onde trabalho, com a medicação a evolução do tratamento foi surpreendente não tinha controle de tronco, não conseguia falar, após a medicação o mesmo hoje consegue manipular sua cadeira de rodas, sua fala já está melhor.</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
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. deve ser liberado para todos os tipos de Ame, todos tem direito a vida</p> <p>2ª - Sim, basta ler os anexos. ridiculo essa negação do governo</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. discordo por negar para tipo 1 e pra todos o stipos de AME...devem liberar pra todos</p> <p>2ª - Sim, anvisa liberou para todos os tipos e disse que é eficaz, como vcs podem negar?</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. discordo 1000%, anvisa liberou o medicamento para todos os tipos de AME, bula diz que todos os tipos de ame tem melhora,</p> <p>2ª - Sim, vide bula, notas, liberação anvisa</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, vcs tem poder de negociação, falta só a boa vontade.</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. gostaria que vcs revisassem essa decisão, pois tudo aponta uma melhora para todos os tipos de AME. os AMES querem viver</p> <p>2ª - Sim, alem dos anexos deste. quero citar para que vcs acompanhem a evolução dos brasileiros e dos pacientes de outros países que já estão usando essa medicação, e tendo muitas melhoras</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, o governo tem não so condições de incorporar o Nusinersena no SUS como tem a OBRIGAÇÃO DE FAZÊ-LO</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. tem que liberar para TODOS os tipos de ame</p> <p>2ª - Sim, acompanhem pacianetes em uso, leiam os anexos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
05/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. ACREDITO QUE AS FORMAS COM PERDAS MOTORAS MODERADAS SEM COMPROMETER A PARTE RESPIRATÓRIA POSSAM SE BENEFICIAR DA MEDICAÇÃO MELHORANDO O PROGNÓSTICO DA DOENÇA</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. como pode não haver ganhos suficientes , se a anvisa liberou para todos s tipos de AME?reavaliem essa decisão com urgencia para todos os tipos de Ame</p> <p>2ª - Sim, leiam os anexos e reflitam</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. que vergonha Conitec, tanto investimento o governo faz em outros coisas, pense se fosse seus filhos</p> <p>2ª - Sim, evidências clínicas segue anexo</p> <p>3ª - Sim, Acredito que temos muitas condições economicas pois se temos para fazer cirurgia de mudança de sexo, temos para salvar vidas</p> <p>4ª - Sim, Impacto orçamentário, é mais barato o governo aceitar a proposta da Biogen do que financiar custo de cada paciente</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Não 4ª - Sim, 5ª - Sim,	
06/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Tem vida precisando desta medicação para sobreviver. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
06/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
06/09/2018	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
06/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Apesar do alto custo da medicação, ela tem tido sucesso em retardar a progressão da doença, com redução do uso de respiradores e todo o apoio necessário intra hospitalar em sistema de UTI ou em home care.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Avaliar custo x benefício em relação ao que se gasta com essas crianças em progressão da doença - home care, leito hospitalar, fisioterapia motoraa e respiratória, taqueostomia...</p> <p>5ª - Não</p>	
06/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Apesar do alto custo, não há como medir valor de uma vida</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
06/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Porque uma vida não tem valor estimado, tem que tentar ser salva a qualquer custo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
06/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O bem maior que existe é a 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
06/09/2018	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>	
06/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes com atrofia muscular espinhal( AME) 5q tipo 1 necessitam dessa medicação para sobreviver e não serem dependentes de ventilação mecânica</p> <p>2ª - Sim, Estudos comprovam que a medicação pode sim salvar a vida dessas crianças</p> <p>3ª - Sim, O custo da medicação é muito alta e as famílias não têm condições de assumir esse valor</p> <p>4ª - Sim, O governo tem condições de cumprir com essa medicação. É um direito do cidadão</p> <p>5ª - Não</p>	
06/09/2018	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>	
06/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eu sou a favor da implementação do medicamento no SUS, o mesmo irá dar melhor qualidade de vida para crianças/bebês que necessitam, ainda que o tempo de vida delas seja curto.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Em relação a avaliação econômica, apesar de o medicamento ser caro para quem não possui condições de comprar. O governo poderia olhar com mais amor a causa. Tenho plena convicção de que o dinheiro será investido pelo bem maior.</p> <p>4ª - Sim, Acredito que não haverá nenhum impacto orçamentário, pois o governo tem capacidades para atender a causar e ainda administrar o país.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
06/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
06/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Deve ser favorável pois a vida não tem preço. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
06/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
06/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, Estamos falando de algo que devolve a qualidade de vida e a felicidade as famílias que sofrem vítimas da AME.	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>Descrição da contribuição</b>	<b>Referência</b>
06/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
06/09/2018	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
06/09/2018	Empresa	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Atualmente, o Diabetes Melitus Tipo 2 (DM2) não deve ser visto apenas como uma doença do metabolismo da glicose, mas sim como uma condição complexa na qual diversos fatores medeiam o risco cardiovascular. Pacientes com DM2 possuem um risco aumentado de duas a quatro vezes para o desenvolvimento de doenças cardiovasculares (CV) em comparação aqueles sem diabetes .Historicamente, a terapia de redução da glicose no diabetes se mostrou eficaz na redução de complicações microvasculares e os estudos intervencionistas focados na redução intensiva da glicose no DM2 tiveram apenas um pequeno ou nenhum efeito na redução do risco CV . Pela primeira vez, duas classes de medicações inicialmente desenvolvidas para redução da glicose, os agonistas do receptor de GLP-1 e inibidores do co-transportador sódio-glicose 2 (SGLT2), mostraram melhora significativa dos desfechos CV1. Os compostos com capacidade glicosúrica, os inibidores do SGLT2, são conhecidos há muito tempo, desde a descoberta da molécula florizina, uma substância natural que inibe de forma não seletiva os receptores SGLT1 e SGLT2 e que contém na sua estrutura um fenol glicosídeo . Investigadores iniciaram pesquisas para adição de substituintes para o núcleo glicosídeo, com o objetivo de melhorar a potência, a seletividade e a biodisponibilidade oral destas substâncias . Foi então descoberta a pioneira dapagliflozina, metabolicamente estável, representando a nova classe de inibidores do SGLT2, e tornou-se um modelo estrutural para o desenvolvimento de outros inibidores do SGLT2. As modificações realizadas na molécula da dapagliflozina para surgimento dos novos inibidores do SGLT2 foram apenas mudanças estruturais patenteáveis, em vez de um desenvolvimento de estruturas biologicamente diferentes, com capacidade de proporcionar melhor eficácia e segurança . Como classe, os inibidores de SGLT2 – empagliflozina, dapagliflozina e canagliflozina – são atualmente aprovados pelo FDA, EMA e ANVISA, e compartilham o mesmo mecanismo de ação. Estas medicações possuem a capacidade de impedir a reabsorção renal de glicose e aumentar sua excreção urinária, reduzindo a concentração de glicose sérica. Também possuem ação em alguns fatores de risco CV, pois além da ação hipoglicemiante, possuem os benefícios adicionais de redução da pressão arterial e perda de peso com diminuição da adiposidade visceral. Estudos mostram que não há diferença significativa observada na eficácia da ação hipoglicemiante, perda de peso corporal e redução da pressão arterial individualmente entre os inibidores do SGLT2. Resultados de meta-análise de rede mostraram uma média de redução de HbA1c, comparada ao placebo, de -0,9% para canagliflozina 300 mg; -0,8% para canagliflozina 100 mg; -0,7% para empagliflozina 25 mg; -0,7% para dapagliflozina 10 mg. As doses utilizadas na prática clínica dos inibidores do SGLT2 também tiveram efeitos semelhantes na redução do peso corporal e da pressão arterial . Adicionalmente, os inibidores do SGLT-2 têm constantemente evidenciado benefícios CV em todo o espectro do risco CV , , . Os resultados dos estudos EMPA-REG OUTCOME e Programa CANVAS são predominantemente relacionados a pacientes com doença cardiovascular estabelecida. Ambos os estudos demonstraram uma redução nos eventos cardiovasculares adversos maiores e, em particular, uma redução maior no desfecho de hospitalização por insuficiência cardíaca (IC)7,8. Estudos de revisão sistemática , avaliaram estudos clínicos randomizados que comparam os três inibidores do SGLT2 (canagliflozina, dapagliflozina e empagliflozina) ao placebo em relação aos desfechos de morte por todas as causas e eventos cardiovasculares maiores que confirmam a evidência de benefícios CV da classe, no entanto pondera que os</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

resultados de eficácia foram dirigidos pelo estudo EMPA-REG, e nenhuma diferença significativa entre a empagliflozina e placebo permaneceu após a exclusão desse estudo, que compreendeu mais do que 84% dos eventos<sup>10</sup>. Além disso, o resultado dos estudos EMPA-REG e CANVAS se aplicam a uma pequena parcela da população com DM2. Uma análise ponderada delineou uma população de 23.941.512 adultos norte-americanos com DM2, do banco de dados NHANES, a partir dos principais critérios de inclusão e informações que indicam um diagnóstico de DM2. Desses, 4,1% preencheram critérios de inclusão para o estudo EMPA-REG, 8,8% para o estudo CANVAS e 39,8% para o DECLARE-TIMI 58, indicando a importância de considerar os critérios de elegibilidade ao considerar a generalização e a aplicabilidade desses estudos em populações do mundo real. Os estudos CVD-REAL e CVD-Real 2 foram estudos observacionais, de vida real, que avaliaram o risco de hospitalização por IC e morte por todas as causas em pacientes com DM2 iniciando tratamento com inibidores do SGLT2 ou outros medicamentos hipoglicemiantes<sup>9</sup>. Em ambos os estudos, o início do tratamento com inibidores do SGLT2 comparado com outros hipoglicemiantes orais estava associado a um menor risco de hospitalização por IC, morte por todas as causas e desfecho composto de hospitalização por IC e morte por todas as causas. O estudo CVD-Real 2 avaliou o risco de infarto do miocárdio (IM) e acidente vascular cerebral (AVC) em paciente com DM2, e mostrou que o início de tratamento com inibidor do SGLT2 comparado a outros hipoglicemiantes também estava associado a um menor risco de IM e AVC nestes pacientes. Portanto, esses estudos sugerem que em um cenário de vida real, em que a maioria dos pacientes não tem doença CV estabelecida, o uso de inibidores do SGLT2 pode conferir benefício CV<sup>9,13</sup>. O estudo DECLARE-TIMI 85 é um estudo em andamento, dirigido pelo número de eventos, multinacional, randomizado, placebo-controlado, de fase IIIb que avalia a eficácia da dapagliflozina em adição ao tratamento padrão em desfechos CV, em uma população ampla de pacientes com D2M. É o maior estudo de desfecho CV com inibidor do SGLT2, . 59,4% da população do estudo tem múltiplos fatores de risco CV, sem doença CV estabelecida, enquanto 40,6% da população do estudo possui doença CV estabelecida<sup>14</sup>. Adicionalmente, o estudo DECLARE-TIMI 58 é o primeiro estudo de desfecho CV com dois desfechos primários, sendo um deles o desfecho composto de morte CV e/ou hospitalização por IC. A data de conclusão do estudo DECLARE-TIMI 58 foi em julho de 2018, com abertura de seus resultados prevista para novembro deste mesmo ano. As três medicações hoje aprovadas no Brasil, que constituem a classe dos inibidores do SGLT2, apresentam evidências científicas que comprovam eficácia e benefícios adicionais muito semelhantes, além de estudos de desfecho CV intervencionais e de vida que real que demonstram redução do risco CV. Entendemos que a decisão do tratamento deve ser feita de forma individualizada, de acordo com comorbidades, preferências do pacientes, custo, entre outros fatores. Sugerimos, portanto, que a incorporação seja da classe de inibidores do SGLT2, transferindo a opção de escolha individual para o consumidor.(Referências em anexo no campo outras contribuições e artigos originais em anexo neste campo)

3ª - Não

4ª - Sim, Além dos argumentos clínicos previamente apresentados e do fato que estão atualmente aprovados 3 medicamentos inibidores de SGLT2 no Brasil, acrescenta-se que a incorporação de mais de um medicamento para a mesma indicação estimula a livre concorrência de mercado e a redução consequente

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>dos preços praticados. Entendemos que a concorrência é de extrema importância para garantir o equilíbrio e a dinâmica no mercado, transferindo-se a decisão à relação médico-paciente. Portanto, a AstraZeneca enquanto empresa comprometida com o acesso dos tratamentos à população, se coloca à disposição para discutir o tema em mais detalhes.</p> <p>5ª - Sim, A Diretriz Brasileira de Prevenção de Doenças Cardiovasculares em Pacientes com Diabetes da SBD, SBC e SBEM enfatizam que em pacientes com diabetes tipo 2 e muito alto risco cardiovascular (presença de doença aterosclerótica clínica, com antecedente de eventos cardiovasculares), a adição de um inibidor de SGLT-2 com benefício cardiovascular comprovado pode ser útil para reduzir o risco cardiovascular, pois diminui a incidência de eventos cardiovasculares e hospitalização por insuficiência cardíaca nessa população. A diretriz ressalta que os estudos EMPA-REG e CANVAS demonstraram significativa redução do desfecho secundário composto de internação por insuficiência cardíaca e morte cardiovascular.<sup>17</sup> Concomitantemente à publicação desta diretriz, tivemos apresentados e publicados os resultados do estudo CVD-REAL9, que confirma, em uma população da vida real, os resultados de redução de morte por todas as causas e hospitalização por insuficiência cardíaca nos pacientes com DM2 em uso de inibidores de SGLT2, em comparação à outros antidiabéticos. Tais resultados sugerem um benefício cardiovascular da classe dos inibidores do SGLT-2 e corroboram a indicação da classe para pacientes com DM2 com alto risco cardiovascular. Diante das recomendações das sociedades médicas e respaldo das evidências científicas, acreditamos que a incorporação de mais de um medicamento da classe garante que a decisão do tratamento seja transferida para a relação médico-paciente, proporcionando a livre concorrência de mercado e acesso aos diversos tratamentos.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
06/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicamento caro onde muitas familias nao tem condicoes, o governo comprando fica mais barato e assim nossas criancas podem ter qualidade de vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A constituição diz que o estado deve fornecer, educação e saúde pública, como pode esse estado negar o direito a uma medicação só por esta ser de um valor muito alta, todos tem direito a vida, negando esse remédio, estão negando esse direito as crianças com essa 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
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acredito que todos temos o direito a vida , esse medicamento devolve a vida , e muitas crianças estão morrendo sem ter o direito de lutar , e o medicamento muito caro . E se o SUS pode ,porque não dar ele de graças. Conheço de Pedro história de crianças que têm esse doença e acompanho tbm sua melhora com as 4 primeiras doses... Esse medicamento deve ser de graças.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como fisioterapeuta de paciente com AME, observando alguns pacientes já beneficiados pelo tratamento com nusinersena, acredito que a incorporação do mesmo no tratamento de AME tipo I melhora a qualidade de vida dos pacientes, deixando-os mais independentes e produtivos. Portanto, acredito que seja um ótimo investimento para a sociedade com provável retorno desses pacientes que se tornarão adultos produtivos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Arquivos anexos</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes que já fazem uso tem mostrado melhoras significativas. As crianças que não usam estão morrendo dia a pós dia.</p> <p>2ª - Sim, Melhoras na função motora</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Saúde é um direito básico de todo e qualquer pessoa. Definitivamente CRIANÇAS com AME, ter o direito de viver negado pelo governo é inadmissível. Crianças morrem por conta dessa doença que não atinge só os músculos. Se dão tratamento estão dando vida! POR FAVOR, PENSEM EM TODAS AS CRIANÇAS QUE SOFREM SEM O TRATAMENTO ADEQUADO, PENSEM BEM, SAÚDE É UM DIREITO DE TODOS!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. que vergonha Conitec, é liberado cirurgia de troca de sexo mas nao é liberado esse medicamento que foi liberado pelo anvisa, para salvar crianças</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. anvisa e bula do medicamento dizem que o medicamento teve eficácia para todos os tipos de AME.Liberem para todos os tipos de AME</p> <p>2ª - Sim, bula spinraza. liberação da Anvisa não são suficientes para convencerem vcs? que tal a vida real? vejam os videos de crianças que já estão usando a medicação.</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
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Conitec, Peço que libere, é triste ver as crianças com condições irem perdendo as forças, nós podemos fazer isso ser mais fácil, por favor nos ajude, peço gentilmente que se coloquem no lugar dessas crianças que a esperança delas está na confiança que Deus lhes deu de cuidar de nós, por favor libere nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) ame i II e III,</p> <p>2ª - Sim, liberação da Anvisa e anexo comprovantes</p> <p>3ª - Sim, Foi liberado mudança de sexo pelo SUS, sendo que ninguém morre se não trocar de sexo, e AME são crianças lutando por este medicamento.</p> <p>4ª - Sim, sabemos que existe recurso e que o laboratório ofereceu preço de proposta melhor do que a compra unitária aos SUS, muito mais barato que o governo pagar individualmente, peço que considerem</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. LIBEREM PARA TODOS OS TIPOS DE AME JÁ</p> <p>2ª - Sim, TODOS QUE TOMARAM A MEDICAÇÃO ESTÃO TENDO MELHORAS, ANVISA LIBEROU PARA TODOS OS TIPOS DE ame... sPINRAZA NO sus PARA TODOS OS TIPOS DE ame</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Peço gentilmente a CONITEC, que liberem o medicamento para o SUS, tenho meu amigo Gabriel, ele é inteligente e nos ajuda muito na escola não queria que ele morresse, ele é meu melhor amigo nos ajude...liberem o nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME)</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
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, pena não aceitar vídeos aqui. não precisaria mais evidências clínicas q do que ver os próprios pacientes melhorando. videos de antes e depois.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por favor Conitec, liberem o medicamento para todas as crianças, eles temdireito assim a vida, a vida deles estasim em suas mãos, peço que incorporem o nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) Tipo I II III.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. liberem para todos o s tipos de Ame</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. absurdo negarem e nem cogitarem a resposta para os outros tipos de AME</p> <p>2ª - Sim, anexos</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
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. como negar e dizer que não tem eficácia se a anvisa liberou? se tem crianças melhorando?</p> <p>2ª - Sim, basta ler os anexos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho 65 anos, a tempo vejo crianças e jovens morrer por falta de um medicamento, a AME mata, peço que seus filho e filhos dos seus filhos nunca tenham AME, pense na morte deles?. então peço por favor por todas as familias, não é HIV que pode ser contraído por descuido, não é mudança de sexo, é vida de criança que assim como todo medicamento para a vida, deve ser liberado, somos livre a vida, não deixe que isso tenho efeito divino nas suas vidas liberem o nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) Tipo I II III.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim, a anos pagamos, e quando pedimos para ter uma medicação pelo SUS, para as crianças viverem, não tem dinheiro, mas pra mudança de sexo, ate no cadastro aqui a preocupação com mudnaça de genero...po favor, pense nisso</p> <p>4ª - Sim, não vai ter impacto no orcamento, pois bem sabemos que a Biogem anunciou desconto para o SUS, e os senhores bem sabem que será bem mais caro para comprar individualmente o medicamento.</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. vcs devem liberar o remédio para todos os tipos de AME</p> <p>2ª - Sim, liberação da anvisa já devia ser o sufiente,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. acho que deve ser liberado pelo sus para todos os tipos de AME</p> <p>2ª - Sim, VIDE ANEXOS</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
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Peço para CONITEC, que liberem nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) , pois eles merecem assim como nos viver, eles são lindos abençoados, e não podemos deixar eles morrer, acredito que tem pessoas que podem fazer a diferença, peço que considerem, se não lutou por uma causa, liberem o medicamento para as crianças</p> <p>2ª - Sim, Segue medicamento liberado pela Anvisa e reconhecido no mundo todo.</p> <p>3ª - Sim, Sim, temos dinheiro para salvar vidas, a arrecadação existe pra todos, e sabemos que a Biogem faz um preço melhor do medicamento comprado em lotes, mas sabemos que se existe para tantas outras coisas, temos que ter pra salvar vidas, se você nunca fez nada por ninguém a hora é essa, lembre se cada criança que morre é culpa de vcoês..nos ajude, vamos fazer um mundo melhor..</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. gostaria de a conitec incorporasse o Spinraza - nusinersena no sus para TODOS os tipos de AME</p> <p>2ª - Sim, TB PODEM ACOMPANHR O FACEBOBN DO GRUPO UNIDOS PELA CURA DA AME OU sPINRAZA, EVOLUÇÃO DOS PACIENTES BRASILEIROS</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. por todos os tipos de Ame peço a liberação do sus</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. conitec por favor liberem para todos os tipos de AMe, anvisa já liberou, bula afirma que todos os tipos de Ame podem ter benefícios</p> <p>2ª - Sim, são inúmeras, só não vê quem não quer.</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
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por favor CONITEC, liberem a incorporação do nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) Tipos I II e III, eu morro junto a ver essas famílias lutando, e essas crianças tem direito a vida, peço que vejam isso por favor, é muito importante, salvar vidas..peço gentilmente vejam isso, não deixe essas crianças morrerem pelas suas mãos..</p> <p>2ª - Sim, Segeu documento anexo, liberação da Anvisa.</p> <p>3ª - Sim, Sim, Conitec liberou ate cirurgia de troca de sexo, que ninguem morre por isso, por favor nos ajude, o laboratório Biogem fez propostas de melhor preço pra SUS, nos ajude</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou portador de Atrofia MUscular tipo II, e acho o SUS deveria incorporar o remedio para todos os tipos de ame, pois se a anvisa liberou para todos os tipos de Ame é porque melhora pra todos os tipos de AME, biogem em bula tb diz que todos os tipos serão beneficaods</p> <p>2ª - Sim, medicos na audiência pública do senador romario tb deram seu parecer positivo e relatos de varios paceutes que estão tendo muitos beneficios.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por favor CONITEC, meu amigo Gabriel tem Atrofia Muscular Espinhal tipo II, ele luta muito, ele é melhor aluno da escola, ajuda todo mundo e acredita em mundo melhor, sua fé impacta a todos, peço por ele e por outras crianças com Atrofia tipo I II e III, considerem nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) Tipo I II III.</p> <p>2ª - Sim, Segue Evidências Clinicas</p> <p>3ª - Sim, Temos condição sim, pagamos impostos, essas crianças querem viver</p> <p>4ª - Sim, Sim um exemplo de Impacto Orçamentario é liberação de cirurgia para troca de sexo, peço a gentileza que considerem pois se todos pagamos é para direito a viver, nos ajude, sabemos que o laboratório fez proposta de melhor preço, liberem por favor lhe peço</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. conitec libera o nusinersena para todos os tipos de AME</p> <p>2ª - Sim, POR FAVOR LEIAM OS ANEXOS</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Conitec, peço que considerem, incorporação do nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME), ajudem por favor, eles estão morrendo</p> <p>2ª - Sim, liberado pela anvisa, e pelo resto do mundo, so falta aqui, tenha misericordia</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. gostaria muito que fosse liberado apra todos os tipos de ame, como a bula e a anvisa já liberou</p> <p>2ª - Sim, são inúmeras, mas anexo somente algumas, pena não poder colocar vídeos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. por favor conitec libere essa medicação pra todos os tipos de ame terem a chance de lutar por suas vidas</p> <p>2ª - Sim, seriam muitas, principalmente vídeos, mas segue alguns anexos</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
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. liberem para todos os tipos de ame</p> <p>2ª - Sim, segue anexos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. quero que todos os ames tenham direito a vida e chance de lutar</p> <p>2ª - Sim, são diversas...segue algumas</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eu soube que a CONITEC, não liberou o medicamento pelo SUS, por favor, voces precisam conhecer umas crinaças com AME antes de dizer se eles merecem ou não, quem pode dizer se pode ou não é Deus, e ele vê quem pode facilitar a vida de pessoas a viver, estou dizendo a viver, tenham misericordia,, liberem nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) tipo I II III</p> <p>2ª - Sim, Anvisa aprovou.,segue anexo comprovação</p> <p>3ª - Sim, todos tem direito, inclusive de viver</p> <p>4ª - Sim, baixar impostos de importação</p> <p>5ª - Sim, Peço que antes de voltar contra a liberação do medicamento, encontre alguma maneira de ajudar essas crianças, negar é facil, quero ver carregar o peso dessas vidas pra sempre, e quando vier a cobrança divida, possam estar cientes de ter feito algo na vida por alguem</p>	<a href="#">Clique aqui</a> <a href="#">Clique aqui</a> <a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. todos os ames tem direito. porque nem temos resposta preliminar para os outros tipos de Ame, não somos uma população de idiotas.</p> <p>2ª - Sim, sim, pena não aceitar vídeos aqui, todos os pacientes que já tomaram sem excessão estão tendo melhoras</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
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. vcs devem liberar a medicação para todos os tipos de AME, tem um menino portador dessa doença na nossa escola, e ele é super inteligente, TODOS os ames merecem viver.</p> <p>2ª - Sim, basta ler</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. SPINRAZA PARA TODOS OS TIPOS DE AME CONITEC...</p> <p>2ª - Sim, VCS devem reler as notas taquigráficas e acompanhar os facebook dos portadres que já estão recebendo a doença e ver como estão melhorando</p> <p>3ª - Sim, como disse acima, se vcs acompanahssem como os pacientes com poucas aplicação estão melhorando, estariam fazendo outros cálculos para compra desse medicamento daqui a um ano ou dois. pois seria menos custo em aparelhos ventila´torios, utis, alimentação especial, etc. repensem CONITEC, todos tem direito a vida conforme a constituição</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. o remedio faz efeito sim, liberem para todos os tipos de ame</p> <p>2ª - Sim, ver anexos</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
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Peço por favor, conheçam, vão e visitei 5 pacientes com AME tipo I II e III, e lembre se que poderia ser vocês, e que poderia ser alguém da família, e quando olharem lembre -se dos investimento que o governo faz com nosso meu e seu dinheiro e que são apenas vidas, crianças, pedindo direito a vida</p> <p>2ª - Sim, Peço que veja os aquivos e sua origens verdadeiras</p> <p>3ª - Sim, eleições 2018 ÚLTIMAS NOTÍCIAS PESQUISAS CANDIDATOS CALENDÁRIO ELEITORAL GUIA DO ELEITOR Veja quanto cada partido vai receber do fundo eleitoral; PT e MDB lideram23 Do UOL, em Brasília 15/06/201818h54 &gt; Atualizada 18/06/201817h42... - Veja mais em <a href="https://noticias.uol.com.br/politica/eleicoes/2018/noticias/2018/06/15/veja-quanto-cada-partido-vai-receber-do-fundo-eleitoral.htm?cmpid=copiaecola">https://noticias.uol.com.br/politica/eleicoes/2018/noticias/2018/06/15/veja-quanto-cada-partido-vai-receber-do-fundo-eleitoral.htm?cmpid=copiaecola</a></p> <p>4ª - Sim, analisar taxa de importação</p> <p>5ª - Sim, Todos tem direito, inclusive quem quer viver..</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. é preciso liberar pra todos os AMES , anvisa já liberou , vcs negam porque?</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. todos os cidadão tem direito a vida, vcas estão negando isso . se a nvisa já liberou para todos os tipos de ame... repensem</p> <p>2ª - Sim, segue</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
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por favor Conitec, liberem nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) Tipo I II III, eles são especiais, e merecem assim como nos viver, você merece viver?? e eles?</p> <p>2ª - Sim, Vários artigos com ganhos dos pacientes, segue anexo embasamento</p> <p>3ª - Sim, Segue anexo sugestão</p> <p>4ª - Sim, Acredito que pagamos imposto e temos direitos, imagine a vida...segue anexo exemplos</p> <p>5ª - Sim, Liberem nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) Tipos I II e III</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. precisamos salvar essas vidas, melhorar e dar uma qualidade mais digna pra essas crianças e jovens. libera nusinersena para todos os tipos de AME CONITEC</p> <p>2ª - Sim, ler anexos.. vcs já devem ter lido né. já viram vídeos de crianças antes e depois da medicação?</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. absurdo negarem, os portadores precisam dessa medicação. conitec repensem</p> <p>2ª - Sim, ver anexos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Ajudem a ter a incorporação do nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) Tipo I II e III, ajudem eles a viver</p> <p>2ª - Sim, em anexo</p> <p>3ª - Sim, baixar taxas de importação do medicamento e melhor negociação do medicamento a Biogem</p> <p>4ª - Sim, Veja quanto cada partido vai receber do fundo eleitoral; PT e MDB lideram23 Do UOL, em Brasília 15/06/201818h54 &gt; Atualizada 18/06/201817h42 Ouvir texto 0:00 Imprimir Comunicar erro A Justiça Eleitoral divulgou nesta sexta-fei... - Veja mais em <a href="https://noticias.uol.com.br/politica/eleicoes/2018/noticias/2018/06/15/veja-quanto-cada-partido-vai-receber-do-fundo-eleitoral.htm?cmpid=copiaecola">https://noticias.uol.com.br/politica/eleicoes/2018/noticias/2018/06/15/veja-quanto-cada-partido-vai-receber-do-fundo-eleitoral.htm?cmpid=copiaecola</a></p> <p>5ª - Sim, em anexo serviço liberado pelo sus, também temos o direito a vida</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. todos os tipos de Ame merecem receber essa medicação. reavaliem esse absurdo</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. absolutamente discordado. se existe um remédio eficaz com liberação da anvisa para todos os ames, porque negar? absurdo</p> <p>2ª - Sim, queria mandar videos de evoluções mas não dá... segue</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. totalmente, liberem para todos os tipos de ame, tenho um aluno tipo II, sabemos que está dando muitos resultados positivos essa medicação</p> <p>2ª - Sim, sabemos que vcs já devem ter recebido e lido esses arquivos, mas as notas taquigraficas são as melhores. eii... anvisa já liberou...</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. anvisa já liberou para todos os tipos, sabemos de varias crianças e adultos até recebendo a medicação e tendo ótimos resultados</p> <p>2ª - Sim, ver anexos</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
07/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. UM ABSURDO! ESSE MEDICAMENTO PRECISA SER FORNECIDO PELO SUS. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
07/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. conitec libera para todos os tipos de AME 2ª - Sim, ANEXO 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	<a href="#">Clique aqui</a>
07/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
08/09/2018	Paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
08/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente pois não temos condições de arca com o tratamento e todos têm o direito de viver e ser feliz, pois é triste ver uma criança deixando de viver um pouco mais a cada dia... 2ª - Sim, Ajudar de alguma forma que estiver ao meu alcance! 3ª - Não 4ª - Sim, Me colocando à disposição no que for possível e que estiver ao meu alcance. 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
08/09/2018	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>	
08/09/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos os portadores de AME, independente do tipo, deve ter direito ao tratamento visto que reduz o avanço da doença e melhora a qualidade de vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
09/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho acompanhado a evolução de alguns casos e tenho visto uma melhora significativa vom o uso da medicação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Acredito que o medicamento deveria see disponibilizado a famílias de baixa renda.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
09/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Acho que os pacientes com 2 ou mais copias de SMN2, até 6 meses de idade e livre de ventilação mecânica , devem ser incluídos para uso de nursinersen . Não deve ser utilizado para pacientes ventilados. Acho que os pacientes que utilizarem devem ter critérios rígidos de avaliação em centro de referências nos diversos estados para avaliar eficácia e continuidade de uso após 2 anos de tratamento . Devem ser criados centros de referencia para atendimento desses pacientes num contexto global, desde diagnóstico até cuidados paliativos . Devem ser definidos, nos diversos estados , médicos prescritores com experiência comprovada no atendimento a pacientes com doenças neuromusculares , como critério para liberação</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Custo extremamente elevado , que deve ser levado emConsideração no momento da liberação</p> <p>4ª - Sim, Medicação com custo excessivo para a nossa realidade</p> <p>5ª - Sim, É urgente a necessidade de criação de centros de referência para o atendimento global de pacientes com AME, com profissionais habilitados para este atendimentoP</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. SUS deve atender a todos de igual forma e direito, pagamos impostos cumprindo assim nossos deveres perante aquilo que devemos fazer.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
09/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O nursinersena é o único tratamento para a Amiotrofia Espinhal tipo I. Doença muito grave e que traz muito sofrimento para os portadores e suas famílias.</p> <p>2ª - Sim, As crianças com AME tipo I apresentam melhora da força muscular com consequente aumento do repertório motor e melhor qualidade do quadro respiratório.</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim, Minimizará a morbidade dos pacientes envolvidos com menor impacto financeiro ao orçamento financeiro governamental.</p> <p>5ª - Não</p>	
09/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os argumentos são falaciosos. Há sim evidências de resultado do medicamento, tanto que foi aprovado pelos órgãos reguladores dos EUA e Europa. Além disso os usuários do medicamento têm apresentado considerável melhora. Minha filha nasceu em 2013 com AME tipo I, comprovada por exame genético (que atualmente é a forma usual de diagnóstico, ao contrário do informado aqui na página do Conitec) e morreu em fevereiro de 2014. Infelizmente ela não viveu o suficiente para se beneficiar desse medicamento e o Conitec está negando o direito à vida para todos os portadores de AME.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, num país que gasta mais de 500.000 reais por ano para lavar carros de deputados e tantas outras aberrações que podem ser verificadas nas contas que estão disponíveis para o público vir levantar questões de cunho financeiro é em si absurdo. Outra opção é fornecer exames de triagem pré-gravidez para que casais portadores da mutação sejam identificados. Mas isso não invalida os portadores nascidos e que necessitam de tratamento para viver.</p> <p>4ª - Sim, rever orçamento com o legislativo.</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/09/2018	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>	
10/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Não fica claro a questão do auxilio ventilatório nos pacientes com AME, embora os dados sejam insuficientes para tal conclusão no momento, retardar a necessidade de dispositivos respiratórios devem ser considerados</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Crianças com mutação 5q não dependentes de auxilio ventilatório deveriam ser candidatas ao tratamento com nusinersen, visto ser onde tem maior potencial de beneficio, no entanto tal condição só se justifica em vigência de redução dos custos com a medicação, visto que as evidências são muito fracas (mas não nulas) de que a medicação prolonga o período livre de suporte ventilatório.</p>	
10/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
10/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Já existem estudos suficientes que fundamentem o uso.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, É possível a incorporação desta nova tecnologia uma vez que será cada vez mais comum o diagnóstico e surgimento de novas drogas.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O medicamento deve ser incorporado visto que auxilia no tratamento da doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
10/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Já participei de diversos congressos e participei do acompanhamento de crianças que se beneficiaram enormemente da medicação.</p> <p>3ª - Sim, O impacto econômico deve levar em conta pacientes que estão há anosInternado com grande custo para o Estado.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
10/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Entendo que pesa no orçamento do país, pois trata-se de um medicamento de alto custo agregado. e não há garantias, porém, acredito que se há alguma esperança de melhorar a qualidade de vida dessas crianças, temos que tentar. Não podemos nos omitir. nem vou entrar no mérito de que podemos diminuir os benefícios dos políticos, colocar pra eles pagarem suas contas de moradia, viagens e etc. nao temos obrigação de bancar luxo de politico que está lá pra servir o país e não para melhorar de vida. Enfim. O Brasil é um país rico, e do povo trabalhador, que paga seus impostos, se não fosse a corrupção seríamos um país de primeiro mundo e não estaríamos hoje discutindo questões financeiras enquanto tem crianças morrendo por causa de dinheiro. Que Deus esteja conosco!!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
10/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Tenho experiência com familiar.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Temos um país com situações de acesso a saúde muito diversa. Portanto concordo que esteja indicado de acordo com a classificação de gravidade dos pacientes com AME tipo I e que tenham a infraestrutura necessária garantida pelo SUS para acesso ao tratamento complementar. Além do controle com escalas (avaliações objetivas) para melhor avaliação dos resultados. (Os centros de tratamento precisam se comprometer com os resultados e o SUS assegurar o acesso. Os outros tipos II, III é indiscutível que devam ter acesso sim.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, É necessário redução dos valores e contra partida da indústria em capacitação profissional específica.</p> <p>4ª - Sim, Dependendo do seguimento dado vai sim diminuir os custos. Esse estudo realizado hoje pode não mostrar a realidade, pois não temos a confirmação do diagnóstico na maioria dos pacientes por falta de acesso aos exames genéticos pela rede do SUS. PORTANTO NAO CONSIGO IMAGINAR COMO FOI FEITO ESSE CALCUALO quando não sabemos a nossa incidência.</p> <p>5ª - Sim, Qual outra alternativa no SUS propõe para estes pacientes?Se comprometem com os tratamentos auxiliares/suporte com qualidade ?</p>	
10/09/2018	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>	
10/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todo o medicamento é passível de testes a qualquer momento. Apesar de estar ainda em testes a liberação contribuiria para a evolução terapêutica de inúmeras crianças.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, É necessário, com urgência, rever prioridades orçamentárias neste país!</p>	
10/09/2018	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
10/09/2018	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
10/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
10/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os gastos com internação podem se equiparar aos gastos com as doses do medicamento. A grande diferença seria na eficácia do tratamento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, Os gastos com internação podem se equiparar aos gastos com as doses do medicamento. A grande diferença seria na eficácia do tratamento. 5ª - Não	
10/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existe um claro benefício, cientificamente comprovado, no tratamento da AME com o medicamento. Portanto, torna-se um direito dos pacientes e um dever da união. 2ª - Não 3ª - Sim, A união economizará no que diz respeito a gastos com cuidados paliativos. 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Uma medicação que consegue estabilizar uma doença tão grave. Não só trará melhor qualidade de vida como será muito mais barato para o governo o tratamento de um paciente com as menores manifestações possíveis</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Pelo que li do preço da medicação: não precisamos de muitos cálculos para, rapidamente, concluirmos que será mais barato cuidar de um paciente com menores sequelas da doença. Ou seja, q seja iniciada a medicação assim q for dado o diagnóstico</p> <p>4ª - Sim, Mesmo q o item 11</p> <p>5ª - Sim, Saúde é direito de todos e dever do Estado</p>	
10/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Ja foi comprovado melhoras na utilização do medicamento em crianças com AME.Sua urgência na liberação salva vidas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
10/09/2018	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>	
10/09/2018	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
10/09/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Art. 196. 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. Spinraza é o primeiro e único medicamento em 130 anos de conhecimento da Atrofia Muscular Espinhal e o Ministério da Saúde não vai me tirar esse direito . Tenho AME tipo II , o Spinraza é para todos os tipos e idades , assim como está no parecer da ANVISA.</p> <p>2ª - Sim, Trecho do parecer público ANVISA.Considerando o mecanismo de ação de nusinersena e o fato de que a principal característica fisiopatológica da AME (deficiência de proteína SMN devido à deleção ou mutação no gene SMN1 localizado no cromossomo 5q) é semelhante em todos os seus subtipos, pode-se inferir que nusinersena apresentará efeito farmacológico em todos os espectros da doença permitindo que a indicação de Spinraza contemple todos os pacientes com AME 5q.</p> <p>3ª - Sim, O Ministério da Saúde afirma nos processos para negar o Spinraza , que existe cerca de 7,800 pacientes no país , segundo declaração da ABRAME ( associação brasileira de atrofia muscular espinhal ). Segue em anexo nota de esclarecimento.Obs: No meu ponto de vista ,a união Federal economizará muito mais comprando o medicamento para os pacientes , levando em consideração a evolução da doença que é degenerativa ,caso o paciente não tome a medicação , certamente terá que morar em uma uti em hospitais ou home care, que sairá bem mais caro pro governo.Spinraza tratamento 1º ano - 1.500,000,00Spinraza tratamento 2º ano - 750.000,00Home care acompanhamento contínuo - mensal - 120.000,00Home care acompanhamento 1 ano - 1.440,000,00 No Brasil existe em média 500 a 700 pacientes a serem tratados com Spinraza.</p> <p>4ª - Sim, A CONITEC não deve avaliar o impacto orçamentário e sim a base científica do medicamento.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
10/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O custo diário de uma criança na UTI é o mesmo valor do remédio comprado pelo governo para fazer o 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
10/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Atrofia Muscular Espinhal 1 (AME 1 OMIM 253300, CID 10: G12.0) é de 1:6.000 a 1: 8.000 recém-nascidos, o quadro clínico tem início até o 6º mês de vida e evolui para óbito por insuficiência ou infecção respiratória antes dos 2 anos de vida. Nusinersena (Spiranza®), é o primeiro medicamento aprovado pelo FDA para o tratamento da AME</p> <p>2ª - Sim, O termo Atrofia Muscular Espinhal (AME) refere-se a um grupo de doenças neuromusculares com herança autossômica recessiva caracterizados pela degeneração dos alfa-neurônios motores do corno anterior da medula espinhal, levando a fraqueza muscular e atrofia simétricas. São descritos 4 tipos de AME conforme a idade de início, atividade muscular máxima alcançada e sobrevida: tipo I, AME infantil grave aguda ou doença de Werdnig-Hoffman; tipo II (OMIM 253550), ou AME crônica infantil; tipo III (OMIM 253400), AME juvenil ou doença de Wohlfart-Kugelberg-Welander; e tipo IV (OMIM 271150) ou AME de início na idade adulta. Todos os tipos têm herança autossômica recessiva e são causados por mutações no gene Survival of Motor Neuron 1 (SMN1, Sobrevivência do Neurônio Motor, OMIM 600354, locus 5q13.2). A incidência da AME tipo 1 (AME 1: OMIM 253300, CID 10: G12.0) é de 1:6.000 a 1: 8.000 recém-nascidos, o quadro clínico tem início até o 6º mês de vida e evolui para óbito por insuficiência ou infecção respiratória antes dos 2 anos de vida. Caracteriza-se por fraqueza e atrofia muscular proximal simétrica que poupa a musculatura facial, fasciculações e fibrilações da língua, arreflexia, incapacidade de sentar sem apoio e de atingir outros marcos do desenvolvimento motor. Há redução dos movimentos fetais ativos e podem ocorrer malformações cardíacas nos casos mais graves, tais como: defeitos dos septos atriais e ventriculares. A deleção do exon 7 do gene SMN1 ocorre em 95% dos pacientes com AME 1. Os genes SMN1 e SMN2 localizam-se na região 5q13. Mais 99% dos nucleotídeos destes genes são idênticos e ambos são capazes de codificar a proteína SMN que tem 294 aminoácidos. A proteína SMN1 se liga ao RNA e é essencial para a montagem eficiente de pequenos complexos de pequena ribonucleoproteína nuclear (snRNP). Na AME, a ausência do gene é parcialmente compensada pelo gene SMN2 que codifica uma proteína SMN capaz de permitir o desenvolvimento relativamente normal de neurônios motores. No entanto, o gene SMN2 não pode compensar totalmente a perda do gene SMN1 porque, embora o SMN2 seja transcrito em um nível comparável ao do SMN1, a grande maioria dos transcritos de SMN2 não contem o exon 7, resultando na produção de uma proteína SMN truncada e menos estável. Não havia um tratamento disponível para AME 1. Nusinersena (Spiranza®), é o primeiro medicamento aprovado pelo FDA para o tratamento da AME 1. Nusinersena é um oligonucleotídeo antisense que modifica o splicing alternativo do gene SMN2, determinando a tradução completa da proteína SMN. De acordo com dados do Ensaio Clínico aberto de fase 2, sem grupo controle, com 20 pacientes, Nusinersena melhora a função motora em comparação com o baseline e demonstrou ser tolerável, além de aumentar a sobrevida dos pacientes quando comparada a uma série de casos de história natural da doença. O estudo clínico fase 3 multicêntrico randomizado, duplo-cego, controlado por procedimento simulado comprovou a eficácia e segurança do Nusinersena em bebês com AME 1 (Finkel et al., 2017). Dos 80 pacientes tratados com Nusinersena, 51% alcançaram marcos motores em comparação com 0% dos 41 pacientes do grupo controle; o risco de morte ou de necessidade de ventilação mecânica permanente foi de 47% nos pacientes tratados com Nusinersena em comparação com 0% dos pacientes não tratados. A maioria dos eventos adversos reportados foram semelhantes nos 2 grupos</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>(tratados com Nusinersena e não tratados), sendo a maioria não considerados relacionados ao tratamento. Em virtude do acima exposto, concluo que Nusinersena modifica o curso natural avassalador da AME 1 e deve ser incorporado com celeridade no rol de medicamentos fornecidos pelo SUS para o tratamento dos pacientes tão logo seja feito o diagnóstico de AME 1, o que determinará seu desenvolvimento neuropsicomotor adequado, maior sobrevida, bem como melhor qualidade de vida para os bebês e seus familiares.</p>	
		<p>3ª - Sim, Não sou economista. Porém, sempre exerci a Medicina ao nível público em prol das camadas mais pobres da população brasileira. Sou médica graduada no ano de 1980 pela Faculdade de Medicina da Universidade Federal do Espírito Santo, inscrita no Conselho Regional de Medicina do Espírito Santo sob o número 2366. No período de 1981 a 1982, fiz Residência Médica em Pediatria no Hospital Infantil Nossa Senhora da Glória do então Instituto de Saúde Pública do Espírito Santo e Residência Médica em Medicina Geral e Comunitária pela Universidade Federal do Espírito Santo no período de 1983 a 1984. Aprovada no concurso do então Instituto Nacional de Assistência Médica e Previdência Social (INAMPS) futuramente incorporado ao Ministério da Saúde, exerci o cargo de pediatra no período de 1984 a 1988. No ano de 1999, fui cedida pelo gestor municipal de Caratinga – MG ao Instituto Fernandes Figueira da Fundação Oswaldo Cruz – IFF/FIOCRUZ – RJ–RJ onde me especializei em Genética Médica. Tenho Título de Especialista em Genética Médica junto à Sociedade Brasileira de Genética Médica e Associação Médica Brasileira, registrado no Conselho Regional de Medicina do Espírito Santo. Também sou Mestre em Medicina pelo Programa de Pós-Graduação em Ciências Médicas da Faculdade de Ciências Médicas da Universidade do Estado do Rio de Janeiro, cuja dissertação versou em uma malformação do Sistema Nervoso Central (esquizencefalia). Aprovada em primeiro lugar para o cargo de Médica Geneticista do Hospital Universitário Cassiano Antonio Moraes da Universidade Federal do Espírito Santo (HUCAM/UFES) no concurso da Empresa Brasileira de Recursos Hospitalares (EBSERH) no dia 25/04/2014 e convocada em 01/10/2015, solicitei a aposentadoria no Ministério de Saúde. Desta forma, exerço atividades como médica geneticista no HUCAM/UFES. Tais informações podem ser confirmadas no site Plataforma Lattes do CNPq (<a href="http://lattes.cnpq.br/6438981250094401">http://lattes.cnpq.br/6438981250094401</a>) A nossa Constituição Federal de 1988, em seu Art. 196 afirma que 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>	
		<p>4ª - Sim, Constituição Federal de 1988: Art. 198. As ações e serviços públicos de saúde integram uma rede regionalizada e hierarquizada e constituem um sistema único, organizado de acordo com as seguintes diretrizes: I - descentralização, com direção única em cada esfera de governo; II - atendimento integral, com prioridade para as atividades preventivas, sem prejuízo dos serviços assistenciais; III - participação da comunidade. § 1º. O sistema único de saúde será financiado, nos termos do art. 195, com recursos do orçamento da seguridade social, da União, dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios, além de outras fontes. (Parágrafo único renumerado para § 1º pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000) § 2º A União, os Estados, o Distrito Federal e os Municípios aplicarão, anualmente, em ações e serviços públicos de saúde</p>	



recursos mínimos derivados da aplicação de percentuais calculados sobre: (Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)I - no caso da União, na forma definida nos termos da lei complementar prevista no § 3º; (Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)II - no caso dos Estados e do Distrito Federal, o produto da arrecadação dos impostos a que se refere o art. 155 e dos recursos de que tratam os arts. 157 e 159, inciso I, alínea a, e inciso II, deduzidas as parcelas que forem transferidas aos respectivos Municípios; (Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)III - no caso dos Municípios e do Distrito Federal, o produto da arrecadação dos impostos a que se refere o art. 156 e dos recursos de que tratam os arts. 158 e 159, inciso I, alínea b e § 3º.(Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)§ 3º Lei complementar, que será reavaliada pelo menos a cada cinco anos, estabelecerá:(Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000) RegulamentoI - os percentuais de que trata o § 2º; (Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)II - os critérios de rateio dos recursos da União vinculados à saúde destinados aos Estados, ao Distrito Federal e aos Municípios, e dos Estados destinados a seus respectivos Municípios, objetivando a progressiva redução das disparidades regionais; (Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)III - as normas de fiscalização, avaliação e controle das despesas com saúde nas esferas federal, estadual, distrital e municipal; (Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)IV - as normas de cálculo do montante a ser aplicado pela União.(Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)§ 4º Os gestores locais do sistema único de saúde poderão admitir agentes comunitários de saúde e agentes de combate às endemias por meio de processo seletivo público, de acordo com a natureza e complexidade de suas atribuições e requisitos específicos para sua atuação. . (Incluído pela Emenda Constitucional nº 51, de 2006)§ 5º Lei federal disporá sobre o regime jurídico e a regulamentação das atividades de agente comunitário de saúde e agente de combate às endemias. (Incluído pela Emenda Constitucional nº 51, de 2006) (Vide Medida provisória nº 297. de 2006)§ 5º Lei federal disporá sobre o regime jurídico, o piso salarial profissional nacional, as diretrizes para os Planos de Carreira e a regulamentação das atividades de agente comunitário de saúde e agente de combate às endemias, competindo à União, nos termos da lei, prestar assistência financeira complementar aos Estados, ao Distrito Federal e aos Municípios, para o cumprimento do referido piso salarial. (Redação dada pela Emenda Constitucional nº 63, de 2010) Regulamento§ 6º Além das hipóteses previstas no § 1º do art. 41 e no § 4º do art. 169 da Constituição Federal, o servidor que exerça funções equivalentes às de agente comunitário de saúde ou de agente de combate às endemias poderá perder o cargo em caso de descumprimento dos requisitos específicos, fixados em lei, para o seu exercício. (Incluído pela Emenda Constitucional nº 51, de 2006)

5ª - Sim, Embora a AME 1 seja uma doença rara, como médica geneticista com as co-morbidades já atendi muitos pacientes e familiares que sofrem imensamente com esta devastadora doença. As crianças morreram precocemente, seus pais sofrem com as co-morbidades que acompanham a doença, internação prolongada dos filhos acarretando êxodo do mercado de trabalho e especialmente com a perda precoce dos filhos. Os pais geralmente são jovens, as crianças afetadas são primogêniticas e é grande a sua dor. Muitas famílias recorrem a uma incansável e interminável tentativa de angariar fundos para o tratamento dos filhos com Nusinersena, enquanto seus filhos definham e evoluem inexoravelmente para o óbito. Sendo saúde direito de todos e dever do Estado (Constituição Federal de 1988 Art. 196), confio que esta COMISSÃO NACIONAL DE

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS NO SUS aprove com máxima celeridade a incorporação do Nusinersena no rol de medicamentos do SUS.</p>	
10/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por favor conitec liberem nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) tipo I II e III, eu coheço os pacientes, são vidas lutando, cheio de fé, e crendo orando a Deus para vocês terem misericórdia e se colocarem no lugar dessas famílias e pacientes</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim, ICMS é o imposto de maior incidência sobre medicamentos, diz Anvisa<a href="http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890">http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890</a></p> <p>4ª - Sim, Cirurgias de mudança de sexo são realizadas pelo SUS desde 2008Para obter atendimento os pacientes devem atender requisitos como: maioridade, acompanhamento psicoterápico por pelo menos dois anos, laudo psicológico/psiquiátrico favorável e diagnóstico de transexualidade<a href="http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008">http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008</a></p> <p>5ª - Sim, Para incorporar uma das drogas mais caras do mundo ao SUS, a empresa propôs ao governo um pacote com custeio de diagnóstico de pacientes e teto de gastos. Trata-se de uma oferta “inovadora”, conforme a empresa.<a href="https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018">https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018</a></p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
10/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Peço que considerem, crianças estão morrendo, por favor liberem o nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) tipo I II e III</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim, Carga tributária de remédios do Brasil é a maior do mundoO tributo sobre o item no País é de 33,87%, nos remédios importados, e de 30% sobre os nacionais, aponta o IBPT<a href="http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890">http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890</a></p> <p>4ª - Sim, Todos tem direito, inclusive aqueles que querem apenas viverCirurgias de mudança de sexo são realizadas pelo SUS desde 2008Para obter atendimento os pacientes devem atender requisitos como: maioridade, acompanhamento psicoterápico por pelo menos dois anos, laudo psicológico/psiquiátrico favorável e diagnóstico de transexualidade<a href="http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008">http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008</a></p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Conitec, a Anvisa ja liberou , vários países estão salvando vidas, e porque, porque vocês estão negando a incorporação do nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) tipo I II III, por favor... esta em suas mãos, tenham misericórdia... conheçam 5 pacientes pessoalmente com AME e ai sim tomem a decisão de negar...sejam bem humanos, e lembre-se, Deus sabe toda as coisas...</p> <p>2ª - Sim, em anexo, várias evidências clínicas...</p> <p>3ª - Sim, Carga tributária de remédios do Brasil é a maior do mundoO tributo sobre o item no País é de 33,87%, nos remédios importados, e de 30% sobre os nacionais, aponta o IBPT<a href="http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890">http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890</a></p> <p>4ª - Sim, A empresa Biogen afirma que não tem um valor estimado para o teto de gastos. O limite seria estabelecido com dados do governo e de associações sobre o número de pacientes que serão atendidos. A Biogen diz que cobrirá os gastos "acima" deste teto.<a href="https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018">https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018</a></p> <p>5ª - Sim, Todos tem direito, inclusive os pacientes com AME,,,segue exemplo de investimento feito pelo SUSCirurgias de mudança de sexo são realizadas pelo SUS desde 2008Para obter atendimento os pacientes devem atender requisitos como: maioridade, acompanhamento psicoterápico por pelo menos dois anos, laudo psicológico/psiquiátrico favorável e diagnóstico de transexualidade<a href="http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008">http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008</a></p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
10/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Precisamos incluir no SUS para possibilitar um maior acesso ao medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
10/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Precisamos incluir no SUS para possibilitar um maior acesso ao 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
10/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Vergonha, Anvisa liberou e vocês estão ai criando caso, quero que saiba que a vida dessas crianças pesa sobre suas escolhas, pois vocês sabem que não é uma regra, são crianças que estão morrendo em um país que so cobra impostos, olhe na tv, noticiários, pense se sua vida dependesse de alguém que não acha importante viver, por favor, pedimos a incorporação do nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) Tipo I II e III</p> <p>2ª - Sim, Anvisa liberou, segue anexo</p> <p>3ª - Sim, Carga tributária de remédios do Brasil é a maior do mundoO tributo sobre o item no País é de 33,87%, nos remédios importados, e de 30% sobre os nacionais, aponta o IBPT<a href="http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890">http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890</a></p> <p>4ª - Sim, A empresa Biogen afirma que não tem um valor estimado para o teto de gastos. O limite seria estabelecido com dados do governo e de associações sobre o número de pacientes que serão atendidos. A Biogen diz que cobrirá os gastos "acima" deste teto.<a href="https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018">https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018</a></p> <p>5ª - Sim, Todos tem direito, inclusive os pacientes com AME,,,segue exemplo de investimento feito pelo SUSCirurgias de mudança de sexo são realizadas pelo SUS desde 2008Para obter atendimento os pacientes devem atender requisitos como: maioridade, acompanhamento psicoterápico por pelo menos dois anos, laudo psicológico/psiquiátrico favorável e diagnóstico de transexualidade<a href="http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008">http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008</a></p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
10/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Anvisa, liberou e autorizaou e confirmou eficácia do medeciamento para todos os tipos de AME. libera conitec tb para todos os tipos de AME</p> <p>2ª - Sim, ver anexos</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
10/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. por favor a anvisa ja reconheceu, façam a incorporação do nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) tipo I II III</p> <p>2ª - Sim, a Anvisa ja reconheceu, segue documentos</p> <p>3ª - Sim, Carga tributária de remédios do Brasil é a maior do mundoO tributo sobre o item no País é de 33,87%, nos remédios importados, e de 30% sobre os nacionais, aponta o IBPT<a href="http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890">http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890</a></p> <p>4ª - Sim, A empresa Biogen afirma que não tem um valor estimado para o teto de gastos. O limite seria estabelecido com dados do governo e de associações sobre o número de pacientes que serão atendidos. A Biogen diz que cobrirá os gastos "acima" deste teto.<a href="https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018">https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018</a></p> <p>5ª - Sim, A empresa Biogen afirma que não tem um valor estimado para o teto de gastos. O limite seria estabelecido com dados do governo e de associações sobre o número de pacientes que serão atendidos. A Biogen diz que cobrirá os gastos "acima" deste teto.<a href="https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018">https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018</a></p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
10/09/2018	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
10/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Peço que incorporem o nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME), pois os pacientes estão ficando melhor com esse medicamento, conheci alguns deles</p> <p>2ª - Sim, a Anvisa liberou, segue anexo evidências clínicas.</p> <p>3ª - Sim, Carga tributária de remédios do Brasil é a maior do mundoO tributo sobre o item no País é de 33,87%, nos remédios importados, e de 30% sobre os nacionais, aponta o IBPT<a href="http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890">http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890</a></p> <p>4ª - Sim, A empresa Biogen afirma que não tem um valor estimado para o teto de gastos. O limite seria estabelecido com dados do governo e de associações sobre o número de pacientes que serão atendidos. A Biogen diz que cobrirá os gastos "acima" deste teto.<a href="https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018">https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018</a></p> <p>5ª - Sim, Todos tem direito, inclusive os pacientes com AME,,,segue exemplo de investimento feito pelo SUSCirurgias de mudança de sexo são realizadas pelo SUS desde 2008Para obter atendimento os pacientes devem atender requisitos como: maioria, acompanhamento psicoterápico por pelo menos dois anos, laudo psicológico/psiquiátrico favorável e diagnóstico de transexualidade<a href="http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008">http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008</a></p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
10/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por favor, peço que tenhamos a incorporação do nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) , pois são vidas, ajude liberem pelo SUS.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim, Carga tributária de remédios do Brasil é a maior do mundoO tributo sobre o item no País é de 33,87%, nos remédios importados, e de 30% sobre os nacionais, aponta o IBPT<a href="http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890">http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890</a></p> <p>4ª - Sim, A empresa Biogen afirma que não tem um valor estimado para o teto de gastos. O limite seria estabelecido com dados do governo e de associações sobre o número de pacientes que serão atendidos. A Biogen diz que cobrirá os gastos "acima" deste teto.<a href="https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018">https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018</a></p> <p>5ª - Sim, Todos tem direito, inclusive os pacientes com AME,,,segue exemplo de investimento feito pelo SUSCirurgias de mudança de sexo são realizadas pelo SUS desde 2008Para obter atendimento os pacientes devem atender requisitos como: maioria, acompanhamento psicoterápico por pelo menos dois anos, laudo psicológico/psiquiátrico favorável e diagnóstico de transexualidade<a href="http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008">http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008</a></p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A despeito dos valores, trata-se de doença com baixa prevalência é altíssima morbidamente, com grande possibilidade de melhora em qualidade de vida e perspectiva de Vida</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
10/09/2018	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>	
10/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Antes de julgar alguém que quer ter direito a vida, se coloque no lugar dessas famílias e pacientes..</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim, Carga tributária de remédios do Brasil é a maior do mundoO tributo sobre o item no País é de 33,87%, nos remédios importados, e de 30% sobre os nacionais, aponta o IBPT<a href="http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890">http://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890</a></p> <p>4ª - Sim, A empresa Biogen afirma que não tem um valor estimado para o teto de gastos. O limite seria estabelecido com dados do governo e de associações sobre o número de pacientes que serão atendidos. A Biogen diz que cobrirá os gastos "acima" deste teto.<a href="https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018">https://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018</a></p> <p>5ª - Sim, Todos tem direito, inclusive os pacientes com AME,,,segue exemplo de investimento feito pelo SUSCirurgias de mudança de sexo são realizadas pelo SUS desde 2008Para obter atendimento os pacientes devem atender requisitos como: maioridade, acompanhamento psicoterápico por pelo menos dois anos, laudo psicológico/psiquiátrico favorável e diagnóstico de transexualidade<a href="http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008">http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008</a></p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
10/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A prática clínica demonstra o efeito completamente benéfico do uso do medicamento em crianças com AME tipo I.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
10/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, O gasto com internações prolongadas em UTI de todos os portadores anualmente supera e muito o gasto com a medicação de uso domiciliar/ambulatorial.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
10/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acompanho 3 pacientes que tiveram oportunidade de fazer o tratamento com spiranza com resposta na recuperação de movimentos perdidos, deglutição e fala!! Mas o inquestionável ganho respiratório é o fator mais importante !!!</p> <p>2ª - Sim, Percebi melhora nos parâmetros ventilatorios, parada da progressão de perda de movimentos e recuperação de movimentos perdidos, retorno da fala, deglutição ... melhora na qualidade de vida dessas crianças!!!</p> <p>3ª - Sim, Apesar do custo desumano dessa medicação, ela realmente funciona e todos os portadores dessa enfermidade devem ter acesso a ela!!! O governo deve tentar negociar com o laboratório fabricante do medicamento um preço acessível para comprar pelo sus!!!</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A vida não tem preço é o nosso maior bem.. todos devem ter acesso a uma vida com qualidade!!! Pagamos nossos impostos para termos direito a medicamentos pelo sus!! O sus - através da consed deve fazer pressão junto ao laboratório para conseguir um valor de medicamentos acessível a todos os portadores com AME!!!</p>	
11/09/2018	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
11/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, Uma vida vale mais que um impacto orçamentário? Acredito que não, essas crianças precisam de um amparo de uma vida saudável. 5ª - Não	
11/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Custo muito alto 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Muitos pacientes precisam desse medicamento, e sem a ajuda do SUS, muitos morrem sem o tratamento por falta de dinheiro. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A AME é uma doença séria, que impede crianças de viver, de brincar, de comer um simples chocolate. O valor de cada dose é absurdo, e o remédio tem que ser tomado a vida toda. Pelo amor de Deus gente, DISPONIBILIZA ESSE REMÉDIO NO SUS!!!! Vamos ter compaixão, vamos deixar que esses anjos vivem sem dor e sofrimento!!!! 2ª - Sim, 3ª - Sim, 4ª - Sim, 5ª - Sim,	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esse remédio é fundamental para dar uma QUALIDADE DE VIDA aos pacientes além de ser mais econômico para o governo...só mesmo quem tem alguém na família e sofre com isso saberá o VALOR DA LIBERAÇÃO DESSE REMÉDIO!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/09/2018	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>	
11/09/2018	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>	
11/09/2018	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
11/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um absurdo o SUS não ser favorável com os portadores da atrofia (AME). 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Quando se trata de uma vida, devemos fazer de tudo para dar uma oportunidade ao ser humano poder viver. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Medicação que não promove a cura e duvidosa quanto a progressão da doença.Preço fora da realidade</p> <p>2ª - Sim, Não há ESTUDOS COMPROVANDO UMA MINIMA EFICACIA SEGURA E DURADOURA</p> <p>3ª - Sim, medicacao nai prioritaria em estudo</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/09/2018	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>	
11/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os gastos com pacientes que têm pequena sobrevida e nem chegam a ir pra casa são bem maiores com Uti e internações comparado com uso medicamento q já foi autorizado e aprovado pela Anvisa (estamos tirando a credibilidade de uma das maiores agências reguladoras do mundo). E testes últimos 5 anos mostram segurança lembrando q a evolução da doença é fatal.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/09/2018	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
11/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	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
11/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem bons resultados em pesquisa de 5 anos. Enquanto houver esperança há vida. Não se pode precificar a vida. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	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
11/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A saúde no Brasil já é muito deficiente não temos condição de desviar recursos que não são usados nem no dia a dia da saúde, do Brasileiro, pois é um tratamento muito caro para uma unica potologia, quantos procedimentos da saúde poderiam ser atendidos com o custo desse tratamento? Não da pois não tem garantia de cura total.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os custos com hospitalização sem dúvida são maiores . É um absurdo não dar uma chance a esses pacientes por causa de questões financeiras , pois no final é isso que com certeza está pesando na decisão .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Custo de internação certamente maior</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/09/2018	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>	
11/09/2018	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
11/09/2018	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>	
11/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acompanho 3 pacientes que tiveram oportunidade de fazer o tratamento com spiranza com resposta na recuperação de movimentos perdidos, deglutição e fala!! Mas o inquestionável ganho respiratório é o fator mais importante !!!</p> <p>2ª - Sim, Percebi melhora nos parâmetros ventilatorios, parada da progressão de perda de movimentos e recuperação de movimentos perdidos, retorno da fala, deglutição ... melhora na qualidade de vida dessas crianças!!!</p> <p>3ª - Sim, Apesar do custo desumano dessa medicação, ela realmente funciona e todos os portadores dessa enfermidade devem ter acesso a ela!!! O governo deve tentar negociar com o laboratório fabricante do medicamento um preço acessível para comprar pelo sus!!!</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A vida não tem preço é o nosso maior bem.. todos devem ter acesso a uma vida com qualidade!!! Pagamos nossos impostos para termos direito a medicamentos pelo sus!! O sus - através da consed deve fazer pressão junto ao laboratório para conseguir um valor de medicamentos acessível a todos os portadores com AME!!!</p>	
11/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Um dia de internação em uma uti ja pagaria uma dose do remédio</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, É um remedio de alto custo. Mas manter esses pacientes privados desse tratamento, gera mais custo para o estado com leitos em uti</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. é o único remédio com resultado comprovado que pode atuar nesta enfermidade. Mesmo aplicado em adultos, o resultado sempre foi positivo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/09/2018	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>	
11/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Não fica claro a questão do auxilio ventilatório nos pacientes com AME, embora os dados sejam insuficientes para tal conclusão no momento, retardar a necessidade de dispositivos respiratórios devem ser considerados</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Crianças com mutação 5q não dependentes de auxilio ventilatório deveriam ser candidatas ao tratamento com nusinersen, visto ser onde tem maior potencial de benefício, no entanto tal condição só se justifica em vigência de redução dos custos com a medicação, visto que as evidências são muito fracas (mas não nulas) de que a medicação prolonga o período livre de suporte ventilatório.</p>	
11/09/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou portador da doença atrofia muscular espinhal (AME) tipo III, e infelizmente estou perdendo os poucos movimentos que eu tinha, tenho 27 anos e sou cadeirante a três anos por conta da AME. como se trata de uma doença degenerativa o risco de morrer se torna iminente tanto para mim quanto para todos os outros pacientes de AME.</p> <p>2ª - Sim, O nusinersena é o único remédio capaz de melhorar a nossa qualidade de vida. pacientes com AME que estao tomando este medicamento apresentaram melhoras significativa a exemplo do joaquim, jonatas, cameron e outros</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Os possíveis ganhos (há muita incerteza quanto ao perfil do paciente que poderia se beneficiar), a dificuldade de diagnóstico, a falta de informações sobre o tratamento além do período esperado de sobrevida dos pacientes e a heterogeneidade dos pacientes se traduzem em ganhos apenas marginais e incertos para esse grupo de pacientes. O preço do medicamento é muito além de qualquer coisa razoável. Sua incorporação nesse momento transferiria para o sistema de saúde o custo de uma pesquisa, que deve ser financiada pelo laboratório até que resultados mais consistentes possam ser oferecidos à população.</p> <p>2ª - Sim, O relatório preliminar do NICE foi publicado em 14 de agosto de 2018, com recomendação de não incorporação, principalmente pela falta de informações de desfechos em longo prazo, pela incerteza do benefício e pelo custo exorbitante. O NICE é uma instância de avaliação bem estruturada, assim como e o sistema de saúde Britânico, que tem experiência em negociar com a indústria. Se o preço é inacessível para aquela população, em troca de resultados tão marginais, para um país como o nosso, com um sistema de saúde universal já com subfinanciamento, essa incorporação comprometeria a frágil sustentabilidade do SUS.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
11/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação altamente importante para o tratamento dos pacientes com essa doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho 2 pacientes com AME em uso dessa medicação com progressos incríveis após as primeiras doses</p> <p>2ª - Sim, vejo melhoras substanciais com o uso do medicamento no aspecto motor, respiratório e de fala dos meus pacientes</p> <p>3ª - Sim, a vida não tem preço</p> <p>4ª - Sim, a vida não tem preço</p> <p>5ª - Sim, a vida não tem preço</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. ACREDITO QUE PACIENTES COM FUNÇÃO MOTORA MELHOR COMO OS TIPOS 2, 3 OU 4 POSSAM SE BENEFICIAR MAIS DO QUETIPO 1 ONDE O COMPROMETIMENTO RESPIRATÓRIO ACONTECE MUITO BREVE QUANTO AO INÍCIO DA DOENÇA. PROPONHO TAMBÉM QUE O CUSTO DO MEDICAMENTO PRO SUS SEJA MENOR PARA NÃO HONERAR A SAÚDE DO PAÍS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, O VALOR DO TRATAMENTO ATUAL É O QUE MAIS IMPACTA NEGATIVAMENTE A AQUISIÇÃO DO FÁRMACO PELO SUS, PORQUE A MELHORA DA FUNÇÃO MOTORA POR POUCA QUE SEJA REPRESENTA UM GANHO SIGNIFICATIVO PRA QUEM ESTÁ DOENTE	
11/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/09/2018	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
11/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há evidências científicas atestando estabilização da doença e bloqueio da degeneração neuronal. Os pacientes com AME tipo 1 não possuem o gene SMN1 o que acarreta a falta da produção da proteína SMN. Spinraza modifica a leitura do gene SMN2 levando à produção da proteína SMN estável e de comprimento normal modificando a história natural dessa doença devastadora.</p> <p>2ª - Sim, Há evidências científicas atestando estabilização da doença e bloqueio da degeneração neuronal. Os pacientes com AME tipo 1 não possuem o gene SMN1 o que acarreta a falta da produção da proteína SMN. Spinraza modifica a leitura do gene SMN2 levando à produção da proteína SMN estável e de comprimento normal modificando a história natural dessa doença devastadora.</p> <p>3ª - Sim, Pacientes com AME tipo 1 internados em unidades de terapia intensiva em hospitais gerais do estado já precisando de ventilação mecânica custam tão quanto ou mais caro por ano do que o preço da medicação. A medicação evita quando prescrita precocemente a evolução para suporte ventilatório invasivo.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/09/2018	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>	
11/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existe benefícios sim para os pacientes e o SUS deve ser o órgão a garantir o medicamento para os usuários.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/09/2018	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
12/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Devido ao custo altíssimo para a população comum, torna-se obrigação do governo fornecer esse medicamento aos pacientes, principalmente tendo em vista que é o ÚNICO tratamento capaz de amenizar os sintomas. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O artigo 196 da C.F/1988 diz: "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." Sendo direito de todos e DEVER do Estado, a recomendação preliminar do CONITEC é descabida, a medida que preoniza extamente o contrário do que diz na lei maior brasileira, CF/88, desta forma todo e qualquer tratamento necessário, inclusive para doenças que ainda não possuem uma cura, devem ser atendidas pelo SUS, de tal maneira a garantir o mínimo de saúde do paciente e, ao mesmo tempo, estar em conormidade com o que dispõe a carta magna. 2ª - Não 3ª - Sim, O custo do tratamento deve ser o último ponto a ser observado quando se fala em suporte ao atendimento do paciente acometido pela doença estudada. A carta magna é clara e objetiva, não restando dúvidas de que o estado DEVE garantir esse direito. 4ª - Não 5ª - Sim, O direito a saúde é um direito fundamental e deve ser garantida pela estado.	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Já existe padronizada a liberação da Anvisa em bula para sua utilização no diagnóstico de amiotrofia espinhal</p> <p>2ª - Sim, Evidência clínica</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O paciente não tratado também impactará em orçamento</p> <p>5ª - Não</p>	
12/09/2018	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>	
12/09/2018	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>	
12/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Gostaria de fornecer uma opinião pessoal, pois os argumentos até então são de cunho clínico/econômico. Após 12 anos na medicina, sendo os últimos 3 anos na genética médica especificamente, posso afirmar a importância desse avanço na vida desses pacientes. As condições genéticas são de difícil controle e poucas possuem tratamento específico. O impacto dos tratamentos curativos e/ou que amenizam os sintomas a ponto de prolongar a expectativa de vida e melhorar a qualidade, é enorme e nos dá esperança de dias melhores para as demais condições ainda em estudo! Infelizmente são medicações que a população em geral não tem condições financeiras de adquirir, então entramos no campo: "quanto vale a vida do seu familiar?". Torço para a melhor decisão ser tomada, em prol dos pacientes, sempre!</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. acredito que os casos devem ser analisados particularmente e liberada a medicação para todos os níveis</p> <p>2ª - Sim, existem já na literatura diversos artigos</p> <p>3ª - Sim, a AME apresenta repercussões em vários sistemas, o uso da medicação pode trazer benefícios, com menos gastos</p> <p>4ª - Sim, acredito que podemos sim ter um impacto referente a internações e uso de equipamentos</p> <p>5ª - Sim, a AME apresenta repercussões em vários sistemas, o uso da medicação pode trazer benefícios, com menos gastos</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>
12/09/2018	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>	
12/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é a única forma de melhorarmos a qualidade de vida desses pacientes afetados, portanto faz-se necessário a utilização exclusivamente dela.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Deve ser oferecido pelo SUS</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
12/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo pois na minha prática e experiência clínica acompanho pacientes com AME 5q tipo 1 e 2 que estão tendo excelentes resultados com o uso da medicação Spinraza. Esses pacientes estão atingindo marcos motores até então inimagináveis para pacientes com AME. além de uma grande melhora na sua qualidade de vida.</p> <p>2ª - Sim, Sou fisioterapeuta, e hoje acompanho 11 pacientes com AME, dos quais 6 utilizam o Spinraza. Fazemos a avaliação de todos os pacientes antes e após cada dose do medicamento com as escalas de função motora oficiais para patologia (Chop Intend e Hammersmith) conforme orientação internacional. Todos os meus pacientes apresentaram melhora após uso da medicação, não apenas da função motora, como da função respiratória também, atingindo marcos motores até então inimagináveis para pacientes com essa patologia. Meus pacientes não apresentaram nenhum efeito colateral após as aplicações. Os benefícios foram observados até em pacientes com mais idade e com traqueostomia, como exposto abaixo: Um paciente com AME 1, que começou a receber a medicação com 5 anos, e hoje está com 6, começou a ter controle de cabeça, consegue ficar 3 horas sentado e/ou em pé com auxílio de órteses, e respira espontaneamente, em ar ambiente, precisando de auxílio do BIPAP por máscara não invasiva apenas para dormir. Pilota a sua cadeira de rodas motorizada sozinho. Todas essas conquistas não seriam possíveis sem o uso do Spinraza. Outra paciente de 1 ano, traqueostomizada, começou a tomar a medicação com 9 meses, começou a ter controle de cabeça e voltou a mexer os braços após a terceira dose. Isso não seria possível sem o uso do Spinraza. À disposição para demais dados e esclarecimentos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem casos de melhora significativa em pacientes que foram submetidos ao 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
12/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Fiz alguns diagnósticos ao longo de quase 40 anos de carreira, vi os pacientes morrer e nada pude fazer para dar esperanças, minimizar seu sofrimento e de suas famílias. 2ª - Sim, experiencia clínica. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A aprovação regulatória da ANVISA baseou-se principalmente em resultados de dois estudos pivotais, multicêntricos, controlados: ENDEAR (pacientes com início dos sintomas de AME 5q até seis meses de idade, compatível com tipo 1) e uma análise interina do estudo CHERISH (pacientes com início dos sintomas de AME 5q após os seis meses de idade, compatível com AME tipo 2 e 3). Esses estudos demonstraram eficácia clinicamente relevante e estatisticamente significativa, além de perfil de segurança favorável para SPINRAZA® (nusinersena). A aprovação também foi apoiada por dados de estudos abertos em indivíduos sintomáticos, com AME tipo 1, 2 e 3. O processo de desenvolvimento clínico de um medicamento requer estudos para atestar a eficácia e a segurança. Tais estudos devem incluir pacientes selecionados criteriosamente, com critérios de inclusão e exclusão pré-definidos, para que os resultados sejam válidos. É importante salientar que um critério de exclusão não significa uma contra-indicação, mas significa que uma condição clínica específica não foi avaliada em dado estudo.</p> <p>2ª - Sim, Segue abaixo Declaração da BiogenO uso de nusinersena está aprovado para todos os subtipos de AME em virtude dos resultados alcançados nos estudos clínicos [3–9], que demonstram benefício de sobrevida e alcance de marcos motores nunca antes vistos em pacientes com AME, e também pelo fato de o mecanismo causador da doença ser comum a todos os subtipos de AME 5q. • A aprovação regulatória do medicamento pela Anvisa, agência regulatória brasileira, baseou-se, principalmente, em dois estudos de fase 3, controlados e multicêntricos: ENDEAR (AME de início infantil, compatível com o tipo 1)[4] e CHERISH (AME de início intermediário, compatível com tipos 2/3)[7,10]. Estes estudos demonstraram eficácia clinicamente relevante e perfil de segurança favorável para a terapia e englobaram diferentes populações de pacientes com AME. Comprovou-se que nusinersena pode proporcionar um padrão de resposta sem precedentes, com marcos motores nunca observados no curso natural da doença. No momento da aprovação, a Anvisa salientou a importância do registro do medicamento para a comunidade AME, que, até então, não contava com tratamentos disponíveis para evitar a perda de função motora e respiratória dos pacientes ao longo da progressão da doença.</p> <p>3ª - Sim, A empresa Biogen afirma que não tem um valor estimado para o teto de gastos. O limite seria estabelecido com dados do governo e de associações sobre o número de pacientes que serão atendidos. A Biogen diz que cobrirá os gastos "acima" deste teto. ou seja uma proposta melhorhttps://www.jota.info/tributos-e-empresas/saude/biogen-faz-pacote-para-incorporar-tratamento-milionario-ao-sus-30052018</p> <p>4ª - Sim, Carga tributária de remédios do Brasil é a maior do mundoO tributo sobre o item no País é de 33,87%, nos remédios importados, e de 30% sobre os nacionais, aponta o IBPTAssim como alguns estados abriram mão do alto valor de cobrança de impostos nos remédios importadoshttp://diariodonordeste.verdesmares.com.br/cadernos/negocios/carga-tributaria-de-remedios-do-brasil-e-a-maior-do-mundo-1.1633890</p> <p>5ª - Sim, Todos tem direito, inclusive os pacientes com AME,,,segue exemplo de investimento feito pelo SUSCirurgias de mudança de sexo são realizadas pelo SUS desde 2008Para obter atendimento os pacientes devem atender requisitos como: maioridade, acompanhamento psicoterápico por pelo menos dois anos,</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		laudo psicológico/psiquiátrico favorável e diagnóstico de transexualidade <a href="http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008">http://www.brasil.gov.br/cidadania-e-justica/2015/03/cirurgias-de-mudanca-de-sexo-sao-realizadas-pelo-sus-desde-2008</a>	
12/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Os estudos indicam melhora em marcos motores nos pacientes, porém os benefícios sustentados e impacto funcional à longo prazo ainda estão em avaliação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
12/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Precisamos receber e incluir esse medicamento para o tratamento de pacientes com atrofia muscular.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/09/2018	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>	
12/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. liberam o medicamento no SUS assim vao salvar vidas de muitas crianças.</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
12/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não é justo para todos os pacientes com essa doença , eles precisam muito desse remédio e o tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essas crianças precisam dessa chance para viverem!</p> <p>2ª - Sim, Impacto orçamentário não é parâmetro para uma criança não ter direito a qualidade de vida.</p> <p>3ª - Sim, Impacto orçamentário não é parâmetro para uma criança não ter direito à vida.</p> <p>4ª - Sim, Somente esse remédio pode dar a chance de vida que essas crianças precisam.</p> <p>5ª - Sim, Deem uma chance para essas crianças viverem.</p>	
13/09/2018	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>	
13/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Ame não tem cura , mas esse medicamento contém a evolução da doença e fornece qualidade de vida para essas crianças. Sem esse medicamento o prognóstico é muito ruim.</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
13/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Considerando que o teste do remédio obteve o efeito de melhora em 50% dos pacientes de AME e estabilização da doença nos outros 50%, a eficácia deve ser tratada como sucesso já que a doença é progressiva e a expectativa de vida pode ser aumentada sensivelmente com o tratamento. 50% de esperança de melhora ou até mesmo de impedimento do avanço da doença deveria ser tratado como um tratamento 100% eficaz para quem tem atrofia muscular espinhal.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Minha explicação foi: Considerando que o teste do remédio obteve o efeito de melhora em 50% dos pacientes de AME e estabilização da doença nos outros 50%, a eficácia deve ser tratada como sucesso já que a doença é progressiva e a expectativa de vida pode ser aumentada sensivelmente com o tratamento. 50% de esperança de melhora ou até mesmo de impedimento do avanço da doença deveria ser tratado como um tratamento 100% eficaz para quem tem atrofia muscular espinhal. Nesse país tem-se dinheiro pra tudo de interesse pessoal dos nossos políticos mas, disponibilizar dinheiro para um tratamento que prolonga a vida de um doente, infelizmente é tratado como desperdício de dinheiro.</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
13/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Considero que o cenário ideal seria o de aprovação condicional, após redução dos preços praticados em negociação com o fornecedor</p> <p>2ª - Sim, Sou médico neurologista e geneticista com atuação específica em doenças genéticas com manifestação neuromuscular, entre elas a atrofia muscular espinhal. Em primeiro lugar gostaria de destacar a importância da avaliação da incorporação de novas tecnologias no cenário das doenças raras e o papel governamental neste processo ao demandar por sua Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos a avaliação da incorporação do tratamento com nusinersena para a atrofia muscular espinhal no Brasil. O documento técnico apresentado neste pedido de incorporação é extremamente detalhado e demonstra a qualidade do grupo elaborador na realização deste tipo de avaliação, em especial no que tange o modelo econômico apresentado. Como especialista e médico assistente na área tenho o viés de querer oferecer o melhor tratamento disponível para os pacientes e famílias que atendo, entretanto como pesquisador e docente tenho a noção do desafio que teremos na avaliação da incorporação de novas tecnologias, em especial de doenças raras e genéticas, em que estamos vivenciando uma verdadeira revolução, seja com medicamentos que atuam modificando os mecanismos moleculares e genes modificadores das doenças como no caso da AME, ou a própria terapia gênica ou tratamentos com RNA de interferência que obtiveram recentes aprovações em agências regulatórias internacionais como o FDA para outras doenças. Estas novas tecnologias trazem grandes esperanças de tratamento para condições antes sem opções de modificação de seu curso natural, entretanto estão atrelados a custos muito elevados. O ponto principal de meu comentário é que esta avaliação de incorporação da nusinersena no SUS pode ser um modelo para futuros pedidos de incorporação de novas tecnologias em um cenário semelhante e que o efeito da decisão sobre tal pedido pode trazer repercussões que ultrapassam o cenário da AME, potencialmente atingindo outras doenças raras genéticas ou não. Ao revisar o documento fica evidente que os critérios de avaliação dos estudos e de relevância dos desfechos que foram utilizados são os mesmos adotados para avaliação de doenças comuns e multifatoriais que em geral terão maior enfoque em mortalidade e em desfechos de qualidade de vida. O estudo publicado por Finkel e cols que avaliou o tratamento com nusinersena em pacientes com AME tipo I utilizou como desfecho primário o ganho de marcos motores pela escala HINE e um desfecho combinado de morte ou ventilação mecânica permanente. Este estudo avaliou 80 pacientes no grupo tratado e 41 pacientes no grupo controle (sham) o que é um número grande de indivíduos considerando estudos em doenças raras. Os revisores consideraram que a não estratificação para alguns fatores que poderiam atuar como confundidores dos resultados (uso de ventilação mecânica, idade no momento do diagnóstico, etc.) seriam um potencial viés, bem como apontam como potencial viés a ausência de testes estatísticos na “Tabela 1”. Desta forma, o estudo foi considerado como de qualidade metodológica moderada. Ao revisar a “Tabela 1”, Quadro 4 do parecer, nota-se que estes pontos levantados pelos elaboradores podem sugerir algum viés de seleção como no percentual de pacientes em suporte ventilatório 26% no grupo do tratamento ativo vs 15% no grupo SHAM, escores CHOP-INTEND cerca de 2/64 pontos maiores no grupo SHAM (maiores escores estão associados a melhor performance) e escores HINE-2 0.25/26 pontos maiores no grupo SHAM (novamente maiores escores estão associados a melhores performances). Todos estes números caso indiquem viés, apontariam para um viés conservador em que haveria um número maior de pacientes mais graves (com</p>	

menor chance de resposta terapêutica) no grupo de tratamento ativo do que no grupo controle. Saliento que a presença do nível de significância na “Tabela 1” de estudos clínicos é opcional e em geral, em especial em revistas clínicas de maior impacto, este valor não é considerado necessário. Caso este ponto fosse crucial, com os dados fornecidos os valores de p seriam facilmente calculados. Os autores consideram a evidência moderada devido a estes vieses. Cabe salientar que ao utilizar o sistema GRADE estudos com grandes magnitudes de efeito em geral tem seu nível de evidência aumentado. No caso do desfecho primário o percentual de crianças que tiveram ganhos de marcos motores na escala HINE-2 foi de 41% no grupo de tratamento ativo após ao menos 6 meses de tratamento contra 0% no grupo SHAM. Ou seja, uma diferença absoluta de 41% no grupo tratado, não sendo possível calcular a diferença relativa, pois nenhuma criança no grupo SHAM apresentou melhora. A diferença relativa seria enorme. Em outras palavras, as crianças com AME tipo I após o início dos sintomas apenas apresentam perdas dos marcos motores já atingidos e não conseguem adquirir novos marcos do desenvolvimento. Estas crianças não desenvolvem a capacidade de sentar e com o tratamento, na análise final metade das crianças tratadas conseguiram apresentar marcos do desenvolvimento, o que representaria uma NNT de 2 para ganhos de marcos do desenvolvimento. O tamanho de efeito sobre mortalidade/ventilação mecânica foi menor, apesar de uma diferença absoluta de 31% entre os grupos. O que representaria um NNT de 4 para evitar morte ou necessidade de ventilação mecânica. A AME é uma doença crônica e negligenciada e conforme bem abordado no parecer houve aumento de sobrevida da AME tipo I ao longo dos anos em especial devido ao acesso a medidas de suporte, sendo possível estender em anos a sobrevida de um paciente com medidas de suporte de vida. Com esta informação em mente, parece claro que para a AME tipo I, a mortalidade não deveria ser um desfecho considerado principal (e sim secundário), e que medidas de funcionalidade teriam maior relevância. Em outras palavras, busca-se um tratamento que aumente a capacidade motora destas crianças mais do que um tratamento que apenas aumente a sobrevida, pois as medidas de suporte de vida já atingiriam este último objetivo (caso fosse a opção da família e equipe assistente). Saliento também que avaliação de qualidade de vida de lactentes é muito difícil, o que complica a utilização deste tipo de desfecho. Os autores do parecer desconsideraram os resultados de ensaio clínico randomizado de fase 3 que comprovava a eficácia da nusinersena (porém com menor magnitude de efeito) em escalas validadas para a AME tipo 2 e 3 com critérios de seleção estritos (talvez porque o estudo não apresenta resultados de mortalidade). Cabe salientar que a AME tipo 2 reduz a sobrevida dos pacientes, mas em geral os mesmos chegam até a 2ª a 5ª décadas de vida e que a AME tipo 3 não altera a sobrevida dos afetados. Ou seja, teríamos de ter um estudo conduzido por décadas para observarmos efeitos de mortalidade nesta população, o que não é factível. O estudo de MERCURI et al., 2018 mostra melhora na escala Hammersmith Functional Motor Scale Expanded no grupo tratado de 3,9/66 pontos contra uma piora de 1 ponto no grupo SHAM, ou seja uma diferença de 4,9/66 pontos (IC 95% de 3.1 to 6.7) após 15 meses de tratamento, o que está acima de 3 pontos que seria a diferença mínima clinicamente relevante considerada para esta escala. Como argumento adicional os relatores sugerem que o não entendimento do efeito do medicamento sobre o motoneurônios seria mais um viés para considerar frágeis os resultados. Este argumento me parece um pouco estranho, pois existe plausibilidade biológica de efeito do medicamento na causa da doença e foi observado benefício clínico. O

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>entendimento sobre o modo como o neurônio se recupera da lesão é de extremo interesse científico, porém não altera em nada o fato de ter sido observado um benefício clínico. Em resumo, considero que a análise foi excessivamente rigorosa na avaliação do nível de evidência do estudo para AME tipo I e que um possível desconhecimento sobre quais seriam os desfechos mais relevantes para esta doença fizeram com que os revisores desconsiderassem os estudos nas formas mais tardias da doença. Mesmo assim, considerando recentes aprovações de incorporações em doenças raras, a classificação como evidência moderada não parece ter tido o peso principal para a decisão da plenária, mas sim a análise econômica.</p> <p>3ª - Sim, Sobre o modelo econômico, não tenho base suficiente para revisar os cálculos realizados, contudo faço alguns comentários sobre as premissas utilizadas. Conforme já salientado considero que os benefícios motores (estágio de doença, ou percentual de pacientes com ganhos de marcos) seriam desfechos mais relevantes do que mortalidade para a construção do modelo. Saliento que em recentes avaliações para incorporações de tecnologias pela CONITEC foi considerado que o tratamento com laronidase seria eficaz em pacientes com Mucopolissacaridose tipo 1 a partir de resultados em desfechos como capacidade de flexão do ombro, sendo emitida uma recomendação fraca, mas favorável à incorporação do medicamento (<a href="http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2017/Relatorio_Laronidase_Mucopolissacaridosel_CP23_2017.pdf">http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2017/Relatorio_Laronidase_Mucopolissacaridosel_CP23_2017.pdf</a>). Ou seja, no caso da AME teríamos evidências mais robustas, inclusive com evidência de diferenças sobre mortalidade, entretanto a robustez dos dados e tamanho de efeito, que tem pouco paralelo no contexto de doenças raras, parecem ter levado aos revisores equivocadamente a tratarem a condição como uma doença comum, talvez porque o modelo com mortalidade seriam mais simples de ser construído. Outro dado que me chamou atenção, é que o modelo construído para a avaliação econômica da AME utiliza como base de preços o que seria pago para o tratamento da doença de Gaucher. Cabe ressaltar que no principal estudo com a alfataglucerase, o medicamento de escolha para a doença de Gaucher para pacientes acima de 18 anos, segundo o PCDT de 2014, a eficácia do medicamento foi avaliada através de redução do volume esplênico após cerca de 9 meses de tratamento (As demais formas de reposição enzimática para esta condição também foram consideradas eficazes por melhora no volume hepático e esplênico, além de parâmetros como hemoglobina e plaquetas). Ou seja, o preço utilizado como base, seria um preço para um benefício em um desfecho intermediário, de relevância clínica bem mais questionável do que o que foi observado na AME. Ou seja, elegeu-se para a construção do modelo um desfecho duro, mais usado em doenças comuns, mas para modelagens do cálculo de preço foram utilizados valores praticados em outras doenças raras que tiveram a eficácia comprovada por desfechos intermediários. Minha intenção não é desqualificar o trabalho realizado em incorporações passadas para tratamentos em doenças raras, e nem o presente trabalho que avalia a incorporação da nusinersena para AME, mas sim mostrar a complexidade do cenário de avaliação de tecnologias em saúde para doenças raras. Também aponto que uma eventual negativa de incorporação, utilizando modelos econômicos para doenças comuns, pode eventualmente manter o cenário atual de judicialização deste medicamento, que tem evidência de eficácia.</p> <p>4ª - Sim, Independentemente do modelo econômico a ser utilizado nesta incorporação, certamente os valores totais serão muito elevados, e a preocupação com a sustentabilidade do SUS deve ser uma</p>	



preocupação de todo o brasileiro. Imagino que os gestores em saúde possam ver este cenário de novas tecnologias em doenças raras na prática clínica (que só tenderá a aumentar) como um cenário adverso, devido ao enorme custo ao sistema de saúde que tais tecnologias trarão. Imagino também que todos compartilham das expectativas de que os resultados destes estudos possam trazer opções mais eficazes de tratamento, como já parece ser o caso da nusinersena para a AME, e com isso uma melhora na vida dos indivíduos com doenças raras e seus familiares. Entretanto, penso que podemos ver este cenário como uma oportunidade e não só como ameaça e que podemos pensar no caso da nusinersena como um paradigma para outros tratamentos eficazes para condições semelhantes que teremos nos próximos anos.

5ª - Sim, Há uma escassez de dados epidemiológicos nacionais sobre doenças raras, bem como sobre os custos relacionados ao atendimento destes indivíduos no contexto do SUS. Os estudos avaliados não apresentam ainda dados de extensão com resultados a longo prazo. Considero, portanto que uma saída para a AME e para outras condições seria, a critério da plenária da CONITEC e se for possível legalmente, criar uma nova condição de aprovação de incorporação de tecnologias, que seria a aprovação condicional. Há modelos semelhantes em agências regulatórias internacionais como o EMA, porém não tenho ciência de modelo similar para incorporação em sistemas similares ao SUS. A ideia seria, caso a tecnologia pareça eficaz, mas ainda não seja possível estimar um impacto real orçamentário e nem os benefícios principais, de liberar a prescrição do medicamento apenas em serviços de referência vinculados ao SUS no país. Com a Portaria GM/MS nº 199 de 30/01/2014 existe atualmente a figura dos serviços de referência em doenças raras e serviços de atenção especializada. O tratamento poderia no caso de aprovações condicionais ficar restrito a tais centros e os centros teriam de realizar um registro de todos os casos tratados, utilizando escalas clínicas validadas e padronizadas, bem como avaliando os custos associados ao tratamento. Após período de 1 ou 2 anos (ou mais, dependendo da doença) tais resultados seriam submetidos a CONITEC e seria elaborado um parecer definitivo sobre a ampla incorporação ou não do medicamento no contexto do SUS. No caso de aprovações condicionais, poderia ser acordado com o fabricante que o mesmo ficaria obrigado a financiar os custos relacionados ao registro clínico dos pacientes nesta fase de aprovação condicional. Tais recursos deveriam ser destinados ao órgão governamental específico, que ficaria obrigado a abrir edital em que apenas os serviços de referência em doenças raras e serviços de atenção especializada pudessem concorrer para poderem realizar a avaliação do uso condicional do medicamento no país. Julgo fundamental um planejamento para enfrentamento de situações semelhantes nos próximos anos e creio que decisões mais complexas (que imagino que já devam estar sendo elaboradas), e que envolvam um trabalho conjunto entre diferentes agências governamentais, especialistas, associações de pacientes e mesmo indústria tenham de ser pensadas para não atentarmos contra a sustentabilidade do SUS, mas também para que possamos manter a integralidade do cuidado e equidade de acesso à saúde conforme os princípios norteadores do sistema.

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Já existe aprovação em órgãos internacionais respeitados, em países com maior amplitude de estudos científicos, com documentação comprobatória.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A constituição Federal precisa ser implementada .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. ACOMPANHANDO A ROTINA DESTAS CRIANÇAS PERCEBE-SE O QUANTO SÃO LIMITADAS À VIDA E AO RECEBER DOSES (POR DOACOES) A MELHORA É NITIDA PARA QUALQUER LEIGO DO ASSUNTO.SAUDE É DIREITO DE TODOS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Penso que as pessoas portadoras desta doença merecem viver, no entanto elas tem direito a um tratamento me se existe o remédio deve ser fornecido pelo SUS.</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
13/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, 5ª - Sim,	
13/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há possibilidade de melhorar a condição e vida das pessoas portadoras, basta que seja incorporado. Não temos o direito de dar a sentença de morte para essas crianças e nós cidadãos pagamos nossos impostos para garantir justamente o acesso a saúde e educação. Observem o caso do Joao e Miguel, ambos obtiveram melhora expressiva nas 2 primeiras aplicações. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
13/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
13/09/2018	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
13/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O paciente q recebeu o medicamento ...houve resposta é melhora após o seu uso.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Considerando que o teste do remédio obteve o efeito de melhora em 50% dos pacientes de AME e estabilização da doença nos outros 50%, a eficácia deve ser tratada como sucesso já que a doença é progressiva e a expectativa de vida pode ser aumentada sensivelmente com o tratamento. 50% de esperança de melhora ou até mesmo de impedimento do avanço da doença deveria ser tratado como um tratamento 100% eficaz para quem tem atrofia muscular espinhal.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por que saúde tem que estar em primeiro lugar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um problema grave que afeta muitas pessoas, e que se não fizerem o tratamento as mesmas vão morrendo aos poucos, não pode haver falta de interesse por falta do governo em procurar ajudar essas pessoas !</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, O governo não pode se mostrar omissos diante de um problema tão grave quanto esse, o direito à vida está previsto na constituição.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acompanhei pelo Instagram o desenvolvimento de uma criança brasileira desde que tomou a primeira dose do medicamento e só vi pontos positivos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Este medicamento fara que a doença não se manifeste e assimOs paciente tera uma qualidade de vida melhor.pois muitos estão morrendo sem o tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Tem que beneficiar a todos pacientes desde o nascimento.e dar preferência as famílias de renda baixa.</p> <p>4ª - Sim, Nosso país tem condições de arcar com este custo elevado sim.pagamos tantos impostos. E também e só ter uma revisão nos salários e benefícios que muitos político tem.</p> <p>5ª - Não</p>	
14/09/2018	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
14/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Contribuição Técnica Científica Sobre Doenças Raras (DR) e novos medicamentos a serem incluídos na RENAME caminhamos num círculo vicioso e paradoxal, porque independentemente do tipo de medicamentos ou de patologia ao qual ele é indicado, a maioria dos pareceres finais de recomendação da CONITEC, são similares. As conclusões são sempre as mesmas: a) Impossibilidade de avaliar eficácia, segurança e custo-efetividade dos tratamentos, porque a literatura nacional é insuficiente e a literatura internacional é inconclusiva. Os fatores causais dessas impossibilidades são sempre os mesmos. O número de pacientes participantes das pesquisas clínicas (Doença rara); curta duração da pesquisa, basicamente só o período de tempo, que interessa às farmacêuticas (média 2 anos), que também são as grandes financiadoras desse tipo de pesquisa clínica; avaliação isolada dos efeitos positivos e negativos desses tratamentos, não levando em conta, os desfechos das ações terapêuticas não medicamentosas que já praticadas há muitos anos em nosso meio e o “plus” das mudanças causadas pelos novos medicamentos, quando elas se apresentam, sem avaliação qualitativa ou quantitativa. Isso tudo, somado a inviabilidade de estudos randomizados multicêntricos “de peso” no mundo todo, com resultados publicados na literatura científica e passíveis de análise à luz das “ferramentas” da Medicina Baseada em evidência e da Avaliação de Tecnologia em Saúde; b) A única evidência consistente é de que a incorporação desses medicamentos ao RENAME poderá comprometer a sustentabilidade econômica do SUS. Afirmação essa, que ignora que a sustentabilidade econômica e a integridade do SUS estão sob-risco, já que a via judicial é o caminho utilizado pelos doentes e seus familiares para garantir o acesso a esses medicamentos. Lembrando que, a compra de medicamentos por via judicial pelas instâncias federativas do SUS, é feita com o “preço cheio” e com impostos governamentais (40% acima do valor do custo do remédio, em média), sem a participação da farmacêutica nos processos oficiais de compra por licitação pública e ou sem negociação comercial prévia de compra pelas instâncias do SUS, por via administrativa. Os preços praticados para compra pelos estados e municípios, são na realidade, muito diferentes e muito maiores, daqueles apresentados da avaliação custo-efetividade, desse relatório de recomendação. Pior ainda, quando o relatório de recomendação, apresenta uma análise Custo-Efetividade (ACE), comparando medicamentos de classes terapêuticas diferentes como nusinersena (terapêutica gênica), com o custo do tratamento da Doença de Gaucher (terapia de reposição enzimática). Esse tipo de análise comparativa parece irracional e que confunde ainda mais, o entendimento desse segmento do relatório de recomendação. c) Dados epidemiológicos de doenças raras no Brasil, em geral, são escassos, para uma formulação de uma recomendação favorável e racional, pela CONITEC. Isso acontece porque não temos Registro Nacional dessa patologia (Síndrome de Bebê Hipotônico ou Paralisia Flácida). Essa entidade clínica AME tipo I, II, III, não é uma doença de notificação compulsória, mesmo sendo o principal diagnóstico diferencial de Paralisia Infantil, em crianças menores de três anos. A Paralisia Infantil é uma doença de notificação compulsória, já na fase da suspeita clínica, de forte vigilância epidemiológica, realizada pelo Ministério da Saúde, Centros estaduais de Vigilância Epidemiológica e pelos Grupos municipais de Vigilância Epidemiológica, no país todo. Um grande desafio na prática clínica médica é o diagnóstico diferencial das doenças neuromusculares, cuja manifestação clínica ocorre nos primeiros anos de vida, ou seja, em crianças menores de 3 anos de idade (60% dos casos de AME). Lembrando, que o comprometimento do neurônio motor periférico tem duas etiologias mais frequentes, nessa</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>faixa etária: causa genética, amiotrofia espinal infantil (tipos I, II, III); causa adquirida, enterovirose, principalmente poliomielite*. A primeira manifestação clínica de AME, aquelas que fazem os pais e/ou responsáveis por crianças pequenas, buscarem os Serviços de Saúde de Urgência e Emergência é a paralisia flácida (hipotonia muscular) e ou o desconforto respiratório, com ou sem infecção respiratória secundária, causada pela lesão da musculatura respiratória acessória. O conjunto de sinais e sintomas citados pelo MS (<a href="http://portalms.saude.gov.br/saude-de-a-z/poliomielite">http://portalms.saude.gov.br/saude-de-a-z/poliomielite</a>) para a triagem clínica de poliomielite: febre, dor na garganta e na cabeça, vômitos, mal estar, dor nas costas ou rigidez muscular (principalmente nos membros inferiores) e irritação meníngea, podem ser manifestação de AME e/ou Paralisia Infantil, lembrando que os sintomas referidos nesse algoritmo, só podem ser relatados por pessoas que conseguem verbalizá-los. Já sinais como: febre, vômitos, irritabilidade, choro imotivados, são considerados respostas sistêmicas inespecíficas manifestadas por crianças pequenas frente aos processos de estresse físico e emocional. Então, qualquer tipo de paralisia flácida ou hipotonia muscular em crianças menores de três anos de idade, deveria realizar o algoritmo de avaliação no diagnóstico diferencial entre AME e Poliomielite. Melhoraríamos a vigilância sanitária para Poliomielite. Para AME, a eletromiografia seguida do estudo genético confirmaria o diagnóstico. A notificação compulsória seria feita para ambas. Importante lembrar, que as crianças com AME e Poliomielite tem capacidade cognitiva e intelectual normal.*Fonte: REED, U. Doenças neuromusculares. Jornal de Pediatria - Vol. 78, Supl.1, pg 89- 103, 2002.A reversão e ou amortização dos danos de órgão vitais, como: disfunção dos músculos acessórios respiratórios, levando a insuficiência respiratória e dependência de oxigênio terapia; coração, com a consequente miocardiopatia e insuficiência cardíaca; músculos da coluna vertebral e articulares com escolioses e deformidades articulares, levando a intervenção cirúrgica que poderão agravar, ainda mais, as dificuldades respiratórias nos casos de deformidades de coluna. Elas dependem de uma assistência integral às necessidades terapêuticas das paralisias flácidas. Pensamos que estamos há anos luz, em nosso país, para diagnosticarmos e tratarmos essas crianças, com a velocidade que elas precisam ser tratadas, para obtermos os resultados, que esse novo medicamento, se propõe. Há não ser que mudemos a realidade da assistência a essas crianças.Os diversos problemas que afetam essas crianças poderão ser minorados com o apoio das equipes multidisciplinares que incluam neuropediatras, neurologistas, fisiatras, ortopedistas, psicólogos, cardiologistas e especialistas das funções respiratórias, que deverão integrar os Serviços de Referência de Doenças Raras e de Atenção Especializada, como o previsto na Política Nacional de Atenção de Integral à Pessoa com Doença Rara (Portaria MS /GM nº199 de 31 de janeiro de 2014), que contempla o diagnóstico genético da AME. O grande paradoxo é que ao fazermos o diagnóstico clínico e confirmarmos geneticamente o diagnóstico de AME 5q, estaremos aumentando a demanda pelo acesso ao medicamento, pela via judicial.Antecedentes Históricos que justificam mudanças no relatório de recomendaçãoLembro que após o advento da epidemia da AIDS e da organização de grupos de pacientes e familiares, surgiu uma demanda para possibilitar a continuidade do uso de drogas pelos participantes após o término dos estudos, e também para possibilitar o uso assistencial de drogas que ainda estão sendo investigadas por pacientes que não participam dos estudos. Um dos motivos alegados foi o longo período de tempo necessário para a realização dos diferentes projetos de pesquisa com a nova droga e a sua adequada avaliação regulatória por parte das agências. Com isso, surgiram novas possibilidades de acesso especial a</p>	

drogas ainda em investigação, através de extensões de uso, uso compassivo ou programas de acesso expandido. Os projetos de extensão propiciam que os participantes de um estudo que utiliza uma nova droga continuem a ter acesso à mesma após o término do estudo ao qual estavam vinculados. O uso compassivo e o acesso expandido ampliam a utilização dessas drogas experimentais para outros pacientes. O uso compassivo possibilita que um paciente específico, com risco de vida e sem tratamento convencional disponível, possa ter acesso a uma nova droga experimental, independentemente da fase na qual a pesquisa se encontra. O programa de acesso expandido possibilita o uso de uma droga experimental, com processo de liberação para uso assistencial já encaminhado, em um grande número de pacientes que já podem se beneficiar com o seu uso. Fonte: GOLDIM, J. R. O uso de drogas ainda experimentais em assistência: extensão de pesquisa, uso compassivo e acesso expandido. Rev Panam Salud Publica/Pan Am J Public Health 23(3), 2008. A ANVISA na resolução de recomendação - RDC Nº 38, de 12 de agosto de 2013 aprovou o regulamento para os programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. A patologia AME preenche todos os pré-requisitos de uma doença a ser incluída num Programa de Uso Compassivo. Não temos bancos de informações sobre paralisia flácida acometendo crianças pequenas hoje, não nos propomos montá-los. Para informações futuras sobre os desfechos terapêuticos quanto à eficiência, eficácia, efetividade dos tratamentos e segurança, tanto os medicamentosos, quanto não medicamentosos, por tanto, sempre dependeremos dos conhecimentos adquiridos e publicados por pesquisadores de outros países, ignorando a experiência nacional. A recomendação da inclusão ou não do nusinersena no RENAME, para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal 5q tipo I, deveria ser a recomendação da construção de um Programa Nacional de Uso Compassivo para medicamentos órfãos e doenças raras, de acordo com RDC 38 ANVISA. O nusinersena e a AME seriam o “piloto” de um programa para doenças, dessa natureza. Caso contrário os relatórios de recomendação da CONITEC continuaram num círculo vicioso e paradoxal, fato que não atende a essa demanda nacional.

2ª - Sim, Contribuição Técnica Científica Sobre Doenças Raras (DR) e novos medicamentos a serem incluídos na RENAME caminhamos num círculo vicioso e paradoxal, porque independentemente do tipo de medicamentos ou de patologia ao qual ele é indicado, a maioria dos pareceres finais de recomendação da CONITEC, são similares. As conclusões são sempre as mesmas: a) Impossibilidade de avaliar eficácia, segurança e custo-efetividade dos tratamentos, porque a literatura nacional é insuficiente e a literatura internacional é inconclusiva. Os fatores causais dessas impossibilidades são sempre os mesmos. O número de pacientes participantes das pesquisas clínicas (Doença rara); curta duração da pesquisa, basicamente só o período de tempo, que interessa às farmacêuticas (média 2 anos), que também são as grandes financiadoras desse tipo de pesquisa clínica; avaliação isolada dos efeitos positivos e negativos desses tratamentos, não levando em conta, os desfechos das ações terapêuticas não medicamentosas que já praticadas há muitos anos em nosso meio e o “plus” das mudanças causadas pelos novos medicamentos, quando elas se apresentam, sem avaliação qualitativa ou quantitativa. Isso tudo, somado a inviabilidade de estudos randomizados multicêntricos “de peso” no mundo todo, com resultados publicados na literatura científica e passíveis de análise à luz das “ferramentas” da Medicina Baseada em evidência e da Avaliação de Tecnologia em Saúde; b) A única evidência consistente é de que a incorporação desses medicamentos ao



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>RENAME poderá comprometer a sustentabilidade econômica do SUS. Afirmação essa, que ignora que a sustentabilidade econômica e a integralidade do SUS estão sob-risco, já que a via judicial é o caminho utilizado pelos doentes e seus familiares para garantir o acesso a esses medicamentos. Lembrando que, a compra de medicamentos por via judicial pelas instâncias federativas do SUS, é feita com o “preço cheio” e com impostos governamentais (40% acima do valor do custo do remédio, em média), sem a participação da farmacêutica nos processos oficiais de compra por licitação pública e ou sem negociação comercial prévia de compra pelas instâncias do SUS, por via administrativa. Os preços praticados para compra pelos estados e municípios, são na realidade, muito diferentes e muito maiores, daqueles apresentados da avaliação custo-efetividade, desse relatório de recomendação. Pior ainda, quando o relatório de recomendação, apresenta uma análise Custo-Efetividade (ACE), comparando medicamentos de classes terapêuticas diferentes como nusinersena (terapêutica gênica), com o custo do tratamento da Doença de Gaucher (terapia de reposição enzimática). Esse tipo de análise comparativa parece irracional e que confunde ainda mais, o entendimento desse segmento do relatório de recomendação.c)Dados epidemiológicos de doenças raras no Brasil, em geral, são escassos, para uma formulação de uma recomendação favorável e racional, pela CONITEC. Isso acontece porque não temos Registro Nacional dessa patologia (Síndrome de Bebê Hipotônico ou Paralisia Flácida). Essa entidade clínica AME tipo I, II, III, não é uma doença de notificação compulsória, mesmo sendo o principal diagnóstico diferencial de Paralisia Infantil, em crianças menores de três anos. A Paralisia Infantil é uma doença de notificação compulsória, já na fase da suspeita clínica, de forte vigilância epidemiológica, realizada pelo Ministério da Saúde, Centros estaduais de Vigilância Epidemiológica e pelos Grupos municipais de Vigilância Epidemiológica, no país todo. Um grande desafio na prática clínica médica é o diagnóstico diferencial das doenças neuromusculares, cuja manifestação clínica ocorre nos primeiros anos de vida, ou seja, em crianças menores de 3 anos de idade (60% dos casos de AME). Lembrando, que o comprometimento do neurônio motor periférico tem duas etiologias mais frequentes, nessa faixa etária: causa genética, amiotrofia espinal infantil (tipos I, II, III); causa adquirida, enterovirose, principalmente poliomielite*. A primeira manifestação clínica de AME, aquelas que fazem os pais e/ou responsáveis por crianças pequenas, buscarem os Serviços de Saúde de Urgência e Emergência é a paralisia flácida (hipotonia muscular) e ou o desconforto respiratório, com ou sem infecção respiratória secundária, causada pela lesão da musculatura respiratória acessória. O conjunto de sinais e sintomas citados pelo MS (<a href="http://portalms.saude.gov.br/saude-de-a-z/poliomielite">http://portalms.saude.gov.br/saude-de-a-z/poliomielite</a>) para a triagem clínica de poliomielite: febre, dor na garganta e na cabeça, vômitos, mal estar, dor nas costas ou rigidez muscular (principalmente nos membros inferiores) e irritação meníngea, podem ser manifestação de AME e/ou Paralisia Infantil, lembrando que os sintomas referidos nesse algoritmo, só podem ser relatados por pessoas que conseguem verbalizá-los. Já sinais como: febre, vômitos, irritabilidade, choro imotivados, são considerados respostas sistêmicas inespecíficas manifestadas por crianças pequenas frente aos processos de estresse físico e emocional. Então, qualquer tipo de paralisia flácida ou hipotonia muscular em crianças menores de três anos de idade, deveria realizar o algoritmo de avaliação no diagnóstico diferencial entre AME e Poliomielite. Melhoraríamos a vigilância sanitária para Poliomielite. Para AME, a eletromiografia seguida do estudo genético confirmaria o diagnóstico. A notificação compulsória seria feita para ambas. Importante lembrar, que as crianças com AME e Poliomielite tem capacidade cognitiva e</p>	

intelectual normal.\*Fonte: REED, U. Doenças neuromusculares. *Jornal de Pediatria - Vol. 78, Supl.1, pg 89-103, 2002.*A reversão e ou amortização dos danos de órgão vitais, como: disfunção dos músculos acessórios respiratórios, levando a insuficiência respiratória e dependência de oxigênio terapia; coração, com a consequente miocardiopatia e insuficiência cardíaca; músculos da coluna vertebral e articulares com escolioses e deformidades articulares, levando a intervenção cirúrgica que poderão agravar, ainda mais, as dificuldades respiratórias nos casos de deformidades de coluna. Elas dependem de uma assistência integral às necessidades terapêuticas das paralisias flácidas. Pensamos que estamos há anos luz, em nosso país, para diagnosticarmos e tratarmos essas crianças, com a velocidade que elas precisam ser tratadas, para obtermos os resultados, que esse novo medicamento, se propõe. Há não ser que mudemos a realidade da assistência a essas crianças.Os diversos problemas que afetam essas crianças poderão ser minorados com o apoio das equipes multidisciplinares que incluam neuropediatras, neurologistas, fisiatras, ortopedistas, psicólogos, cardiologistas e especialistas das funções respiratórias, que deverão integrar os Serviços de Referência de Doenças Raras e de Atenção Especializada, como o previsto na Política Nacional de Atenção de Integral à Pessoa com Doença Rara (Portaria MS /GM nº199 de 31 de janeiro de 2014), que contempla o diagnóstico genético da AME. O grande paradoxo é que ao fazermos o diagnóstico clínico e confirmarmos geneticamente o diagnóstico de AME 5q, estaremos aumentando a demanda pelo acesso ao medicamento, pela via judicial.Antecedentes Históricos que justificam mudanças no relatório de recomendaçãoLembro que após o advento da epidemia da AIDS e da organização de grupos de pacientes e familiares, surgiu uma demanda para possibilitar a continuidade do uso de drogas pelos participantes após o término dos estudos, e também para possibilitar o uso assistencial de drogas que ainda estão sendo investigadas por pacientes que não participam dos estudos. Um dos motivos alegados foi o longo período de tempo necessário para a realização dos diferentes projetos de pesquisa com a nova droga e a sua adequada avaliação regulatória por parte das agências. Com isso, surgiram novas possibilidades de acesso especial a drogas ainda em investigação, através de extensões de uso, uso compassivo ou programas de acesso expandido. Os projetos de extensão propiciam que os participantes de um estudo que utiliza uma nova droga continuem a ter acesso à mesma após o término do estudo ao qual estavam vinculados. O uso compassivo e o acesso expandido ampliam a utilização dessas drogas experimentais para outros pacientes. O uso compassivo possibilita que um paciente específico, com risco de vida e sem tratamento convencional disponível, possa ter acesso a uma nova droga experimental, independentemente da fase na qual a pesquisa se encontra. O programa de acesso expandido possibilita o uso de uma droga experimental, com processo de liberação para uso assistencial já encaminhado, em um grande número de pacientes que já podem se beneficiar com o seu uso.Fonte: GOLDIM, J. R. O uso de drogas ainda experimentais em assistência: extensão de pesquisa, uso compassivo e acesso expandido. *Rev Panam Salud Publica/Pan Am J Public Health 23(3), 2008.*A ANVISA na resolução de recomendação - RDC Nº 38, de 12 de agosto de 2013 aprovou o regulamento para os programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. A patologia AME preenche todos os pré-requisitos de uma doença a ser incluída num Programa de Uso Compassivo. Não temos bancos de informações sobre paralisia flácida acometendo crianças pequenas hoje, não nos propomos montá-los. Para informações futuras sobre os desfechos terapêuticos quanto à eficiência, eficácia, efetividade dos

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>tratamentos e segurança, tanto os medicamentosos, quanto não medicamentosos, por tanto, sempre dependeremos dos conhecimentos adquiridos e publicados por pesquisadores de outros países, ignorando a experiência nacional. A recomendação da inclusão ou não do nusinersena no RENAME, para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal 5q tipo I, deveria ser a recomendação da construção de um Programa Nacional de Uso Compassivo para medicamentos órfãos e doenças raras, de acordo com RDC 38 ANVISA. O nusinersena e a AME seriam o “piloto” de um programa para doenças, dessa natureza. Caso contrário os relatórios de recomendação da CONITEC continuaram num círculo vicioso e paradoxal, fato que não atende a essa demanda nacional.</p> <p>3ª - Sim, Contribuição Técnica Científica Sobre Doenças Raras (DR) e novos medicamentos a serem incluídos na RENAME caminhamos num círculo vicioso e paradoxal, porque independentemente do tipo de medicamentos ou de patologia ao qual ele é indicado, a maioria dos pareceres finais de recomendação da CONITEC, são similares. As conclusões são sempre as mesmas: a) Impossibilidade de avaliar eficácia, segurança e custo-efetividade dos tratamentos, porque a literatura nacional é insuficiente e a literatura internacional é inconclusiva. Os fatores causais dessas impossibilidades são sempre os mesmos. O número de pacientes participantes das pesquisas clínicas (Doença rara); curta duração da pesquisa, basicamente só o período de tempo, que interessa às farmacêuticas (média 2 anos), que também são as grandes financiadoras desse tipo de pesquisa clínica; avaliação isolada dos efeitos positivos e negativos desses tratamentos, não levando em conta, os desfechos das ações terapêuticas não medicamentosas que já praticadas há muitos anos em nosso meio e o “plus” das mudanças causadas pelos novos medicamentos, quando elas se apresentam, sem avaliação qualitativa ou quantitativa. Isso tudo, somado a inviabilidade de estudos randomizados multicêntricos “de peso” no mundo todo, com resultados publicados na literatura científica e passíveis de análise à luz das “ferramentas” da Medicina Baseada em evidência e da Avaliação de Tecnologia em Saúde; b) A única evidência consistente é de que a incorporação desses medicamentos ao RENAME poderá comprometer a sustentabilidade econômica do SUS. Afirmação essa, que ignora que a sustentabilidade econômica e a integralidade do SUS estão sob-risco, já que a via judicial é o caminho utilizado pelos doentes e seus familiares para garantir o acesso a esses medicamentos. Lembrando que, a compra de medicamentos por via judicial pelas instâncias federativas do SUS, é feita com o “preço cheio” e com impostos governamentais (40% acima do valor do custo do remédio, em média), sem a participação da farmacêutica nos processos oficiais de compra por licitação pública e ou sem negociação comercial prévia de compra pelas instâncias do SUS, por via administrativa. Os preços praticados para compra pelos estados e municípios, são na realidade, muito diferentes e muito maiores, daqueles apresentados da avaliação custo-efetividade, desse relatório de recomendação. Pior ainda, quando o relatório de recomendação, apresenta uma análise Custo-Efetividade (ACE), comparando medicamentos de classes terapêuticas diferentes como nusinersena (terapêutica gênica), com o custo do tratamento da Doença de Gaucher (terapia de reposição enzimática). Esse tipo de análise comparativa parece irracional e que confunde ainda mais, o entendimento desse segmento do relatório de recomendação. c) Dados epidemiológicos de doenças raras no Brasil, em geral, são escassos, para uma formulação de uma recomendação favorável e racional, pela CONITEC. Isso acontece porque não temos Registro Nacional dessa patologia (Síndrome de Bebê Hipotônico ou Paralisia</p>	

Flácida). Essa entidade clínica AME tipo I, II, III, não é uma doença de notificação compulsória, mesmo sendo o principal diagnóstico diferencial de Paralisia Infantil, em crianças menores de três anos. A Paralisia Infantil é uma doença de notificação compulsória, já na fase da suspeita clínica, de forte vigilância epidemiológica, realizada pelo Ministério da Saúde, Centros estaduais de Vigilância Epidemiológica e pelos Grupos municipais de Vigilância Epidemiológica, no país todo. Um grande desafio na prática clínica médica é o diagnóstico diferencial das doenças neuromusculares, cuja manifestação clínica ocorre nos primeiros anos de vida, ou seja, em crianças menores de 3 anos de idade (60% dos casos de AME). Lembrando, que o comprometimento do neurônio motor periférico tem duas etiologias mais frequentes, nessa faixa etária: causa genética, amiotrofia espinal infantil (tipos I, II, III); causa adquirida, enterovirose, principalmente poliomielite\*. A primeira manifestação clínica de AME, aquelas que fazem os pais e/ou responsáveis por crianças pequenas, buscarem os Serviços de Saúde de Urgência e Emergência é a paralisia flácida (hipotonia muscular) e ou o desconforto respiratório, com ou sem infecção respiratória secundária, causada pela lesão da musculatura respiratória acessória. O conjunto de sinais e sintomas citados pelo MS (<http://portalms.saude.gov.br/saude-de-a-z/poliomielite>) para a triagem clínica de poliomielite: febre, dor na garganta e na cabeça, vômitos, mal estar, dor nas costas ou rigidez muscular (principalmente nos membros inferiores) e irritação meníngea, podem ser manifestação de AME e/ou Paralisia Infantil, lembrando que os sintomas referidos nesse algoritmo, só podem ser relatados por pessoas que conseguem verbalizá-los. Já sinais como: febre, vômitos, irritabilidade, choro imotivados, são considerados respostas sistêmicas inespecíficas manifestadas por crianças pequenas frente aos processos de estresse físico e emocional. Então, qualquer tipo de paralisia flácida ou hipotonia muscular em crianças menores de três anos de idade, deveria realizar o algoritmo de avaliação no diagnóstico diferencial entre AME e Poliomielite. Melhoraríamos a vigilância sanitária para Poliomielite. Para AME, a eletromiografia seguida do estudo genético confirmaria o diagnóstico. A notificação compulsória seria feita para ambas. Importante lembrar, que as crianças com AME e Poliomielite tem capacidade cognitiva e intelectual normal.\*Fonte: REED, U. Doenças neuromusculares. *Jornal de Pediatria - Vol. 78, Supl.1, pg 89-103, 2002.* A reversão e ou amortização dos danos de órgão vitais, como: disfunção dos músculos acessórios respiratórios, levando a insuficiência respiratória e dependência de oxigênio terapia; coração, com a consequente miocardiopatia e insuficiência cardíaca; músculos da coluna vertebral e articulares com escolioses e deformidades articulares, levando a intervenção cirúrgica que poderão agravar, ainda mais, as dificuldades respiratórias nos casos de deformidades de coluna. Elas dependem de uma assistência integral às necessidades terapêuticas das paralisias flácidas. Pensamos que estamos há anos luz, em nosso país, para diagnosticarmos e tratarmos essas crianças, com a velocidade que elas precisam ser tratadas, para obtermos os resultados, que esse novo medicamento, se propõe. Há não ser que mudemos a realidade da assistência a essas crianças. Os diversos problemas que afetam essas crianças poderão ser minorados com o apoio das equipes multidisciplinares que incluam neuropediatras, neurologistas, fisiatras, ortopedistas, psicólogos, cardiologistas e especialistas das funções respiratórias, que deverão integrar os Serviços de Referência de Doenças Raras e de Atenção Especializada, como o previsto na Política Nacional de Atenção de Integral à Pessoa com Doença Rara (Portaria MS /GM nº199 de 31 de janeiro de 2014), que contempla o diagnóstico genético da AME. O grande paradoxo é que ao fazermos o diagnóstico clínico e confirmarmos geneticamente

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>o diagnóstico de AME 5q, estaremos aumentando a demanda pelo acesso ao medicamento, pela via judicial. Antecedentes Históricos que justificam mudanças no relatório de recomendação Lembro que após o advento da epidemia da AIDS e da organização de grupos de pacientes e familiares, surgiu uma demanda para possibilitar a continuidade do uso de drogas pelos participantes após o término dos estudos, e também para possibilitar o uso assistencial de drogas que ainda estão sendo investigadas por pacientes que não participam dos estudos. Um dos motivos alegados foi o longo período de tempo necessário para a realização dos diferentes projetos de pesquisa com a nova droga e a sua adequada avaliação regulatória por parte das agências. Com isso, surgiram novas possibilidades de acesso especial a drogas ainda em investigação, através de extensões de uso, uso compassivo ou programas de acesso expandido. Os projetos de extensão propiciam que os participantes de um estudo que utiliza uma nova droga continuem a ter acesso à mesma após o término do estudo ao qual estavam vinculados. O uso compassivo e o acesso expandido ampliam a utilização dessas drogas experimentais para outros pacientes. O uso compassivo possibilita que um paciente específico, com risco de vida e sem tratamento convencional disponível, possa ter acesso a uma nova droga experimental, independentemente da fase na qual a pesquisa se encontra. O programa de acesso expandido possibilita o uso de uma droga experimental, com processo de liberação para uso assistencial já encaminhado, em um grande número de pacientes que já podem se beneficiar com o seu uso. Fonte: GOLDIM, J. R. O uso de drogas ainda experimentais em assistência: extensão de pesquisa, uso compassivo e acesso expandido. Rev Panam Salud Publica/Pan Am J Public Health 23(3), 2008. A ANVISA na resolução de recomendação - RDC Nº 38, de 12 de agosto de 2013 aprovou o regulamento para os programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. A patologia AME preenche todos os pré-requisitos de uma doença a ser incluída num Programa de Uso Compassivo. Não temos bancos de informações sobre paralisia flácida acometendo crianças pequenas hoje, não nos propomos montá-los. Para informações futuras sobre os desfechos terapêuticos quanto à eficiência, eficácia, efetividade dos tratamentos e segurança, tanto os medicamentosos, quanto não medicamentosos, por tanto, sempre dependeremos dos conhecimentos adquiridos e publicados por pesquisadores de outros países, ignorando a experiência nacional. A recomendação da inclusão ou não do nusinersena no RENAME, para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal 5q tipo I, deveria ser a recomendação da construção de um Programa Nacional de Uso Compassivo para medicamentos órfãos e doenças raras, de acordo com RDC 38 ANVISA. O nusinersena e a AME seriam o “piloto” de um programa para doenças, dessa natureza. Caso contrário os relatórios de recomendação da CONITEC continuaram num círculo vicioso e paradoxal, fato que não atende a essa demanda nacional.</p> <p>4ª - Sim, Contribuição Técnica Científica Sobre Doenças Raras (DR) e novos medicamentos a serem incluídos na RENAME caminhamos num círculo vicioso e paradoxal, porque independentemente do tipo de medicamentos ou de patologia ao qual ele é indicado, a maioria dos pareceres finais de recomendação da CONITEC, são similares. As conclusões são sempre as mesmas: a) impossibilidade de avaliar eficácia, segurança e custo-efetividade dos tratamentos, porque a literatura nacional é insuficiente e a literatura internacional é inconclusiva. Os fatores causais dessas impossibilidades são sempre os mesmos. O número de pacientes participantes das pesquisas clínicas (Doença rara); curta duração da pesquisa,</p>	

basicamente só o período de tempo, que interessa às farmacêuticas (média 2 anos), que também são as grandes financiadoras desse tipo de pesquisa clínica; avaliação isolada dos efeitos positivos e negativos desses tratamentos, não levando em conta, os desfechos das ações terapêuticas não medicamentosas que já praticadas há muitos anos em nosso meio e o “plus” das mudanças causadas pelos novos medicamentos, quando elas se apresentam, sem avaliação qualitativa ou quantitativa. Isso tudo, somado a inviabilidade de estudos randomizados multicêntricos “de peso” no mundo todo, com resultados publicados na literatura científica e passíveis de análise à luz das “ferramentas” da Medicina Baseada em evidência e da Avaliação de Tecnologia em Saúde;b)A única evidência consistente é de que a incorporação desses medicamentos ao RENAME poderá comprometer a sustentabilidade econômica do SUS. Afirmação essa, que ignora que a sustentabilidade econômica e a integralidade do SUS estão sob-risco, já que a via judicial é o caminho utilizado pelos doentes e seus familiares para garantir o acesso a esses medicamentos. Lembrando que, a compra de medicamentos por via judicial pelas instâncias federativas do SUS, é feita com o “preço cheio” e com impostos governamentais (40% acima do valor do custo do remédio, em média), sem a participação da farmacêutica nos processos oficiais de compra por licitação pública e ou sem negociação comercial prévia de compra pelas instâncias do SUS, por via administrativa. Os preços praticados para compra pelos estados e municípios, são na realidade, muito diferentes e muito maiores, daqueles apresentados da avaliação custo-efetividade, desse relatório de recomendação. Pior ainda, quando o relatório de recomendação, apresenta uma análise Custo-Efetividade (ACE), comparando medicamentos de classes terapêuticas diferentes como nusinersena (terapêutica gênica), com o custo do tratamento da Doença de Gaucher (terapia de reposição enzimática). Esse tipo de análise comparativa parece irracional e que confunde ainda mais, o entendimento desse segmento do relatório de recomendação.c)Dados epidemiológicos de doenças raras no Brasil, em geral, são escassos, para uma formulação de uma recomendação favorável e racional, pela CONITEC. Isso acontece porque não temos Registro Nacional dessa patologia (Síndrome de Bebê Hipotônico ou Paralisia Flácida). Essa entidade clínica AME tipo I, II, III, não é uma doença de notificação compulsória, mesmo sendo o principal diagnóstico diferencial de Paralisia Infantil, em crianças menores de três anos. A Paralisia Infantil é uma doença de notificação compulsória, já na fase da suspeita clínica, de forte vigilância epidemiológica, realizada pelo Ministério da Saúde, Centros estaduais de Vigilância Epidemiológica e pelos Grupos municipais de Vigilância Epidemiológica, no país todo. Um grande desafio na prática clínica médica é o diagnóstico diferencial das doenças neuromusculares, cuja manifestação clínica ocorre nos primeiros anos de vida, ou seja, em crianças menores de 3 anos de idade (60% dos casos de AME). Lembrando, que o comprometimento do neurônio motor periférico tem duas etiologias mais frequentes, nessa faixa etária: causa genética, amiotrofia espinal infantil (tipos I, II, III); causa adquirida, enterovirose, principalmente poliomielite\*. A primeira manifestação clínica de AME, aquelas que fazem os pais e/ou responsáveis por crianças pequenas, buscarem os Serviços de Saúde de Urgência e Emergência é a paralisia flácida (hipotonia muscular) e ou o desconforto respiratório, com ou sem infecção respiratória secundária, causada pela lesão da musculatura respiratória acessória. O conjunto de sinais e sintomas citados pelo MS (<http://portalms.saude.gov.br/saude-de-a-z/poliomielite>) para a triagem clínica de poliomielite: febre, dor na garganta e na cabeça, vômitos, mal estar, dor nas costas ou rigidez muscular (principalmente nos membros inferiores) e irritação meníngea, podem ser

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>manifestação de AME e/ou Paralisia Infantil, lembrando que os sintomas referidos nesse algoritmo, só podem ser relatados por pessoas que conseguem verbalizá-los. Já sinais como: febre, vômitos, irritabilidade, choro imotivados, são considerados respostas sistêmicas inespecíficas manifestadas por crianças pequenas frente aos processos de estresse físico e emocional. Então, qualquer tipo de paralisia flácida ou hipotonia muscular em crianças menores de três anos de idade, deveria realizar o algoritmo de avaliação no diagnóstico diferencial entre AME e Poliomielite. Melhoraríamos a vigilância sanitária para Poliomielite. Para AME, a eletromiografia seguida do estudo genético confirmaria o diagnóstico. A notificação compulsória seria feita para ambas. Importante lembrar, que as crianças com AME e Poliomielite tem capacidade cognitiva e intelectual normal.*Fonte: REED, U. Doenças neuromusculares. Jornal de Pediatria - Vol. 78, Supl.1, pg 89-103, 2002.A reversão e ou amortização dos danos de órgão vitais, como: disfunção dos músculos acessórios respiratórios, levando a insuficiência respiratória e dependência de oxigênio terapia; coração, com a consequente miocardiopatia e insuficiência cardíaca; músculos da coluna vertebral e articulares com escolioses e deformidades articulares, levando a intervenção cirúrgica que poderão agravar, ainda mais, as dificuldades respiratórias nos casos de deformidades de coluna. Elas dependem de uma assistência integral às necessidades terapêuticas das paralisias flácidas. Pensamos que estamos há anos luz, em nosso país, para diagnosticarmos e tratarmos essas crianças, com a velocidade que elas precisam ser tratadas, para obtermos os resultados, que esse novo medicamento, se propõe. Há não ser que mudemos a realidade da assistência a essas crianças.Os diversos problemas que afetam essas crianças poderão ser minorados com o apoio das equipes multidisciplinares que incluam neuropediatras, neurologistas, fisiatras, ortopedistas, psicólogos, cardiologistas e especialistas das funções respiratórias, que deverão integrar os Serviços de Referência de Doenças Raras e de Atenção Especializada, como o previsto na Política Nacional de Atenção de Integral à Pessoa com Doença Rara (Portaria MS /GM nº199 de 31 de janeiro de 2014), que contempla o diagnóstico genético da AME. O grande paradoxo é que ao fazermos o diagnóstico clínico e confirmarmos geneticamente o diagnóstico de AME 5q, estaremos aumentando a demanda pelo acesso ao medicamento, pela via judicial.Antecedentes Históricos que justificam mudanças no relatório de recomendaçãoLembro que após o advento da epidemia da AIDS e da organização de grupos de pacientes e familiares, surgiu uma demanda para possibilitar a continuidade do uso de drogas pelos participantes após o término dos estudos, e também para possibilitar o uso assistencial de drogas que ainda estão sendo investigadas por pacientes que não participam dos estudos. Um dos motivos alegados foi o longo período de tempo necessário para a realização dos diferentes projetos de pesquisa com a nova droga e a sua adequada avaliação regulatória por parte das agências. Com isso, surgiram novas possibilidades de acesso especial a drogas ainda em investigação, através de extensões de uso, uso compassivo ou programas de acesso expandido. Os projetos de extensão propiciam que os participantes de um estudo que utiliza uma nova droga continuem a ter acesso à mesma após o término do estudo ao qual estavam vinculados. O uso compassivo e o acesso expandido ampliam a utilização dessas drogas experimentais para outros pacientes. O uso compassivo possibilita que um paciente específico, com risco de vida e sem tratamento convencional disponível, possa ter acesso a uma nova droga experimental, independentemente da fase na qual a pesquisa se encontra. O programa de acesso expandido possibilita o uso de uma droga experimental, com processo de liberação para uso assistencial já</p>	

encaminhado, em um grande número de pacientes que já podem se beneficiar com o seu uso. Fonte: GOLDIM, J. R. O uso de drogas ainda experimentais em assistência: extensão de pesquisa, uso compassivo e acesso expandido. Rev Panam Salud Publica/Pan Am J Public Health 23(3), 2008. A ANVISA na resolução de recomendação - RDC Nº 38, de 12 de agosto de 2013 aprovou o regulamento para os programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. A patologia AME preenche todos os pré-requisitos de uma doença a ser incluída num Programa de Uso Compassivo. Não temos bancos de informações sobre paralisia flácida acometendo crianças pequenas hoje, não nos propomos montá-los. Para informações futuras sobre os desfechos terapêuticos quanto à eficiência, eficácia, efetividade dos tratamentos e segurança, tanto os medicamentosos, quanto não medicamentosos, por tanto, sempre dependeremos dos conhecimentos adquiridos e publicados por pesquisadores de outros países, ignorando a experiência nacional. A recomendação da inclusão ou não do nusinersena no RENAME, para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal 5q tipo I, deveria ser a recomendação da construção de um Programa Nacional de Uso Compassivo para medicamentos órfãos e doenças raras, de acordo com RDC 38 ANVISA. O nusinersena e a AME seriam o “piloto” de um programa para doenças, dessa natureza. Caso contrário os relatórios de recomendação da CONITEC continuaram num círculo vicioso e paradoxal, fato que não atende a essa demanda nacional.

5ª - Sim, Contribuição Técnica Científica Sobre Doenças Raras (DR) e novos medicamentos a serem incluídos na RENAME caminhamos num círculo vicioso e paradoxal, porque independentemente do tipo de medicamentos ou de patologia ao qual ele é indicado, a maioria dos pareceres finais de recomendação da CONITEC, são similares. As conclusões são sempre as mesmas: a) Impossibilidade de avaliar eficácia, segurança e custo-efetividade efetividade dos tratamentos, porque a literatura nacional é insuficiente e a literatura internacional é inconclusiva. Os fatores causais dessas impossibilidades são sempre os mesmos. O número de pacientes participantes das pesquisas clínicas (Doença rara); curta duração da pesquisa, basicamente só o período de tempo, que interessa às farmacêuticas (média 2 anos), que também são as grandes financiadoras desse tipo de pesquisa clínica; avaliação isolada dos efeitos positivos e negativos desses tratamentos, não levando em conta, os desfechos das ações terapêuticas não medicamentosas que já praticadas há muitos anos em nosso meio e o “plus” das mudanças causadas pelos novos medicamentos, quando elas se apresentam, sem avaliação qualitativa ou quantitativa. Isso tudo, somado a inviabilidade de estudos randomizados multicêntricos “de peso” no mundo todo, com resultados publicados na literatura científica e passíveis de análise à luz das “ferramentas” da Medicina Baseada em evidência e da Avaliação de Tecnologia em Saúde; b) A única evidência consistente é de que a incorporação desses medicamentos ao RENAME poderá comprometer a sustentabilidade econômica do SUS. Afirmar essa, que ignora que a sustentabilidade econômica e a integralidade do SUS estão sob-risco, já que a via judicial é o caminho utilizado pelos doentes e seus familiares para garantir o acesso a esses medicamentos. Lembrando que, a compra de medicamentos por via judicial pelas instâncias federativas do SUS, é feita com o “preço cheio” e com impostos governamentais (40% acima do valor do custo do remédio, em média), sem a participação da farmacêutica nos processos oficiais de compra por licitação pública e ou sem negociação comercial prévia de compra pelas instâncias do SUS, por via administrativa. Os preços praticados para compra pelos estados e



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>municípios, são na realidade, muito diferentes e muito maiores, daqueles apresentados da avaliação custo-efetividade, desse relatório de recomendação. Pior ainda, quando o relatório de recomendação, apresenta uma análise Custo-Efetividade (ACE), comparando medicamentos de classes terapêuticas diferentes como nusinersena (terapêutica gênica), com o custo do tratamento da Doença de Gaucher (terapia de reposição enzimática). Esse tipo de análise comparativa parece irracional e que confunde ainda mais, o entendimento desse segmento do relatório de recomendação.c)Dados epidemiológicos de doenças raras no Brasil, em geral, são escassos, para uma formulação de uma recomendação favorável e racional, pela CONITEC. Isso acontece porque não temos Registro Nacional dessa patologia (Síndrome de Bebê Hipotônico ou Paralisia Flácida). Essa entidade clínica AME tipo I, II, III, não é uma doença de notificação compulsória, mesmo sendo o principal diagnóstico diferencial de Paralisia Infantil, em crianças menores de três anos. A Paralisia Infantil é uma doença de notificação compulsória, já na fase da suspeita clínica, de forte vigilância epidemiológica, realizada pelo Ministério da Saúde, Centros estaduais de Vigilância Epidemiológica e pelos Grupos municipais de Vigilância Epidemiológica, no país todo. Um grande desafio na prática clínica médica é o diagnóstico diferencial das doenças neuromusculares, cuja manifestação clínica ocorre nos primeiros anos de vida, ou seja, em crianças menores de 3 anos de idade (60% dos casos de AME). Lembrando, que o comprometimento do neurônio motor periférico tem duas etiologias mais frequentes, nessa faixa etária: causa genética, amiotrofia espinal infantil (tipos I, II, III); causa adquirida, enterovirose, principalmente poliomielite*. A primeira manifestação clínica de AME, aquelas que fazem os pais e/ou responsáveis por crianças pequenas, buscarem os Serviços de Saúde de Urgência e Emergência é a paralisia flácida (hipotonia muscular) e ou o desconforto respiratório, com ou sem infecção respiratória secundária, causada pela lesão da musculatura respiratória acessória. O conjunto de sinais e sintomas citados pelo MS (<a href="http://portalms.saude.gov.br/saude-de-a-z/poliomielite">http://portalms.saude.gov.br/saude-de-a-z/poliomielite</a>) para a triagem clínica de poliomielite: febre, dor na garganta e na cabeça, vômitos, mal estar, dor nas costas ou rigidez muscular (principalmente nos membros inferiores) e irritação meníngea, podem ser manifestação de AME e/ou Paralisia Infantil, lembrando que os sintomas referidos nesse algoritmo, só podem ser relatados por pessoas que conseguem verbalizá-los. Já sinais como: febre, vômitos, irritabilidade, choro imotivados, são considerados respostas sistêmicas inespecíficas manifestadas por crianças pequenas frente aos processos de estresse físico e emocional. Então, qualquer tipo de paralisia flácida ou hipotonia muscular em crianças menores de três anos de idade, deveria realizar o algoritmo de avaliação no diagnóstico diferencial entre AME e Poliomielite. Melhoraríamos a vigilância sanitária para Poliomielite. Para AME, a eletromiografia seguida do estudo genético confirmaria o diagnóstico. A notificação compulsória seria feita para ambas. Importante lembrar, que as crianças com AME e Poliomielite tem capacidade cognitiva e intelectual normal.*Fonte: REED, U. Doenças neuromusculares. Jornal de Pediatria - Vol. 78, Supl.1, pg 89-103, 2002.A reversão e ou amortização dos danos de órgão vitais, como: disfunção dos músculos acessórios respiratórios, levando a insuficiência respiratória e dependência de oxigênio terapia; coração, com a consequente miocardiopatia e insuficiência cardíaca; músculos da coluna vertebral e articulares com escolioses e deformidades articulares, levando a intervenção cirúrgica que poderão agravar, ainda mais, as dificuldades respiratórias nos casos de deformidades de coluna. Elas dependem de uma assistência integral às necessidades terapêuticas das paralisias flácidas. Pensamos que estamos há anos luz, em nosso país, para</p>	

diagnosticarmos e tratarmos essas crianças, com a velocidade que elas precisam ser tratadas, para obtermos os resultados, que esse novo medicamento, se propõe. Há não ser que mudemos a realidade da assistência a essas crianças. Os diversos problemas que afetam essas crianças poderão ser minorados com o apoio das equipes multidisciplinares que incluam neuropediatras, neurologistas, fisiatras, ortopedistas, psicólogos, cardiologistas e especialistas das funções respiratórias, que deverão integrar os Serviços de Referência de Doenças Raras e de Atenção Especializada, como o previsto na Política Nacional de Atenção de Integral à Pessoa com Doença Rara (Portaria MS /GM nº199 de 31 de janeiro de 2014), que contempla o diagnóstico genético da AME. O grande paradoxo é que ao fazermos o diagnóstico clínico e confirmarmos geneticamente o diagnóstico de AME 5q, estaremos aumentando a demanda pelo acesso ao medicamento, pela via judicial. Antecedentes Históricos que justificam mudanças no relatório de recomendação Lembro que após o advento da epidemia da AIDS e da organização de grupos de pacientes e familiares, surgiu uma demanda para possibilitar a continuidade do uso de drogas pelos participantes após o término dos estudos, e também para possibilitar o uso assistencial de drogas que ainda estão sendo investigadas por pacientes que não participam dos estudos. Um dos motivos alegados foi o longo período de tempo necessário para a realização dos diferentes projetos de pesquisa com a nova droga e a sua adequada avaliação regulatória por parte das agências. Com isso, surgiram novas possibilidades de acesso especial a drogas ainda em investigação, através de extensões de uso, uso compassivo ou programas de acesso expandido. Os projetos de extensão propiciam que os participantes de um estudo que utiliza uma nova droga continuem a ter acesso à mesma após o término do estudo ao qual estavam vinculados. O uso compassivo e o acesso expandido ampliam a utilização dessas drogas experimentais para outros pacientes. O uso compassivo possibilita que um paciente específico, com risco de vida e sem tratamento convencional disponível, possa ter acesso a uma nova droga experimental, independentemente da fase na qual a pesquisa se encontra. O programa de acesso expandido possibilita o uso de uma droga experimental, com processo de liberação para uso assistencial já encaminhado, em um grande número de pacientes que já podem se beneficiar com o seu uso. Fonte: GOLDIM, J. R. O uso de drogas ainda experimentais em assistência: extensão de pesquisa, uso compassivo e acesso expandido. Rev Panam Salud Publica/Pan Am J Public Health 23(3), 2008. A ANVISA na resolução de recomendação - RDC Nº 38, de 12 de agosto de 2013 aprovou o regulamento para os programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. A patologia AME preenche todos os pré-requisitos de uma doença a ser incluída num Programa de Uso Compassivo. Não temos bancos de informações sobre paralisia flácida acometendo crianças pequenas hoje, não nos propomos montá-los. Para informações futuras sobre os desfechos terapêuticos quanto à eficiência, eficácia, efetividade dos tratamentos e segurança, tanto os medicamentosos, quanto não medicamentosos, por tanto, sempre dependeremos dos conhecimentos adquiridos e publicados por pesquisadores de outros países, ignorando a experiência nacional. A recomendação da inclusão ou não do nusinersena no RENAME, para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal 5q tipo I, deveria ser a recomendação da construção de um Programa Nacional de Uso Compassivo para medicamentos órfãos e doenças raras, de acordo com RDC 38 ANVISA. O nusinersena e a AME seriam o “piloto” de um programa para doenças, dessa natureza. Caso contrário os relatórios de recomendação da CONITEC continuaram num círculo vicioso e paradoxal, fato que

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		não atende a essa demanda nacional.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Na qualidade de especialista em doenças neuromusculares ministro frequentemente palestras sobre tratamento da AME. Nelas saliento que ainda há pontos a esclarecer em trabalhos futuros não somente quanto ao nusinersena, já aprovado, como também quanto a outras terapias, ainda em pesquisa: 1. janela terapêutica ideal para sobrevida do motoneurônio, ocorrência de brotamento axonal (reinnervação) e melhora significativa do fenótipo, ou seja, em que momento evolutivo a patologia se torna irreversível não mais se observando resposta significativa; 2. porcentagem de pacientes que respondem e intervalo de tempo até se manifestar a resposta; 3. tamanho do efeito e qualidade de vida após terapia prolongada; 4. focos da resposta ao tratamento: não somente melhora da função motora como também prevenção da progressão; 5. eficácia e segurança a longo prazo. Em vista destas dúvidas, e pelo fato de o medicamento ter sido aprovado pela FDA e ANVISA para todos os subtipos de AME, o nusinersena deveria ser disponibilizado a todos os pacientes, que estejam em reabilitação multidisciplinar pró-ativa, por um período a ser determinado, porque não há como prever de antemão quais pacientes responderão com melhora motora e respiratória, qual será o tamanho do efeito e quais pacientes deixarão de progredir ou progredirão mais lentamente nas perdas motoras. As respostas virão quando houver estudos de seguimento disponíveis. Adicionalmente, em pacientes com tantas graves limitações motoras e respiratórias, pequenas melhoras funcionais podem ser significativas para a qualidade de vida do paciente e família. Em minha opinião, a questão do custo para o SUS deve motivar contínuas negociações entre o MS e a BIOGEN para que ocorra ampla disponibilização. Enquanto a questão custo permanecer em aberto, no momento o nusinersena deveria ser disponibilizado para pacientes com AME que estejam na fase inicial da doença já que todos os estudos, entre os publicados e os apresentados em congresso, demonstram maior eficácia nestas circunstâncias. A mudança de fenótipo do tipo I para o tipo II e a prevenção da necessidade de ventilação permanente, embora não ocorram na totalidade dos casos, representa um grande salto na qualidade de vida de pacientes com esta gravíssima condição. Portanto, inicialmente deveria ser autorizado o tratamento via SUS para estes pacientes, estabelecendo um tempo de evolução limite desde o início da doença mesmo que o paciente já esteja em ventilação permanente. Em relação ao tipo II, também deveria ser oferecido o tratamento até um determinado tempo de evolução após o início do quadro, apesar da dificuldade em estabelecer este tempo já que não existe ainda base científica definida para entender a fisiopatologia do processo e a extensão da perda motora durante a fase crônica da AME. Em relação ao tipo III, cuja evolução é muito mais lenta, quando é possível identificar o início do quadro ou o início de uma fase de piora que possa levar à perda da deambulação, estaria também indicado tratar o paciente por um período a ser determinado. Concluindo, considero também que é fundamental: 1. em vista da necessidade de tratamento precoce, dotar a rede pública da possibilidade de realização imediata do diagnóstico molecular após a primeira consulta; 2. disponibilizar a nível nacional uma rede multidisciplinar e homogênea de tratamento que seja proativa em prevenir ou adiar as complicações respiratórias, nutricionais e ortopédicas; 3. estabelecer centros em diferentes estados que, além de fornecer o tratamento multidisciplinar, tenham a estrutura necessária para receber, manter e aplicar o tratamento no prazo estabelecido; 4. trabalhar ativamente em pró da inclusão do teste molecular para AME na triagem neonatal já que está comprovada, embora ainda não publicada, a eficácia do nusinersena em estágios pré-clínicos (estudo Nurture).</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
14/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Medicação sem potencial de cura 2ª - Sim, Fracas Baixo nível de estudo 3ª - Sim, Inviável sua aquisicao 4ª - Sim, Incompatível com a realidade da união 5ª - Não	
14/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eu discordo da decisão porque já existem estudos clínicos randomizados, duplo cegos, controlados, evidenciando a melhora dos pacientes com AME e tratados com nusinersena. 2ª - Sim, Já existem estudos clínicos randomizados, duplo cegos, controlados, evidenciando a melhora dos pacientes com AME e tratados com nusinersena. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
14/09/2018	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
14/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trata-se de medicação com mostras significativas de sua eficácia sobretudo quando administrado em diagnóstico precoce e com tempo curto de doença, nos quais ainda não houve instalação de déficits severos, os quais trarão graves sequelas para o paciente e ônus financeiro para a família a toda a sociedade, visto que quanto mais grave for a condição clínica do paciente mais ele necessitará de suporte de vida, uso de oxigênio e ocupação de leitos hospitalares</p> <p>2ª - Sim, Os estudos de fase 3 com uso de Nusinersena em pacientes com formas graves (tipo 1 e 2) da doença mostram resultados de melhora significativa tanto nos aspectos motores quanto respiratórios para esses pacientes</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É nítida a contribuição do medicamento nusinersena (SPIRANZA) no tratamento de crianças com AME (Atrofia Muscular Espinhal). Ao acompanhar casos de crianças com tal diagnóstico que tiveram melhora significativa do quadro clínico após o início do tratamento, é possível observar ainda que há uma melhor relação de custo benefício quando se é administrada as doses na fase inicial da doença; uma vez que com o passar do tempo se faz necessário maiores cuidados para manter a vida e a "qualidade de vida" dessas crianças.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/09/2018	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
14/09/2018	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Biogen discorda totalmente da recomendação preliminar e defende a incorporação de Spinraza (nusinersena) para AME 5q sem qualquer restrição vide documento anexo a esta contribuição.</p> <p>2ª - Sim, Conforme documento anexo a esta contribuição.</p> <p>3ª - Sim, Conforme documento anexo a esta contribuição.</p> <p>4ª - Sim, Conforme documento anexo a esta contribuição.</p> <p>5ª - Sim, Conforme documento anexo a esta contribuição.</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>
14/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Se é o único medicamento que até hj pode dá uma melhoria para esse tipo de paciente deve se incluso sim, é mais do que necessário.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A minha experiência profissional e as comprovações científicas me fazem afirmar que este medicamento é a única opção mais acessível por ora, aos pacientes com AME, ou o contrário eles estarão fadados ao óbito.</p> <p>2ª - Sim, Tenho uma paciente em acompanhamento, em uso da medicação citada aqui e sua evolução tem sido surpreendente.</p> <p>3ª - Sim, Sabemos do impacto econômico, mas essa é a única alternativa acessível no presente momento.</p> <p>4ª - Sim, vide acima</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Venha acompanhando diversas crianças acometidas pela AME com idades e estágios diferentes da AME, e percebo que aqueles que estão utilizando o medicamento têm a progressão da doença interrompida e, em diversos casos, há a recuperação de movimentos (como no caso dos irmãos João Vitor e Miguel - vídeos demonstrando a evolução das crianças podem ser vistos pela conta de Instagram @amejoaoemiguel) e a consequente melhora na qualidade de vida dos pacientes. O Estado Brasileiro não pode negar acesso a um remédio que é o único que efetivamente vem tendo sucesso em interromper a progressão da AME e possibilitar a melhora dos pacientes, tendo em vista que a AME é uma doença fatal. Além disso, milhões são gastos pelos sistemas públicos de saúde apenas com cuidados paliativos para dar sobrevida aos pacientes, ao passo que, com a medicação, muitas dessas crianças poderão estudar e futuramente trabalhar, gerando renda ao país.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/09/2018	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>	
14/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Venho acompanhando diversas crianças acometidas pela AME com idades e estágios diferentes da AME, e percebo que aqueles que estão utilizando o medicamento têm a progressão da doença interrompida e, em diversos casos, há a recuperação de movimentos (como no caso dos irmãos João Vitor e Miguel - vídeos demonstrando a evolução das crianças podem ser vistos pela conta de Instagram @amejoaoemiguel) e a consequente melhora na qualidade de vida dos pacientes. O Estado Brasileiro não pode negar acesso a um remédio que é o único que efetivamente vem tendo sucesso em interromper a progressão da AME e possibilitar a melhora dos pacientes, tendo em vista que a AME é uma doença fatal. Além disso, milhões são gastos pelos sistemas públicos de saúde apenas com cuidados paliativos para dar sobrevida aos pacientes, ao passo que, com a medicação, muitas dessas crianças poderão estudar e futuramente trabalhar, gerando renda ao país.</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
14/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Este é o único remédio que pode ajudar estas crianças!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Apesar de haver impacto orçamentário, entendo necessário. Se for mais caro comprar a quantidade necessaria, sugiro fazer pleito de compra da patente do remédio.</p> <p>5ª - Não</p>	
14/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A AME é uma doença gawe causada pela falta de produção de uma proteína codificada por um gene chamado SMN1. A ausência desse gene causa uma quadro de fraqueza que pode variar na idade de início e nos sintomas apresentados. As formas graves impedem que paciente atinjam marcos motores e que sejam dependentes de suporte ventilatório antes de completar 2 anos de idade e os levam a morte precocemente. Essa doença é degenerativa e de caráter progressivo em todos os pacientes. Os estudos demonstraram que o uso do nusinersena apresentam melhora significativa na força e na capacidade de marcha e conseguem respirar sem auxilio de aparelhos, o que representa um ganho enorme na qualidade de vida dos pacientes e dos familiares de pacientes com AME. Ao se dizer isso a eficácia do medicamento é indiscutível e o benefício inegável. O não fornecimento do medicamento é impedir o acesso a tratamento específico e disponível a pessoas que possuem cognição preservada.</p> <p>2ª - Sim, Todos os estudos com nusinersena demonstraram melhora nos parâmetros avaliados motores e de qualidade de vida, assim não há dúvidas quanto a eficácia do medicamento na prática clínica. E não há duvidas quanto a sua indicação. As evidencias clínicas se baseiam em estudos independentes com pacientes com a forma precoce (tipo 1) e as formas tardias (tipo 2 e 3) e todos tiveram beneficio.</p> <p>3ª - Sim, Ao ano nascem aproximadamente 300 crianças com AME no Brasil o que causaria um custo aproximado de 300.000.000 apenas com o medicamento. Há que se levar em consideração os gastos com as crianças com AME que não tem acesso ao tratamento, que ficam em domicilio dependentes de suporte ventilatórios, em que os pais abandonam seus empregos (dias perdidos de trabalho). Não disponho desses números para compararmos os custos com pacientes com medicamento x pacientes sem medicamento, mas acredito que se está desconsiderando uma potencial economia em gastos indiretos relacionados a despensas acima citadas.</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
14/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eu acompanho o portador de AME Joaquim Ambrósio há mais de um ano. Ele já tomou várias doses do medicamento e notei grande melhora nele. Por esse motivo sou contra a recomendação da CONITEC.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As evidências de benefício da medicação são muito claras a meu ver. Mesmo que nem todos os pacientes tenham ganho de função, em todos os estudos até agora, o que tem sido demonstrado é que pelo menos os pacientes param de perder funções motoras já adquiridas. Lembrando que a atrofia muscular espinhal é progressiva em todas as suas formas.</p> <p>2ª - Sim, Tenho acompanhado pacientes em uso da medicação (número ainda reduzido pelo fato da dificuldade em se obter a medicação), e tenho observado ganhos funcionais mesmo em pacientes com longo tempo de doença. Aqueles pacientes que não apresentam ganhos motores, pelo menos apresentam estabilização da doença.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Medicamento caro, mas o tratamento dos pacientes também é custoso para o sistema de saúde (home-care, terapia ventilatória, UTI, etc).</p> <p>5ª - Não</p>	
14/09/2018	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>	
14/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Direito a Vida é condição essencial e a melhor forma de tratamento deve ser garantia ao paciente</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
14/09/2018	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>	
14/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A AME ainda é uma doença órfã de tratamento. As "alternativas terapêuticas" citadas no relatório já se mostraram ineficazes em modificar a evolução da doença.</p> <p>2ª - Sim, No estudo ENDEAR houve melhora estatisticamente significativa: o Nusinersena reduziu em 47% o risco de morte ou ventilação permanernte e em 63% o risco de morte. As agencias reguladoras determinaram o término precoce deste estudo e início do estudo de extensão (SHINE). A frequência de efeitos adversos foi semelhante em ambos os grupos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A meu ver, o paciente que não se beneficiaria do Nusinersena seria aquele com AME tipo I em idade avançada (pré - escolar e escolar). Mais importante do que estabelecer critérios para iniciar, seria estabelecer critérios para suspender a medicação, definindo o que seria a não responsividade ao tratamento, através de pontuação em escalas motoras.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
14/09/2018	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>	
14/09/2018	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
14/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
14/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
15/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. O Nusinersena pode ter um papel relevante no tratamento de pacientes com amiotrofia espinhal infantil tipo 1 e 2, que não necessitam de suporte ventilatório invasivo, desde que recebam a droga precocemente, antes dos 8 meses de idade. Os trabalhos que permitiram a liberação da medicação pelo FDA corroboram isto. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Com base no estudo citado na recomendação (Finkel, 2017) o grupo concluiu que as evidências não eram adequadas. Com relação ao desfecho primário desse estudo, com muito respeito, gostaria de questionar: uma redução de quase 50% na probabilidade de óbito/ventilação mecânica no grupo tratado é uma evidencia significativa? Qual seria então? Lembro de vários tratamentos oncológicos aprovados cujo aumento na expectativa de vida beirava 30%. Além disso, com relação ao desfecho secundário, a melhora na escala CHOP não pode ser considerada como insignificante (não me refiro à significância estatística), mas ao que representa 1 ou 2 pontos na escala CHOP de quem vê esses pacientes há algum tempo. Resta, a meu ver, estabelecer um limite Terapeutico também evitando a distanásia. Estabelecer critérios de melhora que indicariam a suspensão ou não introdução do tratamento.</p> <p>2ª - Sim, Gostaria de acrescentar o ensaio clínico de fase 3 de Mercuri e colaboradores. Os resultados, novamente, me parecem significativos.</p> <p>3ª - Sim, Para uma análise econômica mais correta nao se deve levar em consideração apenas o custo do medicamento. Seria imporante que o SUS verificasse os custos (diretos e indiretos) que esses pacientes já causam ao sistema. Certamente esses números, infelizmente, não devem estar disponíveis pelas seguintes razões: * Na minha experiencia pessoal observo que as crianças vinculadas ao SUS permanecem ocupando vagas de UTI sem possibilidade de alta por longos anos, reduzindo ainda mais o numero de leitos disponíveis em UTI pediátricas. Assim, o SUS não contabiliza esse gasto, pois remunera os municípios por “pacotes” e não acaba sabendo o custo direto desse paciente ao hospital. Apenas o gestor local sabe desse custo. * As crianças assistidas pela saúde suplementar acabam recebendo seu tratamento em esquema de internação domiciliar com custo igualmente elevado para as operadoras (e não pelo SUS). Qual é o custo disso para elas? * Os custos indiretos (redução do número de leitos SUS em terapia intensiva poediátrica; impacto dessa redução na assistência de outros pctes; um dos responsáveis fora do mercado de trabalho; desestruturação familiar, etc.) não são contabilizados nunca, mas sem duvida essa doença causa grande impacto aos familiares e à economia desses indivíduos. Esses valores são importante para definir qual seria o impacto econômico da medicação. Por fim, não há dúvida que o custo nominal de cada tratamento seria superior ao que já é gasto nos cuidados paliativos, mas creio que apresentar esse custo em seu relatório o tornaria mais robusto e menos simplista.</p> <p>4ª - Sim, Sem dúvida, o impacto econômico junto ao SUS é imenso e supera qualquer precedente histórico. Concordo que esse aspecto não pode ser desconsiderado, mas por outro lado não podemos impedir que cidadãos brasileiros tenham acesso a um medicamento que minimamente pode elevar sua sobrevida e/ou tempo fora de ventilação em quase 50%. A meu ver, cumpre à Conitec uma decisão técnica. A decisão econômica cumpre ao gestor, ou seja, cabe a ele o estabelecimento de acordo comercial com o produtor para redução desse custo no médio e longo prazo, seja através de acordos de transferência de tecnologia, de exclusividade ou por outros meios que eu desconheço.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Com base no estudo citado na recomendação (Finkel, 2017) o grupo concluiu que as evidências não eram adequadas. Com relação ao desfecho primário desse estudo, com muito respeito, gostaria de questionar: uma redução de quase 50% na probabilidade de óbito/ventilação mecânica no grupo tratado é uma evidência significativa? Qual seria então? Lembro de vários tratamentos oncológicos aprovados cujo aumento na expectativa de vida beirava 30%. Além disso, com relação ao desfecho secundário, a melhora na escala CHOP não pode ser considerada como insignificante (não me refiro à significância estatística), mas ao que representa 1 ou 2 pontos na escala CHOP de quem vê esses pacientes há algum tempo. Resta, a meu ver, estabelecer um limite Terapeutico também evitando a distanásia. Estabelecer critérios de melhora que indicariam a suspensão ou não introdução do tratamento.</p> <p>2ª - Sim, Gostaria de acrescentar o ensaio clínico de fase 3 de Mercuri e colaboradores. Os resultados, novamente, me parecem significativos.</p> <p>3ª - Sim, Para uma análise econômica mais correta não se deve levar em consideração apenas o custo do medicamento. Seria importante que o SUS verificasse os custos (diretos e indiretos) que esses pacientes já causam ao sistema. Certamente esses números, infelizmente, não devem estar disponíveis pelas seguintes razões: * Na minha experiência pessoal observo que as crianças vinculadas ao SUS permanecem ocupando vagas de UTI sem possibilidade de alta por longos anos, reduzindo ainda mais o número de leitos disponíveis em UTI pediátricas. Assim, o SUS não contabiliza esse gasto, pois remunera os municípios por “pacotes” e não acaba sabendo o custo direto desse paciente ao hospital. Apenas o gestor local sabe desse custo. * As crianças assistidas pela saúde suplementar acabam recebendo seu tratamento em esquema de internação domiciliar com custo igualmente elevado para as operadoras (e não pelo SUS). Qual é o custo disso para elas? * Os custos indiretos (redução do número de leitos SUS em terapia intensiva pediátrica; impacto dessa redução na assistência de outros ptes; um dos responsáveis fora do mercado de trabalho; desestruturação familiar, etc.) não são contabilizados nunca, mas sem dúvida essa doença causa grande impacto aos familiares e à economia desses indivíduos. Esses valores são importantes para definir qual seria o impacto econômico da medicação. Por fim, não há dúvida que o custo nominal de cada tratamento seria superior ao que já é gasto nos cuidados paliativos, mas creio que apresentar esse custo em seu relatório o tornaria mais robusto e menos simplista.</p> <p>4ª - Sim, Sem dúvida, o impacto econômico junto ao SUS é imenso e supera qualquer precedente histórico. Concordo que esse aspecto não pode ser desconsiderado, mas por outro lado não podemos impedir que cidadãos brasileiros tenham acesso a um medicamento que minimamente pode elevar sua sobrevivência e/ou tempo fora de ventilação em quase 50%. A meu ver, cumpre à Conitec uma decisão técnica. A decisão econômica cumpre ao gestor, ou seja, cabe a ele o estabelecimento de acordo comercial com o produtor para redução desse custo no médio e longo prazo, seja através de acordos de transferência de tecnologia, de exclusividade ou por outros meios que eu desconheço.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo que a indicação deve ser incluída para paciente com AME tipo II e III também, conforme prescrição médica, pois os estudos também demonstram melhora para esses pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Segue relatório fisioterapêutico realizado para um paciente com AME II, onde evidencia através da escala de Hammersmith a melhora do quadro motor após início da medicação e ainda alguns artigos científicos que elucidam a melhora clínica desses pacientes com AME.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
15/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, A eficácia de nusinersena foi demonstrada em estudos clínicos em pacientes sintomáticos (CS2, CS3A, ENDEAR [CS3B], CHERISH [CS4] e CS12), incluindo pacientes com idade entre 30 dias a 15 anos no momento da primeira dose, e um ensaio clínico com pacientes pré-sintomáticos (NURTURE [CS5]), em idade entre 3 dias a 42 dias no momento da primeira dose. Os resultados de eficácia destes estudos clínicos demonstraram que o tratamento com nusinersena proporciona benefícios, baseando-se em escalas de função motora reconhecidos mundialmente no meio científico, entre eles: CHOP INTEND, exame Neurológico Infantil de Hammersmith (HINE) e Marcos Motores da Organização Mundial da Saúde (OMS). Os dados apresentados nos estudos acima referidos mostraram forte evidência da eficácia de Spinraza (nusinersena) no tratamento de pacientes com múltiplos fenótipos da AME, incluindo pacientes sintomáticos e pré - sintomáticos. Além disso o medicamento demonstrou um perfil de risco-benefício favorável. Os dados de segurança demonstram incidência geral de eventos adversos semelhante entre o grupo nusinersena e grupo-controle. Diante de uma doença rara e anteriormente sem nenhuma opção terapêutica atualmente disponível no Brasil, é imprescindível reconsiderar a disponibilização desse medicamento no Sistema Único de saúde. Negar o acesso desse medicamento a população acometida é negar uma chance à vida, negar o direito a condições mínimas para a vida. Mais um ponto que me mantém favorável à incorporação desse medicamento ao SUS, é que a empresa responsável, Biogen, comprometeu-se a arcar junto com o sus com o tratamento dos demais pacientes com indicação do nusinersena que extrapolassem o acordo firmado.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>Descrição da contribuição</b>	<b>Referência</b>
15/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. vários estudos reforçam o efeito positivo da Nusinersena para os pacientes com AME independente da idade</p> <p>2ª - Sim, este estudo demonstra efeito favorável do uso da medicação</p> <p>3ª - Sim, buscar orçamentos extras para tratamento de doença rara</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, após 14 anos de prática clínica e manejo de pacientes que vem realizando tratamento através de ordem judicial posso comentar que a melhora do paciente é visível em termo de estabilidade do quadro</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo pois acompanho diversas crianças que fazem o tratamento e inclusive meu filho e a evolução deles estão sendo maravilhosas e quanto a parte financeira esta na Constituição Federal que os brasileiros tem direito a tratamento e se este é o único tratamento medicamentoso disponível no mundo par a doença, vocês tem que aceitar a realidade e quem saber um meio de pagar o tratamentos seja usar o dinheiro recuperado dos politicos corruptos!</p> <p>2ª - Sim, Ja existem estudos recentes na Itália e Alemanha para pacientes que começaram a recebr o tratamento com idade elevada com AME tipo 1 de até 19 anos de idade e o reslutado mostra evolução no CHOP Intend e isso que este acompanhamento foi somente de seis meses!Segue link dos estudos:<a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/29960818">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/29960818</a><a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/29689734">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/29689734</a></p> <p>3ª - Sim, Vocês tem que fazer analise de como este tratamento esta mudando a história da doença e vocês e quanto a parte financeira o Governo tem que dar um jeito afinal são pagos para isso e segue em anexo o gasto de uma criança em Regime de internação hospitalar que serve de exemplo para as que usam home care e hoje as crianças americanas com 3 anos de tratamento não se tem esta despeza e hoje no segundo ano custa para o Governo menos de R\$ 700 e ja esta abaixo deste investimento e com a inclusão no SUS o valor do medicamento cairá drasticamento e nós todos sabemos disso!</p> <p>4ª - Sim, O impacto pode ser diluido se houver controle sobre a s matérias que coloquei exemplo abaixo e os portadores da doenças não podem pagar com a vidas pelos erros dos governantes!<a href="https://g1.globo.com/ba/bahia/noticia/malas-que-armazenavam-r-51-milhoes-em-bunker-atribuido-a-geddel-sao-entregues-ao-stf.ghtml">https://g1.globo.com/ba/bahia/noticia/malas-que-armazenavam-r-51-milhoes-em-bunker-atribuido-a-geddel-sao-entregues-ao-stf.ghtml</a><a href="https://noticias.uol.com.br/politica/eleicoes/2018/noticias/2018/06/15/tse-confirma-fundo-de-r-17-bi-para-eleicao-e-divulga-cota-de-partidos.htm">https://noticias.uol.com.br/politica/eleicoes/2018/noticias/2018/06/15/tse-confirma-fundo-de-r-17-bi-para-eleicao-e-divulga-cota-de-partidos.htm</a><a href="https://marcossodre.jusbrasil.com.br/noticias/111749653/congresso-nacional-custa-r-23-milhoes-por-dia">https://marcossodre.jusbrasil.com.br/noticias/111749653/congresso-nacional-custa-r-23-milhoes-por-dia</a><a href="https://g1.globo.com/politica/noticia/viagens-de-jatinho-flat-de-luxo-refeicao-de-r-1000-gastos-de-senadores-com-cota-parlamentar-chegam-a-r-266-milhoes-em-2017.ghtml">https://g1.globo.com/politica/noticia/viagens-de-jatinho-flat-de-luxo-refeicao-de-r-1000-gastos-de-senadores-com-cota-parlamentar-chegam-a-r-266-milhoes-em-2017.ghtml</a><a href="https://politica.estadao.com.br/blogs/fausto-macedo/governo-cabral-roubou-em-todas-as-areas-diz-procurador-da-lava-jato/">https://politica.estadao.com.br/blogs/fausto-macedo/governo-cabral-roubou-em-todas-as-areas-diz-procurador-da-lava-jato/</a></p> <p>5ª - Sim, Peço humanidade e ajudem a mudar a história da doença no pais assim como esta acontecendo no resto do mundo e não sejam resposáveis pelas mortes que houver por falta de tratamento!NOSSAS CRIANÇAS QUEREM VIVER E AGORA TEMOS UM TRATAMENTO QUE MUDA A HISTÓRIA DA DOENÇA, NO ULTIMO MÊS E MEIO PERDEMOS 10 CRIANÇAS PARA A DOENÇA E SABEM QUANTOS DESTE RECEBIAM O TRATAMENTO? NENHUM AGORA DOS QUE RECEBEM O TRATAMENTO SABEM QUANTOS FALECERAM? NENHUM!Este menino do video iniciou o tratamento com quase três anos! E veja como ele esta e este video ja tem mais de um ano! Hoje os portadores de AME tem uma possibilidade de ter um futuro melhor e vocês podem fazer parte desta história feliz ou.....</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
15/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Com base no estudo citado na recomendação (Finkel, 2017) o grupo concluiu que as evidências não eram adequadas. Com relação ao desfecho primário desse estudo, com muito respeito, gostaria de questionar: uma redução de quase 50% na probabilidade de óbito/ventilação mecânica no grupo tratado é uma evidencia significativa? Qual seria então? Lembro de vários tratamentos oncológicos aprovados cujo aumento na expectativa de vida beirava 30%. Além disso, com relação ao desfecho secundário, a melhora na escala CHOP não pode ser considerada como insignificante (não me refiro à significância estatística), mas ao que representa 1 ou 2 pontos na escala CHOP de quem vê esses pacientes há algum tempo. Resta, a meu ver, estabelecer um limite Terapeutico também evitando a distanásia. Estabelecer critérios de melhora que indicariam a suspensão ou não introdução do tratamento.</p> <p>2ª - Sim, Gostaria de acrescentar o ensaio clínico de fase 3 de Mercuri e colaboradores. Os resultados, novamente, me parecem significativos.</p> <p>3ª - Sim, Para uma análise econômica mais correta nao se deve levar em consideração apenas o custo do medicamento. Seria imporante que o SUS verificasse os custos (diretos e indiretos) que esses pacientes já causam ao sistema. Certamente esses números, infelizmente, não devem estar disponíveis pelas seguintes razões: * Na minha experiencia pessoal observo que as crianças vinculadas ao SUS permanecem ocupando vagas de UTI sem possibilidade de alta por longos anos, reduzindo ainda mais o numero de leitos disponíveis em UTI pediátricas. Assim, o SUS não contabiliza esse gasto, pois remunera os municípios por “pacotes” e não acaba sabendo o custo direto desse paciente ao hospital. Apenas o gestor local sabe desse custo. * As crianças assistidas pela saúde suplementar acabam recebendo seu tratamento em esquema de internação domiciliar com custo igualmente elevado para as operadoras (e não pelo SUS). Qual é o custo disso para elas? * Os custos indiretos (redução do número de leitos SUS em terapia intensiva poediátrica; impacto dessa redução na assistência de outros pctes; um dos responsáveis fora do mercado de trabalho; desestruturação familiar, etc.) não são contabilizados nunca, mas sem duvida essa doença causa grande impacto aos familiares e à economia desses indivíduos. Esses valores são importante para definir qual seria o impacto econômico da medicação. Por fim, não há dúvida que o custo nominal de cada tratamento seria superior ao que já é gasto nos cuidados paliativos, mas creio que apresentar esse custo em seu relatório o tornaria mais robusto e menos simplista.</p> <p>4ª - Sim, Sem dúvida, o impacto econômico junto ao SUS é imenso e supera qualquer precedente histórico. Concordo que esse aspecto não pode ser desconsiderado, mas por outro lado não podemos impedir que cidadãos brasileiros tenham acesso a um medicamento que minimamente pode elevar sua sobrevida e/ou tempo fora de ventilação em quase 50%. A meu ver, cumpre à Conitec uma decisão técnica. A decisão econômica cumpre ao gestor, ou seja, cabe a ele o estabelecimento de acordo comercial com o produtor para redução desse custo no médio e longo prazo, seja através de acordos de transferência de tecnologia, de exclusividade ou por outros meios que eu desconheço.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem casos comprovados no Brasil e no exterior de melhoras consideráveis em crianças que fazem o uso do Spinraza logo que a AME é diagnosticada, melhorando a qualidade de vida e possibilitando a superação da expectativa de vida prevista sem a administração da medicação.</p> <p>2ª - Sim, Menina com doença rara que tinha expectativa de viver dois anos chega aos 9 e surpreende médicosMãe de criança com atrofia muscular espinhal (AME) cria associação para conscientizar sociedade sobre a condição POR CLARISSA PAINS 27/08/2015 7:00 / atualizado 27/08/2015 14:30Leia mais: <a href="https://oglobo.globo.com/sociedade/saude/menina-com-doenca-rara-que-tinha-expectativa-de-viver-dois-anos-chega-aos-9-surpreende-medicos-17215213#ixzz5RDO18NVg">https://oglobo.globo.com/sociedade/saude/menina-com-doenca-rara-que-tinha-expectativa-de-viver-dois-anos-chega-aos-9-surpreende-medicos-17215213#ixzz5RDO18NVg</a> stest</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	
15/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Hoje temos artigos que com evidências de melhora do quadro motor e impacto positivo na qualidade de vida dos pacientes com AME tratados com Nusinersen. Com os primeiros pacientes tratados no país, surgem ainda os relatos médicos e de familiares sobre a resposta ao tratamento.</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
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Poder oferecer um medicamento que comprovadamente interrompe a degeneração neuronal, significa estacionar as manifestações da doença, e poder a partir daí, interromper a progressão para a morte precoce, retomando as aquisições funcionais, pelos também comprovados, caminhos da neuroplasticidade na reabilitação neurofuncional. Conquistando sobrevida e qualidade de vida a esses pacientes.</p> <p>2ª - Sim, A recomendação da Conitec se apóia em expectativas de resultados que somente se fortalecerão a longo prazo, mas o que os portadores de AME valorizam com o uso de Nusinersena mais precocemente possível, é a interrupção da progressão da doença, que significa para eles, aumento da expectativa de vida com simultânea aquisição de qualidade nas suas vidas. E isto já é certo.</p> <p>3ª - Sim, Com a adoção dos protocolos corretos para o tratamento desses pacientes, com base nos consensos para cuidados padrão em AME, os mesmos estão conseguindo superar as expectativas de tempo de vida. Consequentemente, o custo anual para garantir as devidas assistências é elevado. Com o tratamento com Nusinersena, o impacto na redução do custo anual do tratamento, deve ser abatido nos custos estimados para o tratamento com o medicamento.</p> <p>4ª - Sim, Com a adoção dos protocolos corretos para o tratamento desses pacientes, com base nos consensos para cuidados padrão em AME, os mesmos estão conseguindo superar as expectativas de tempo de vida. Consequentemente, o custo anual para garantir as devidas assistências é elevado. Com o tratamento com Nusinersena, o impacto na redução do custo anual do tratamento, deve ser abatido nos custos estimados para o tratamento com o medicamento.</p> <p>5ª - Sim, Tenho evidências clínicas que, desde 2003 venho conseguindo, como fisioterapeuta, cuidar de pacientes com AME, evitando traqueostomia, extubando os mesmos para Ventilação Não Invasiva - VNI, e mantendo os mesmos alternando VNI com ventilação espontânea. Atualmente, o paciente com mais idade, se mantendo nessas condições, está com 11 anos e 8 meses. Os mesmos, também são estimulados com protocolo de cuidados para a motricidade, e conseguem realizar atividades funcionais consideradas impossíveis para os mesmos. Os referidos protocolos, de cuidados respiratórios, e de cuidados com a motricidade, foram apresentados no congresso da CURESMA em Orlando no ano passado. Anais anexo. Anexo também, referndo da ABRAME para os protocolos que sistematizei.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. E uma vida em jogo Como pode o poder publico nao ajudar E so cortar gastos com o poder executuvou</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim,</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O governo tem q pensar em seu povo, e não roubar de seu povo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Impacto muito menor do q salários de alguns parlamentares q fazem muito pouco por sua nação.</p> <p>5ª - Sim, Conhecendo um paciente com AME , todos seriam a favor de colocar a disposição todos os medicamentos necessário para melhorar sua qualidade de vida.</p>	
16/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Porque se torna impossível um pai de família , um trabalhador comprar o remédio. É um filho , uma 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
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Qualificar as evidências científicas de frágeis é um equívoco. Depois de ser testada em animais de laboratório, comprovada a tese de seu funcionamento e verificada sua segurança e eficácia nos mesmos, foi publicado em 2016 o primeiro estudo da nusinersena em seres humanos. Estudo fase 1, realizado com 18 pacientes entre 2 e 12 anos, com Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo 2/3, com 3 ou mais cópias de SMN2, divididos em grupos de diferentes doses, não observou eventos adversos sérios e nenhum indivíduo interrompeu o estudo de extensão devido a evento adverso. Houve melhora clínica em todas as faixas etárias, com gradiente de melhora diretamente relacionada a dose, e aparente após 85 dias da aplicação inicial. (Chirboga et al; Neurology® 2016;86:890–897) Ensaio aberto de fase 2, avaliou em 20 lactentes de 3 semanas a 7 meses, o uso da medicação em doses diferentes. A dose de 12 mg mostrou os melhores ganhos no desenvolvimento e melhoras evolutivas em comparação com as pontuações de início do estudo na escala de função motora do CHOP-INTEND. Ademais a curva de sobrevivência comparada a de coorte de história natural mostra o impacto na queda dos óbitos com o uso do medicamento (p=0,014). Novamente não houve evento adverso considerado relacionado à medicação, e sim as complicações reconhecidamente relacionadas à doença. (Finkel et al; Lancet. 2016;388(10063):3017-3026) O artigo que contém os resultados do ensaio clínico fase 3 em lactentes com AME é utilizado no relatório da CONITEC e passo a comentar em função do que nele é mencionado. (Finkel et al; N Engl J Med. 2017;377(18):1723-1732)</p> <p>2ª - Sim, Diz o relatório em uma pergunta inicial e resposta resumida a seguir: O medicamento nusinersena é eficaz, seguro e custo-efetivo para o tratamento da AME 5q tipo I? Nusinersena apresenta resultados de eficácia modestos e incertos para o tratamento de crianças com AME 5q tipo I, portadoras de duas cópias do gene SMN2, e início do tratamento em até 6 meses de idade. Diz o relatório sobre os resultados do estudo ENDEAR para basear sua resposta acima copiada: Menos crianças que receberam nusinersena morreram em comparação ao grupo controle (16% versus 39%, p&lt;0,05). Mais crianças do grupo nusinersena apresentaram resposta à escala CHOP INTEND, quando comparado ao grupo controle (71% versus 3%, p&lt;0,0001) maior número de pacientes do grupo nusinersena apresentando resposta à escala motor-milestone HINE-2 que o controle (51% versus 0%) A sobrevida livre de evento foi estatisticamente maior no grupo que recebeu nusinersena, comparado ao controle (61% versus 32%, p= 0,005) COMENTÁRIO: Diminuir o percentual de crianças que morrem à metade, manter sobrevida livre de evento à metade e possibilitar a expressão do desenvolvimento motor com uso do medicamento em comparação com o não uso é um resultado modesto e incerto? Certamente não o é para os seus familiares, para os médicos que sempre acompanharam crianças com esta doença progressiva motora que preserva a capacidade de percepção dos acometidos, e não o foi para os avaliadores da revista de impacto na qual o resultado foi publicado. Diz o relatório sobre o estudo do acesso expandido da Alemanha: (PECHMANN et al., 2018) Todos os desfechos avaliados são considerados de menor relevância. Coloca os resultados do estudo: Após seis meses de tratamento, foi identificada uma melhora de 9,0 ± 8,0 pontos na escala CHOP INTEND. Na análise de subgrupo, com relação à idade no início do tratamento, foi observada uma mudança maior no escore CHOP INTEND em crianças com idade &lt; 7 meses em comparação com crianças mais velhas (&gt; 7 meses de idade: 14,4 ± 9,2; &lt; 7 meses de idade: 7,0 ± 6,6, p&lt;0,05), revelando a idade no início do tratamento como principal determinante de mudança no escore</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>CHOP INTEND e única estatisticamente significativa. Em relação à função respiratória, 19 crianças (31,1%) não necessitaram de suporte ventilatório, enquanto seis crianças (9,8%) iniciaram com Ventilação Não Invasiva (VNI) por 16 horas/dia no dia 180 do tratamento. Melhora foi relatada em quatro crianças (6,6%): em três delas o tempo de uso do ventilador foi reduzido para oito horas por dia e em uma criança, com fenótipo mais brando, a VNI foi terminada após o dia 30 de tratamento</p> <p>COMENTÁRIO: Quais seriam os desfechos relevantes em uma doença progressiva, de acometimento primariamente motor e cuja principal causa de mortalidade é a restrição ventilatória? Em se tratando da questão motora em uma doença progressiva, parar a sua progressão já traz impacto, muito mais ainda o surgimento de melhora da capacidade motora ao longo do tempo em quem está condenado a involuir neste aspecto. O fato deste impacto ser maior quanto mais cedo iniciado o tratamento, nos informa que existe necessidade de agilidade para diagnosticar estas crianças e introduzir a terapêutica inespecífica e específica o quanto antes, mas não que a idade seja o determinante de mudança de score. Esta mudança pode levar mais tempo para acontecer em crianças mais velhas. Diz o relatório sobre os estudos de coorte do acesso expandido e para o estudo SHINE: As informações apresentadas foram retiradas de um resumo publicado em um volume de congresso. Diz o relatório: Dessa forma, as evidências não permitem resultados conclusivos sobre a segurança do uso do nusinersena, sendo necessários estudos de vida real com maiores tempos de acompanhamento. Diz o relatório: Evidências clínicas apresentadas são frágeis e os resultados obtidos com o tratamento, observados no ensaio clínico pivotal, não demonstram aumento de sobrevida para além da expectativa de vida esperada para crianças com a doença. COMENTÁRIO: Para doenças raras de curso rapidamente progressivo existem adaptações necessárias a serem consideradas no planejamento e execução de pesquisas clínicas. Embora ensaios clínicos randomizados sejam considerados padrão ouro, por minimizar viés de seleção e de confundimento, características das doenças raras podem impossibilitar tais estudos. Efeitos podem ser demonstrados por ensaios pequenos comparativos à informações de história natural por exemplo. Mitsumoto et al; Ann Neurol. 2009 Aug;66(2):184-90 Os dados de história natural de fato foram melhorando ao longo dos anos com os cuidados multidisciplinares instituídos precocemente. Manna et al J Clin Neuromuscul Dis. 2009 Mar;10(3):85-9 Mas o impacto da nusinersena pode se revelar ainda maior.. O uso de controle concede maior força ao estudo, e isto foi feito no caso da AME 5q tipo 1 e a nusinersena. A redução da expectativa de vida na AME 5q tipo 1 traz ainda considerações éticas importantes que não são exploradas no relatório. Estas questões tanto impactam os ensaios clínicos randomizados quanto impõem maior pressão ao médico que assiste a estes pacientes e suas famílias. Também determina maior urgência na análise de resultados dos ensaios clínicos, que infelizmente não são contemplados com publicação em tempo reduzido, tendo-se daí a necessidade de contar com resumos veiculados e não o artigo na íntegra. Finalmente, e não menos importante a urgência de atitudes para que não se percam as melhores janelas terapêuticas. As Sociedades Médicas que assistem estes brasileiros com Atrofia Muscular Espinhal, sejam eles bebês, crianças, adolescentes ou adultos, estão em força tarefa, na discussão para produção de nota de situações urgentes para o acesso ao medicamento, enquanto aguardam a possibilidade de elaborar um protocolo clínico de diretrizes terapêuticas mais abrangentes.</p> <p>3ª - Sim, Medicamentos novos tem precipitação mais alta, medicamentos para doenças raras tem</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>precipitação mais alta. Entendendo-se que o número potencial de usuários no Brasil é bem maior que muitos outros países, e que a medicação pode ser de uso por tempo mais prolongado, cabe a negociação entre as partes, vendedor e comprador. O poder de barganha de um país onde nascem de 300 a 500 novos indivíduos com esta doença por ano, não pode ser menosprezada. Para uso crônico, pode se discutir programas de redução gradativa de preço. Estas são apenas idéias de quem está no meio do fogo cruzado, pensando no bem estar dos pacientes.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Esta é uma doença que potencialmente reduz a expectativa de vida, com maior ou menor impacto na dependência do tipo de AME. O tipo 1, que agora está sendo colocado em destaque nesta consulta pública, é o que mais sofre com o risco de morte precoce. Lembro no entanto, que para todos os tipos estamos falando de uma doença que determina incapacidade física, sem envolvimento intelectual, portanto falamos de brasileiros capazes de alcançar independência financeira, contribuição social e econômica, deste que sejam concedidos a eles a manutenção de suas funções motoras, contendo a progressão da doença que evolui com piora gradativa.</p>	
16/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acho que o governo deveria custear este medicamento assim como outros que já faz. É um medicamento muito caro e a maioria esmagadora da população não tem condições de pagar este tratamento. Tendo amanhã vista que somente este medicamento tem efeito satisfatório no tratamento da AME.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/09/2018	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
16/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Isso é mais um absurdo que o governo brasileiro está fazendo! Temos o direito de proteger nossos anjinhos com qualquer medicação necessária.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes com esta atrofia, teriam de ter acesso a este tratamento, sem precisar brigar na justiça.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/09/2018	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>	
16/09/2018	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>	
16/09/2018	Interessado no tema	<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
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente 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>
16/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O caso é singular e todos temos direito a vida. Não há mensuralçai de custo a respeito disso,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Não é parâmetro.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A compra é imperativa, na perspectiva ética e política.</p>	
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A doença é rara o custo é elevado mas se existe um medicamento para minimizar os efeitos da doença e melhorar a sobrevivência acho que deve ser feito .É uma vida em jogo</p> <p>2ª - Sim, Estudos como CHERISH e ENDEAR enfatizam o potencial terapêutico do Nusinersena para AME</p> <p>3ª - Sim, O custo é elevado mas ressalto que é uma vida e um tratamento estabelecido para doença grave e neurodegenerativa.Deverá haver um meio de solucionar esta questão.Os estados deveriam ter uma reserva técnica destinada so para doenças raras</p> <p>4ª - Sim, O impacto é visualizado porque a doença é rara e parece que é muito gasto para poucas pessoas mas o dinheiro público neste Brasil é, na grande maioria das vezes é desperdiçado inutilmente porque não aplicar de uma forma ética para quem precisa ,independente da classe social.</p> <p>5ª - Sim, Acompanho uma paciente com doença de Pompe .O impacto da reposição enzimática nestes pacientes reduziu a mortalidade e morbidade assim como a esperança dos pais para esta doença ou outra rara.Tive a oportunidade de ter 7 pacientes com AME e só tem uma viva com 10 anos de idade e internada neste mesmo tempo movimentando somente os olhos e com repercussão na vida familiar.Há 10 anos a mãe visita sua filha no hospital</p>	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>Descrição da contribuição</b>	<b>Referência</b>
16/09/2018	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
16/09/2018	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O INAME discorda da recomendação preliminar da CONITEC, por ter sido feita com base em um relatório tendencioso e de baixa qualidade, elaborado sem os mínimos critérios de transparência e sem a presença de profissionais especialistas e referências em amiotrofia muscular espinhal. Nusinersena deve ser incorporado ao SUS para tratamento de AME Tipo 1 porque é direito constitucional de TODOS os pacientes terem acesso ao único medicamento disponível para tratar esta doença cruel e fatal.</p> <p>2ª - Sim, Quanto à metodologia, percebe-se que, a despeito da ampla procura por artigos, o relatório técnico da CONITEC não incluiu De Sanctis et al. 2018, o mais extenso estudo sobre EAPs (Expanded Access Programs, ou Programas de Acesso Expandido), que evidencia e contradiz várias das conclusões deste relatório e que será mencionado a seguir. Também não mencionou Finkel et al., 2016 que avalia o tratamento com nusinersena por 40 semanas. Avaliando a qualidade metodológica, o relatório da CONITEC classificou Finkel et al., 2017 como “qualidade moderada” e os estudos de coorte Pechmann, 2018 e Farrar, 2018 como “baixa qualidade metodológica, uma vez que não possuíam grupos de comparação”. É certo que estes artigos não apresentaram grupos de comparação. Contudo, a história natural da doença já está amplamente documentada e os resultados dos estudos relatados pelos artigos podem ser facilmente comparados ao curso natural da doença, já documentado em diversos artigos científicos, tais como Kolb, S. J. et al., 2017; Finkel, R. S. et al., 2014; Zerres, K. &amp; Rudnik-Schoneborn, 1995; Bertini E, Mercuri E. , 2018, dentre outros. O relatório da CONITEC apega-se ao formalismo vicioso que, a pretexto de defender a metodologia científica, desmerece resultados solidamente evidenciados. A elaboração de um relatório como este demanda a participação de quem realmente conhece do assunto, somando-se especialidade técnica na área de neurologia pediátrica, experiência científica e experiência clínica com a doença. Tal relatório não pode ser elaborado apenas por algumas pessoas que leram alguns artigos – sob pena de incorrerem em falta de credibilidade nas conclusões alcançadas. Ao justificar a baixa qualidade dos estudos de coorte citados acima (pg. 31 do relatório), a CONITEC menciona que “o ensaio clínico foi financiado pela empresa produtora do medicamento, bem como os programas de acesso que deram origem às coortes de pacientes da Alemanha e Austrália”. Porém o método Newcastle-Ottawa, escolhido para avaliar a qualidade dos estudos e apresentado na página 30, não utiliza a fonte de financiamento como critério de avaliação da qualidade dos estudos. Logo, este não poderia ser considerado um motivo para a baixa qualidade. A CONITEC também ignora que a pesquisa Pechmann, 2018 foi financiada pela Initiative SMA – DGM e.V. (entidade sem fins lucrativos formada por familiares com o objetivo de financiar pesquisa), não pela Biogen, e que os autores da pesquisa receberam financiamento de diversos outros laboratórios concorrentes da Biogen e que estão desenvolvendo terapias que devem concorrer com a nusinersena nos próximos anos, portanto não teriam interesse em “manipular” resultados para favorecer a indústria fabricante de nusinersena. A CONITEC deveria utilizar, para avaliar os seus próprios estudos, os mesmos critérios de avaliação de viés que aplica aos artigos analisados. O relatório da CONITEC aborda o trabalho de Finkel et al., 2017, afirmando que “os critérios de inclusão e exclusão definidos no estudo apontam para a seleção de crianças com doença menos grave dentre aquelas que possuem AME 5q tipo I”, o que é falso e claramente tendencioso: não há nada no estudo que tenha afirmado que a gravidade da doença tenha sido critério de seleção. Muito pelo contrário: ao estabelecer como critério de seleção a</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>presença de duas cópias do SMN2, o estudo teve o cuidado de excluir justamente os pacientes com 3 cópias do SMN2, que são considerados menos graves dentre aqueles que possuem AME 5q Tipo 1. Noutro giro, se por um lado foram selecionadas crianças que tinham ainda condições respiratórias razoáveis (saturação ambiente maior ou igual a 96%), também não foram excluídas crianças, por exemplo, que não tinham mais capacidade de deglutição e se alimentavam por gastrostomia. Não há como afirmar que a seleção favoreceu algum grupo, mais ou menos grave. Quanto à avaliação de Pechmann, 2018, também há claro viés na linguagem quando afirma que houve “modesta melhora da função motora”. Os resultados de Chop-Intend aumentaram 9 pontos a partir de 22,3 e os de HINE, 1,4 pontos a partir de 1,1, em linha com os demais estudos. Além da melhora, mesmo que modesta, ressalta-se a estabilização das funções motoras em uma condição sabidamente progressiva. Por fim, afirma uma inverdade: “(...) com relação à função respiratória e o estado nutricional, as crianças apresentaram piora após os seis meses de tratamento, com maior necessidade de uso de ventilação mecânica ou traqueostomia, bem como de gastrostomia.” Ora, sabendo que o medicamento não é ainda, infelizmente, a cura da AME, é de se esperar que ainda haja incidência de eventos adversos. Cabe, por óbvio, a comparação com a história natural da doença (Farrar et al., 2013; Finkel et al., 2016) e esta é clara: há sensível redução de eventos adversos graves com o tratamento. Ao excluir de sua análise o estudo De Sanctis et al., 2018, que ratifica a evolução da função motora de estudos anteriores, mas desta vez em uma amostra ainda maior, de 104 pacientes no EAP na Itália, o relatório da CONITEC não traz à luz conclusões como “Even if limited to the first 6 months of treatment, our preliminary results suggest that a motor functional improvement can be frequently observed in patients outside the range of the inclusion criteria used in the Endear study”. Ou seja: embora a eficácia do tratamento seja maior quanto mais cedo iniciado, o estudo evidencia que há ganhos também para crianças que iniciam o tratamento acima dos 7 meses de idade. Novamente, ressalta-se aqui a importância de estabilizar a progressão da doença, e não só obter ganhos funcionais. Ao mencionar que, por se tratar de estudos com duração menor que 15 meses, não seria possível fazer inferências quanto ao aumento da sobrevivência dos pacientes, o relatório da CONITEC mais uma vez oculta informações importantes: Finkel et al., 2017 mostra que a expectativa média de vida sem eventos no grupo de controle é de 22,6 semanas, enquanto no grupo com nusinersena, como não atingiu este ponto, é de pelo menos 56 semanas (e potencialmente maior). A comparação das curvas de sobrevivência também mostra, embora nenhum dos dois grupos tenham atingido a mediana, que o grupo tratado com nusinersena possui probabilidade de sobrevivência maior do que o grupo de controle. Resultado similar também é observado em Finkel et al., 2016, que compara o tratamento com nusinersena com o curso natural da doença num período de 40 meses. Afirma também que não se pode fazer inferências quanto ao uso prolongado da droga. É verdade, e assim o é simplesmente porque o medicamento é novo! Como conhecer seu efeito de longo prazo se o longo prazo ainda não aconteceu? Ou pior: como conhecer seu efeito de longo prazo sem utilizar o medicamento, como é a recomendação do relatório? O que se conhece no momento é a sua eficácia e segurança e não há por enquanto elementos que sugiram sua não aplicação. Ao realizar a avaliação final sobre a segurança do medicamento, a exemplo do restante do documento, a CONITEC faz afirmações falsas ou tendenciosas e comete omissões. Inicia com “Quanto à segurança, os estudos ECR adotaram uma metodologia sujeita a várias limitações, na qual os EA poderiam ser considerados</p>	

relacionados ou não ao tratamento, de modo que o julgamento sobre a causa de tais eventos ficou prejudicada”. Ora, como “selecionar” quais efeitos adversos estão ou não relacionados ao tratamento? Ou por outro lado: se os autores tivessem classificado os EAs em relacionados ou não ao tratamento, não seriam passíveis de crítica de viés? A abordagem de não classificar os EAs por sua suposta causa, apenas quantificando-as, é conservadora e, por isso, um mérito da metodologia, não uma limitação. A CONITEC segue aquiescendo “Ainda assim, os estudos demonstraram não haver maiores frequências de EA potencialmente relacionadas ao medicamento no grupo que usou nusinersena em relação ao controle”, ou seja, reconhecendo que o tratamento não traz maior risco do que o não-tratamento. Mais do que isso: o texto flagrantemente oculta que a frequência de EAs graves no grupo em tratamento com nusinersena não só não excede o grupo de controle como é significativamente menor, o que evidencia que o tratamento medicamentoso é mais seguro do que o não-tratamento. A conclusão do relatório afirma: “Já em uma das coortes, identificou-se alta proporção de EA graves, que levaram à morte, hospitalização ou prolongamento da internação, dentre os EA relatados”. O comentário refere-se aos EAs reportados por Pechmann, 2018, com 54,7% da coorte apresentando eventos classificados como graves (morte, hospitalização ou prolongamento da internação). Contudo, o relatório não estabelece qual o parâmetro de comparação para definir “alta proporção”. Houvesse comparado com Finkel et al., 2017, teria concluído que os 54,7% são substancialmente menores, tendo em vista que em percentual bastante inferior aos 76% do grupo também tratado com nusinersena (refletindo a diferença de populações) e os 95% do grupo de controle, sem tratamento! A CONITEC conclui que “Dessa forma, as evidências não permitem resultados conclusivos sobre a segurança do uso do nusinersena, sendo necessários estudos de vida real com maiores tempos de acompanhamento”, finalizando o seu contorcionismo para afirmar o contrário do que os dados mostram: que o tratamento com nusinersena é significativamente mais seguro que o curso natural da doença. A CONITEC está apresentando conclusões e posicionando-se de maneira diametralmente oposta a diversos órgãos reguladores e órgãos de saúde no Brasil e no mundo – e a esmagadora conclusão foi pela segurança e eficácia de nusinersena em pacientes portadores de AME Tipo 1. No entanto, a Comissão não aponta quais os aspectos falhos nas avaliações realizadas por todos estes órgãos.

3ª - Sim, O relatório começa afirmando que “no Brasil, não existem diretrizes para a condução de avaliações econômicas em saúde para doenças raras” (p. 33). Não é só no Brasil que isso acontece: a avaliação de custo benefício no contexto de doenças raras não é consenso no mundo científico, principalmente pela dificuldade técnica de obter-se resultados confiáveis, além de questões éticas. O relatório utiliza um modelo de Markov para análise de custo-benefício, no qual são modelados apenas dois estados (eficácia e falha terapêutica), ambos obtidos através do tratamento com nusinersena ou tratamento convencional. Ocorre que o estado “eficácia terapêutica” é o mesmo, ou seja, tem a mesma utilidade (1) em ambos os tratamentos. Ora, isso equivale a dizer que toda a melhora na condição clínica do paciente decorrente do tratamento com nusinersena, largamente documentada nos estudos clínicos, e vivida pelas famílias com AME, simplesmente não está representada no modelo. A análise parte da suposição de que o único benefício do medicamento é a prorrogação da expectativa de vida, sem considerar como benefício a melhora de condições clínicas e qualidade de vida dos pacientes, completamente em desacordo com a realidade. O modelo de custos utilizado

[Clique aqui](#)

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>assume que o custo do tratamento com nusinersena é igual ao custo do tratamento convencional atualmente praticado no SUS mais o custo do medicamento. A principal causa de morte ou ventilação permanente em pacientes AME tipo 1 são complicações respiratórias, decorrentes da fraqueza muscular que causa broncoaspiração. A melhora na condição clínica obtida com o uso de nusinersena leva também a menor número de internações hospitalares e obviamente redução dos custos associados. Na página 56 do relatório consta o detalhamento dos gastos estimados do SUS, totalizando R\$15.880,68 mensais, dos quais 83% referem-se a procedimentos cirúrgicos/hospitalares, justamente os que tendem a reduzir. Não só na modelagem dos estados de Markov, mas também aqui o estudo falha em não considerar a melhora na condição clínica dos pacientes como um dos benefícios do tratamento com nusinersena. Além disso, o relatório informa que a referência de custos do SUS com o tratamento convencional totaliza R\$15.880,68 (p. 56) e refere-se ao período de 2000 a 2015. Fazendo-se uma simples atualização destes valores até 2017 pelo índice IPC Saúde (FIPE), este valor seria reajustado em cerca de 85%, aproximando-se de R\$30.000/mês ou cerca de R\$720.000 no período de análise de 2 anos, reduzindo o custo relativo do tratamento com nusinersena. Sob o pretexto da falta de evidências de longo prazo, a análise considera 24 meses como horizonte temporal do tratamento. Ora, trata-se de uma droga órfã e nova, é óbvio que não há evidências de eficácia de longo prazo! Não há também nenhuma evidência de que o medicamento perca eficácia após 24 meses. Esta modelagem é duplamente perversa: primeiro porque o tratamento no primeiro ano consiste em 6 doses, enquanto nos anos subsequentes, apenas 3; segundo porque a diferença de sobrevida tornar-se-á ainda maior após o segundo ano, dado que a probabilidade de sobrevivência em AME tipo 1 sem tratamento é menor que 25% após os 2 anos (Farrar et al., 2013). A escolha de 24 meses como horizonte temporal maximiza os custos e minimiza os benefícios de forma arbitrária, sem qualquer fonte adequada que a justifique. Passa-se à análise de custo-efetividade. Destacam-se inicialmente os erros primários apresentados no quadro 9, no qual houve a inversão dos valores nas colunas de Custo Incremental e RCEI. Além disso, aponta-se outra simplificação grave: o custo em 2 anos do tratamento convencional (R\$270.894,28) está baseado no histórico de custos do SUS entre 2000 e 2015, sem qualquer tipo de correção inflacionária para o período. Corrigindo o valor pelo índice inflação mencionado acima, do período até 2017, este ficaria em torno de R\$500.000,00, reduzindo o custo incremental do tratamento com nusinersena. Também não foi evidenciado com base em que dados foi calculado o custo do tratamento convencional por dois anos no SUS como R\$1.165.136,69 e com nusinersena R\$1.993.823,03 (p. 34). Já do lado dos benefícios, não há qualquer menção sobre como foram calculados os Meses de Vida Ganhos na página 35, tanto para o tratamento convencional (5,58) como para o com nusinersena (6,67). Estima-se que os MVG do tratamento convencional tenham sido baseados em Finkel et al., 2017: “The median time to death or the use of permanent assisted ventilation was 22.6 weeks in the control group and was not reached in the nusinersena group”. Contudo, se esta foi a referência, não há referência para o MVG de 6,67 do tratamento com nusinersena. Com efeito, Finkel et al., 2016, em um estudo de mais longo prazo, indica que mesmo após 40 meses o tempo de sobrevivência mediano não foi alcançado, de forma que poder-se-ia conservadoramente assumir 24 meses no MVG do Quadro 9, ao invés dos 6,67. Como nem o custo nem o benefício se sustentam, nenhuma conclusão pode ser tirada desta análise. Contudo, apenas para referência, o Quadro 09 do relatório</p>	

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

CONITEC corrigido o custo do tratamento convencional pela inflação (conforme explicado acima) e a efetividade para o tratamento com nusinersena ficaria conforme Tabela 1 no arquivo anexo. Por fim, há outros aspectos relacionados à falta de transparência e fatores éticos. Ainda que a análise de custo-efetividade estivesse confiável, o estudo afirma na página 35: “A relação custo-efetividade extrapola os precedentes históricos (...)”. Quais seriam os precedentes históricos? Qual o parâmetro utilizado para afirmar que um medicamento tem custo-benefício aceitável? Se o benefício é conhecido (segundo Finkel et al. 2017, nusinersena praticamente triplica a probabilidade de sobrevivência – hazard ratio for death 0.37), qual o custo aceitável para obtê-lo? Em outras palavras, quanto vale a vida?

4ª - Sim, Em todas as cinco referências bibliográficas fornecidas no relatório (Ogino, et al, 2002; Lunn & Wang, 2008; Prior, 2010; Arnold et al., 2015; Verhaart et al., 2017) a incidência de AME varia entre 1 a cada 10.000 e 1 a cada 11.000 nascidos vivos, portanto os autores cometem erro grave e primário ao utilizar como base o dado de 1 a cada 8.500 nascidos vivos, em descompasso com todas as fontes bibliográficas usadas no trabalho. Além disso, Verhaart et al., 2017 identificou que a incidência de AME na população negra e hispânica chega a ser 2,5 vezes maior que na população caucasiana e asiática, de forma que a incidência ajustada à população brasileira poderia ser estimada em torno de 1 a cada 14.000 nascidos vivos. Quanto ao número de nascidos vivos/ano no Brasil, com base nas Estatísticas de Registro Civil do IBGE, em 2016 (última referência nesta data) é 2.793.935, não os 3.058.783 do relatório. Assim, considerando-se a prevalência de 58% de AME tipo 1, o número de pacientes no 1º ano seria 116, ou 45% abaixo dos 209 no Quadro 11 do relatório CONITEC. Em seguida, o relatório estima que o tratamento seria por 2 anos, mas que 12% dos pacientes continuariam além desse período. O que causa estranheza é por que para efeitos de impacto orçamentário leva-se em conta que parte dos pacientes sobreviverá além dos 2 anos e para cálculo de custo-efetividade (ver seção anterior) apenas dois anos. Os valores calculados no Quadro 12 do relatório CONITEC estão absolutamente errados. Consideraram-se que são necessárias 6 doses por paciente em todos os anos do tratamento. Por exemplo, na coluna Ano 2, com valor do frasco de R\$54.112,00, o valor de R\$135.712.899,80 é obtido multiplicando-se 418 (número de pacientes no 2º ano evidenciado no Quadro 11) por 6 doses. Mas apenas metade dos pacientes vai tomar 6 doses, pois a outra metade começou o tratamento no ano anterior e vai tomar apenas 3 doses. O valor correto seria de R\$101.784.672,00 (o número mostrado é 33% maior que o real). O mesmo erro se propaga para os próximos anos. Assim, utilizando referências mais acuradas e corrigindo o erro de cálculo de impacto orçamentário (Quadro 12 do relatório CONITEC), tem-se que o impacto orçamentário em 5 anos ficaria entre R\$160 milhões e R\$1,2 bilhões (Tabelas 2 e 3 no documento anexo), ao invés dos R\$380 milhões a 2,85 bilhões reportados no relatório. Não se pode aceitar uma análise que apresenta impacto orçamentário 140% maior por mero erro de cálculo! Contudo, mesmo estes números podem estar superestimados pois: i. Não foi considerada a redução de custos de internação hospitalar no SUS, decorrente da melhor condição clínica dos pacientes tratados com nusinersena. Conforme relatado na página 56 do relatório da CONITEC, estas despesas representam mais do que 80% dos custos com pacientes com AME. ii. Não foi considerado o triste fato de que muitas crianças morrem antes dos 2 anos sem mesmo terem sido diagnosticadas. Para ter-se uma ideia da ordem de grandeza, segundo o Datasus, ocorreram 180 óbitos infantis referentes ao CID-10:G12 (Atrofia

[Clique aqui](#)



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>Muscular Espinhal) entre 2007 e 2016 (Figura 1 no documento anexo), ou seja, 18 por ano em média. Se assumirmos que a incidência e a prevalência na população não mudará neste período e compararmos com o número de nascimentos estimados por ano de 116, tem-se que pouco mais de 15% dos casos foi identificado.</p> <p>iii. Diversos países negociaram com o laboratório Biogen condições comerciais significativamente mais favoráveis para incluir o medicamento em seus sistemas de saúde e não há motivos para crer que o Ministério da Saúde não consiga fazer o mesmo. O próprio relatório da CONITEC, em seu capítulo 7, menciona alguns destes casos. Foi amplamente divulgado na mídia que, após a incorporação de nusinersena pelo SUS, o custo da ampola deve cair dos atuais R\$ 233 mil reais para cerca de R\$ 70 mil reais, o que representaria uma redução em torno de 70% no preço da ampola do medicamento. Além disso, sabe-se também que a indústria fabricante pode oferecer uma série de contrapartidas ao Ministério da Saúde para que seja efetivada a incorporação da medicação pelo SUS, tais como o fornecimento do teste genético gratuito aos pacientes com suspeita da doença, bem como a negociação de um teto máximo, ou seja, a fixação de número determinado de pacientes em tratamento, sendo que o tratamento dos pacientes que excedessem o teto teria custo zero para o SUS.</p> <p>iv. Há outras seis novas drogas em fase de testes clínicos. Como em qualquer mercado, a chegada de concorrentes tende a reduzir os custos e aumentar as opções aos consumidores, neste caso os pacientes de AME e os sistemas públicos e privados de saúde. Nos próximos anos novas drogas, duas delas inclusive identificadas no relatório da CONITEC em seu capítulo 8, devem chegar ao mercado, certamente reduzindo o preço do Spinraza. Por estes motivos há plenas condições de crer que o custo para o sistema público de saúde seja drasticamente menor que o estimado pela CONITEC.</p> <p>5ª - Sim, O relatório da Conitec relata algumas experiências internacionais. A experiência australiana é interessante, pois a recomendação do comitê é de fornecimento de nusinersena para tratamento de pacientes com todos os tipos de AME, com 18 anos ou menos no início do tratamento. Ou seja, trata-se de recomendação de ampla abrangência, sem considerar grande restrição de subtipo da doença, condição clínica e para ampla faixa etária. A CONITEC não mencionou a experiência italiana. Naquele país, desde outubro de 2017 foi aprovada pela AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco) a distribuição de Spinraza pelo sistema público de saúde foi aprovado para todos, sem restrições de acesso e diferenças entre subtipos de AME. Sua distribuição deu-se em tempo recorde, o que conferiu a supremacia européia à Itália no tratamento da doença. Também não mencionou que outros países como Alemanha, Austria, Belgica, Espanha, Israel, Luxemburgo, Suécia e Suíça já incluíram o Spinraza em seus respectivos sistemas públicos de saúde para tratamento de crianças com AME e diversos outros países estão em processo de negociação.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O medicamento é super caro e é um direito de todas as pessoas que sofrem com essa doença ter o remédio pelo SUS.</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
16/09/2018	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>	
16/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Crianças com Atrofia Muscular Espinhal tiveram melhoras significativas nas funções motoras com o medicamento Nusinersena, sendo assim, é altamente indicado para o tratamento da AME.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/09/2018	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>	
16/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Já que o medicamento foi aprovado pela Anvisa, de que nos adianta se não podemos comprá-lo. De mais amais o direito ao medicamento é de ordem constitucional.</p> <p>2ª - Sim, Pelos exames as evidências clínicas foram identificadas. A CONITEC PRECISA AVALIAR O MEDICAMENTO COMO MEIO PARA MELHORAR A QUALIDADE DE VIDA DO DOENTE.</p> <p>3ª - Sim, Os antecedentes do portador de AME não possui condições financeiras de sustentar o tratamento.</p> <p>4ª - Sim, O impacto orçamentário maior para o governo está sendo em decorrência da corrupção e falta de administração política.</p> <p>5ª - Sim, A Conitec deve pensar também nos doentes.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa decisão parece ser uma sentença de morte para as crianças.</p> <p>2ª - Sim, É o único medicamento para a doença, e se foi aprovado em vários países . e inclusive no Brasi é porque as evidências clínicas mostraram melhor qualidade de vida para essas crianças!</p> <p>3ª - Sim, Os pacientes com AME não têm condições de arcar com o custo do medicamento.</p> <p>4ª - Sim, Deve-se avaliar o que está na Constituição, e nessa consta que saúde ( medicamento) é direito de todo cidadão.</p> <p>5ª - Sim, O que está em jogo são vidas, não é simples assim declarar que as crianças podem morrer ou deixar de ter uma qualidade de vida melhor, quando essa chance (o medicamento) existe.</p>	
16/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa decisão é não pensar que está lidando com vidas, com seres humanos que estão sofrendo.</p> <p>2ª - Sim, As evidências clínicas de melhoras são claras no entanto já é aprovado e inclusive distribuídos pelo governo em vários países.</p> <p>3ª - Sim, Deve-se avaliar que medicamento é direito de todos decretado pela Constituição e que os pacientes não têm condição de comprar um medicamento deste custo.</p> <p>4ª - Sim, Se gasta mais com tratamentos paliativos com essas crianças do que fornecer o remédio. E sem contar a diminuição do sofrimento dessas crianças e familiares.</p> <p>5ª - Sim, O que se deve avaliar é que existe o medicamento para essas crianças e ser negligente a isso é deixar de dar a solução ou pelo menos à melhora de um problema tão grande e sério.</p>	
16/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como as crianças com essa doença poderão ser curadas sem acesso a medicamento? Isso é um verdadeiro genocídio!</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
16/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O governo deve cumprir com as obrigações que lhe cabem, principalmente com as crianças.</p> <p>2ª - Sim, Várias reportagens a todo momento estão comprovando essa evidência.</p> <p>3ª - Sim, Não deve ser avaliado somente o valor do medicamento e sim o benefício que ele traz aos pacientes. Afinal por que é tão caro?</p> <p>4ª - Sim, O impacto é muito maior com despesas irrelevantes.</p> <p>5ª - Sim, A evidência clínica de melhora já é real e se deve pensar que o medicamento está aí para tratar uma doença tão cruel e não se deve ser negligente a isso, são vidas e não qualquer outra coisa.</p>	
16/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todo e qualquer medicamento é uma esperança de tratamento e cura para essa doença. Além disso, os custos do governo na aquisição do medicamento é várias vezes menor do que o custo de uma pessoa física adquirindo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É uma questão de saúde pública.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os trabalhos e as apresentações de congresso mostram que a droga é efetiva. Acredito que deva ser criado um protocolo rígido e que a droga seja administrada somente por centros de referência públicos, especialmente hospitais universitários, que estudem o assunto.</p> <p>2ª - Sim, Vários artigos indicam que a droga é efetiva.</p> <p>3ª - Sim, É UM MEDICAMENTO EXTREMAMENTE CARO. POR ISTO ACREDITO QUE DEVAS TER INDICAÇÕES PRECISAS E SER APLICADO SOMENTE EM CENTROS DE REFERENCIA PUBLICOS (HOSPITAIS UNIVERSITARIOS)</p> <p>4ª - Sim, VER ACIMA</p> <p>5ª - Sim, Seleção precisa dos pacientes</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. para a medicação tem varios estudos mostrando efetividade e melhoria da qualidade de vida do paciente</p> <p>2ª - Sim, No estudo ENDEAR, o tratamento com Spinraza® (nusinersena) reduziu em 47% o risco de morte ou de ventilação permanente (desfecho primário) e em 63% o risco de morte.Os benefícios motores são claros nos estudos de literaturaA incidência de eventos adversos (EA) foi semelhante entre os grupos tratado e controle. Ademais, EA graves foram menos frequentes no grupo tratado do que no grupo controle (56% vs. 80%), assim como os EA sérios (76% vs. 95%) ou os EA que levaram à saída do estudo (16% vs. 39%), sendo que os últimos representam os óbitos somente, mostrando que não houve EA que levassem à saída do estudo, exceto morte. Portanto, não há como concluir que não há evidencias sobre segurança.</p> <p>3ª - Sim, Sobre custo-efetividade= trata-se de doença rara, portanto não se pode aplicar a mesma metodologia para avaliação que é aplicada para doenças comuns. Sugiro também realizar uma avaliação de custos de um paciente com a doença sem uso da medicação em questão. Incluir além do valor em reais o fato de estar ocupando um leito de SUS que é precioso devido a falta de leito atualmente em todo o país, além do tempo de ocupação desse leito.</p> <p>4ª - Sim, Sugiro também realizar uma avaliação de custos de um paciente com a doença sem uso da medicação em questão. Incluir além do valor em reais o fato de estar ocupando um leito de SUS que é precioso devido a falta de leito atualmente em todo o país, além do tempo de ocupação desse leito.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/09/2018	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>	
16/09/2018	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
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A SMA, especialmente a do tipo I é uma doença degenerativa, de evolução catastrófica e fatal, sem qualquer alternativa terapêutica. Na SMA tipo I, sem suporte ventilatório, a morte é a regra até o terceiro ano de vida. Existem evidências robustas, publicadas em periódicos científicos de alta confiabilidade como o New England Journal of Medicina, demonstrando eficácia do medicamento, especialmente no quesito motor e no prolongamento da vida. Dessa forma, a incorporação do medicamento pode trazer novas perspectivas para uma condição fatal.</p> <p>2ª - Sim, Há evidências clínicas robustas do medicamento, conforme publicações em periódicos científicos indexados. Estudos, que anexo a seguir, demonstraram diferenças estatisticamente significativas (<math>p &lt; 0,001</math>) referentes ao ganho motor e sobrevida, comparativamente ao grupo controle. No New England Journal of Medicine (NEJM) foi publicado um estudo multicentrico envolvendo 126 crianças, comprovando a eficácia do tratamento, sem efeitos adversos significativos. O NEJM é uma das publicações científicas mais prestigiadas na área médica e existe desde 1812. O Fator de Impacto da publicação é de 72. O Arquivos Brasileiro de Neurologia e Psiquiatria, periódico oficial da Academia Brasileira de Neurologia tem Fator de Impacto em torno de 1. Outras publicações são apensadas como o Neurology, Neuromuscular Disorders e Journal of Neurology, Neurosurgery, que também são publicações da área Neurologia, altamente confiáveis. Em todas elas, foi demonstrado ganho motor, com a utilização do medicamento.</p> <p>3ª - Sim, No Brasil, pelo site do Datasus, que tem dados até 2016, nasceram, em média, 3,6 milhões de bebês ao ano, o que significa 327 novos lactentes a cada ano, portadores de SMA. É extremamente complexo, falar em avaliação econômica num contexto de uma doença bastante grave e degenerativa, cuja evolução é irreversível e custa cifras significativas no que diz respeito à assistência hospitalar e de Home Care a esses pacientes. É necessário colocar no papel e contrapor gastos financeiros com assistência de alta complexidade e gastos com o medicamento.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Esse medicamento foi aprovado pelo FDA em 2016, pela European Medicine Agency em 2017 e recentemente pela Anvisa. Nestes 20 anos de exercício profissional, nenhuma tentativa de tratamento mostrou qualquer tipo de eficácia, seja uso de megavitaminas, seja uso de ácido valpróico, com abordagem exclusivamente paliativa. A experiência relatada por colegas e apresentada em fóruns científicos sobre o ganho motor e prolongamento da sobrevida é algo impressionante e até o momento, não há tecnologia/tratamento equiparável ao que se conseguiu com essa medicação que é altamente inovadora e surpreendente.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como neurologista infantil , estando frente a uma doença totalmente letal e sem tratamento curativo atual, seria irresponsável não oferecer uma oportunidade de real melhora de qualidade de vida para esses pacientes e suas famílias.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Pacientes com AME tipo 1, atualmente sobrevivem anos com altos custos ao Governo e m Unidades de Terapia Intensiva, isso poderia ser evitado ou mesmo minimizado gente ao tratamento proposto.</p> <p>5ª - Não</p>	
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Existem evidências clínicas de boa qualidade que o nursinersena modifica a história natural da AME, especialmente em crianças com menos de 6 meses de idade, desde que cumpram critérios de inclusão no tratamento com o rigor necessário. Abrir mão de incorporação de uma nova tecnologia que pode melhorar a vida desses pacientes não é responsável. A incidência da doença é significativa e os ensaio clínicos de boa qualidade, publicados em revista de primeira linha NEJM.Ressalve-se a necessidade de renegociação de preço.</p> <p>2ª - Sim, Evidências clínicas publicadas no NEJM são de boa qualidade, tendo atingido os endpoints sugeridos previamente, mesmo em análise interina.</p> <p>3ª - Sim, É extremamente necessária a renegociação de valores com o fabricante, desde que se incorpore a tecnologia, , de maneira que se atinja custo-efetividade, sem inviabilizar o SUS.</p> <p>4ª - Sim, Valores totais devem ser revistos e renegociados.</p> <p>5ª - Sim, Sugiro incorporação da tecnologia, definição de um PCDT estrito e renegociação financeira com o fabricante.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A incorporação da medicação será de extrema importância para esses pacientes portadores de AME , com tantos comprometimentos na área motora e respiratória.</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
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os estudos demonstraram eficácia, modificando o curso da doença e a sua história natural. Certas medidas, no entanto, devem ser adotadas, no meu entender, para que seja assegurado um uso racional e crítico do medicamento. A utilização do nursinersen, assim, deve ser: 1- feita por neurologista, preferencialmente com experiência em doenças neuromusculares, 2- deve-se estabelecer critérios de avaliação contínua sobre o efeito/impacto do tratamento sobre a evolução clínica do(a) paciente, 3- deve ser criado um comitê de especialistas, neurologistas com reconhecida experiência em doenças neuromusculares, para ajudar a arbitrar sobre eventuais controvérsias que possam surgir.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/09/2018	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
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os estudos em que se basearam a aprovação em tempo recorde da medicação tiveram resultados que mudaram a trajetória do que se chama história natural da doença em relação ao tipo 1, com redução da mortalidade e também da morbidade, com menor taxa de dependência da ventilação mecânica assistida.</p> <p>2ª - Sim, Os estudos na população tipo 1 ou em pressintomáticos demonstraram resultados inequívocos de melhora da função motora através de escalas padronizadas, como Chop-Intend e Hammersmith expandida. Vale lembrar que ao mudar a história natural da doença no tipo 1</p> <p>3ª - Sim, Diante da história natural dos casos tipo 1, com falência respiratória, muitos pacientes atualmente vivem em unidades de terapia intensiva ou em sistema domiciliar de Home Care. Tal gasto diário e permanente é provavelmente maior que o custo da medicação quando indicada em tempo hábil, para que o paciente não evolua para esta condição</p> <p>4ª - Sim, Tenho plena ciência de preço exorbitante para um sistema público de saúde, mas não é possível nega as evidência benéficas da mediação. Penso que é importante a realização de um PCDT para tentar, ao menos, estabelecer alguns critérios para indicação da medicação</p> <p>5ª - Sim, Já tenho alguns pacientes que receberam a medicação, todos realizados através de protocolos rígidos, com realização de escalas pre e pos, além dos cuidados inerentes ao procedimento. Dos 4 pacientes do tipo 1 que receberam, em 3 houve melhora da escala Chop-intend após a quarta dose. O quarto paciente recebeu a primeira dose numa fase tardia e, portanto, sua melhora motora não é significativa, mas foi possível identificar melhora nos parâmetros respiratórios</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
16/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O paciente rem direito a medicação para melhor qualidade de vida</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos têm direito à 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
16/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Crianças morrendo. Medicamento caríssimo! Ajudem!!!! 2ª - Não 3ª - Sim, Não pode ser caro um medicamento q salva vidas e q o sus não libera. 4ª - Sim, 5ª - Sim,	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente do relatório preliminar confeccionado pelo CONITEC, pois o mesmo é leviano, fraco e demonstra somente toda vontade do Sr.º Ministro Marcos Fireman de não incorporar a medicação no SUS. Os 13 conselheiros do CONITEC deveriam se considerarem não aptos e sem competência para elaborarem tal relatório. Dos 13 conselheiros pelo menos 12 são subordinados diretamente ao Ministro da Saúde o que é incompatível com a função de conselheiro que exige independência para realizar um trabalho de análise com credibilidade. Infelizmente os conselheiros atuais não tem experiência com a doença AME, são apadrinhados políticos que estão preocupados em agradar somente seus padrinhos políticos e nesse ano eleitoral não se prestaram a confeccionar um relatório preliminar decente e que mostre a verdade do que a medicação nusinersena é capaz de realizar. O Sr.º Arthur Brito diretor do CONITEC também se mostrou muito omissos em relação a incorporação da medicação ao SUS, como diretor deveria ter adotado uma postura mais ética e séria sobre os conselheiros do CONITEC.O CONITEC deveria ter se norteado com especialistas em AME e não na opinião de conselheiros que não sabem nada sobre a doença!Negando a incorporação desta medicação no SUS o CONITEC e o Ministério da Saúde estão infringindo diretamente o artigo 196 da Constituição Federal.Art. 196. 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.Na Constituição Federal não prevê a pena de morte, porém com a negativa do CONITEC foi proclamada a pena de morte a revelia para todos os portadores de AME.Os responsáveis por confeccionar esse relatório irresponsável de declara a pena de morte para os portadores de AME foram os seguintes conselheiros:CONSELHEIROS CONITECSECRETARIAS Vânia Cristina Canuto SantosSECRETARIA de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos: Alexandre Fonseca SantosSECRETARIA-Executiva Antonio Leopoldo Nogueira NetoSECRETARIA Especial de Saúde IndígenaMaria Inez Pordeus GadelhaSECRETARIA de Atenção à SaúdeSônia Maria Feitosa BritoSECRETARIA de Vigilância em SaúdeGerlane BaccarinSECRETARIA de Gestão Estratégica e Participativa Rogério Luiz Zeraik AbdallaSECRETARIA de Gestão do Trabalho e da Educação na SaúdeCleuza de Carvalho MiguelCONSELHO Nacional de SaúdeRochele Alberto Martins SantosAGÊNCIA Nacional de Saúde Suplementar – ANSCLaudiosvam Martins Alves SousaAGÊNCIA Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA Lore LambCONSELHO Nacional de Secretários de Saúde - CONASSCharles César Tocantins de SouzaCONSELHO Nacional de Secretários Municipais de Saúde – CONASEMS Aníbal Gil LopesCONSELHO Federal de Medicina – CFMDuvido que se os mesmos tivessem um parente com essa patologia não teriam opinião contrária à do relatório leviano e mal feito que foram obrigados a confeccionar somente para agradar a seus padrinhos políticos.Diante destes argumentos e se o Ministério da Saúde insistir em não incorporar a medicação no SUS, nada mais justo do que a comunidade AME, associações e pais oferecerem denúncia no Ministério Público Federal contra o Ministério da Saúde e os 13 conselheiros do CONITEC.</p> <p>2ª - Sim, EVIDÊNCIAS CLÍNICASNo que tange à metodologia, percebe-se que, a despeito da ampla procura por artigos, o relatório técnico da CONITEC não incluiu De Sanctis et al. 2018, o mais extenso estudo sobre EAPs (Expanded Access Programs, ou Programas de Acesso Expandido), que evidencia e contradiz várias das conclusões deste relatório e que será mencionado a seguir. Também não mencionou Finkel, 2016 que avalia o</p>	

tratamento com nusinersena por 40 semanas. Resumindo o relatório do CONITEC é muito mal feito e reflete a capacidade técnica e científica de seu conselho! Analisando a qualidade metodológica, o relatório da CONITEC classificou Finkel, 2017 como “qualidade moderada” e os estudos de corte Pechmann, 2018 e Farrar, 2018 como “baixa qualidade metodológica, uma vez que não possuíam grupos de comparação”. É certo que estes artigos não apresentaram grupos de comparação. Contudo, a história natural da doença já está amplamente documentada e os resultados dos estudos relatados pelos artigos podem ser facilmente comparados ao curso natural da doença, já documentado em diversos artigos científicos, tais como anexos disponíveis. O relatório da CONITEC apega-se ao formalismo vicioso que, a pretexto de defender a metodologia científica, desmerece resultados solidamente evidenciados. A elaboração de um relatório como este, demanda a participação de quem realmente conhece do assunto, (no caso nenhum dos 13 conselheiros está apto a dar sua opinião), somando-se especialidade técnica na área de neurologia pediátrica, experiência científica e experiência clínica com a doença. Tal relatório não pode ser elaborado apenas por algumas pessoas que leram alguns artigos – sob pena de incorrerem em falta de credibilidade nas conclusões alcançadas. Ao tentar justificar a baixa qualidade dos estudos de corte citados acima (pg. 31 do relatório), a CONITEC menciona que “o ensaio clínico foi financiado pela empresa produtora do medicamento, bem como os programas de acesso que deram origem às cortes de pacientes da Alemanha e Austrália”. Porém o método Newcastle-Ottawa, escolhido para avaliar a qualidade dos estudos e apresentado na página 30, não utiliza a fonte de financiamento como critério de avaliação da qualidade dos estudos. Logo, este não poderia ser considerado um motivo para a baixa qualidade. A CONITEC também ignora que a pesquisa Pechmann, 2018 foi financiada pela Initiative SMA – DGM e.V. (entidade sem fins lucrativos formada por familiares com o objetivo de financiar pesquisa), não pela Biogen, e que os autores da pesquisa receberam financiamento de diversos outros laboratórios concorrentes da Biogen e que estão desenvolvendo terapias que devem concorrer com a nusinersena nos próximos anos, portanto não teriam interesse em “manipular” resultados para favorecer a indústria fabricante de nusinersena. A CONITEC deveria utilizar, para avaliar os seus próprios estudos, os mesmos critérios de avaliação de viés que aplica aos artigos analisados. O relatório da CONITEC aborda o trabalho de Finkel, 2017, afirmando que “os critérios de inclusão e exclusão definidos no estudo apontam para a seleção de crianças com doença menos graves dentre aquelas que possuem AME 5q tipo I”, o que é falso e claramente tendencioso: não há nada no estudo que tenha afirmado que a gravidade da doença tenha sido critério de seleção. Muito pelo contrário: ao estabelecer como critério de seleção a presença de duas cópias do SMN2, o estudo teve o cuidado de excluir justamente os pacientes com 3 cópias do SMN2, que são considerados menos graves dentre aqueles que possuem AME 5q Tipo 1. Noutro giro, se por um lado foram selecionadas crianças que tinham ainda condições respiratórias razoáveis (saturação ambiente maior ou igual a 96%, também não foram excluídas crianças, por exemplo, que não tinham mais capacidade de deglutição e se alimentavam por gastrostomia. Não há como afirmar que a seleção favoreceu algum grupo, mais ou menos grave. Quanto à avaliação de Pechmann, 2018, também há claro viés na linguagem quando afirma que houve “modesta melhora da função motora”. Os resultados de Chop Intend aumentaram 9 pontos a partir de 22,3 e os de HINE, 1,4 pontos a partir de 1,1, em linha com os demais estudos. O que seria uma mudança “não-modesta”? Crianças condenadas a uma expectativa de vida de apenas 2 anos, após o uso da

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>medicação tiveram melhora extraordinária em seus sistemas respiratórios! Isso pelo visto passou muito despercebido pelos conselheiros do CONITEC! Por fim, afirma uma inverdade: “(...) com relação à função respiratória e o estado nutricional, as crianças apresentaram piora após os seis meses de tratamento, com maior necessidade de uso de ventilação mecânica ou traqueostomia, bem como de gastrostomia.” Ora, sabendo que o medicamento não é ainda, infelizmente, a cura da AME, é de se esperar que ainda haja incidência de eventos adversos. Cabe, por óbvio, a comparação com a história natural da doença (Farrar, 2013; Finkel, 2016) e esta é clara: há sensível redução de eventos adversos graves com o tratamento. O que poderá ser confirmado com o histórico de internações das crianças submetidas ao nusinersena, as internações deixaram de ser frequentes passando a ser eventos raros! Ao excluir de sua análise o estudo De Sanctis et al, 2018, que ratifica a evolução da função motora de estudos anteriores, mas desta vez em uma amostra ainda maior, de 104 pacientes no EAP na Itália, o relatório da CONITEC não traz à luz conclusões como “Even if limited to the first 6 months of treatment, our preliminary results suggest that a motor functional improvement can be frequently observed in patients outside the range of the inclusion criteria used in the Endear study”. Ou seja: embora a eficácia do tratamento seja maior quanto mais cedo iniciado, o estudo evidencia que há ganhos também para crianças que iniciam o tratamento com mais dos 7 meses de idade. Ao mencionar que, por se tratar de estudos com duração menor que 15 meses, não seria possível fazer inferências quanto ao aumento da sobrevida dos pacientes, o relatório da CONITEC mais uma vez oculta informações importantes: Finkel, 2017 mostra que a expectativa média de vida sem eventos no grupo de controle é de 22,6 semanas, enquanto no grupo com nusinersena, como não atingiu este ponto, é de pelo menos 56 semanas (e potencialmente maior). A comparação das curvas de sobrevivência também mostra, embora nenhum dos dois grupos tenham atingido a mediana, que o grupo tratado com nusinersena possui probabilidade de sobrevivência maior do que o grupo de controle. Resultado similar também é observado em Finkel, 2016, que compara o tratamento com nusinersen com o curso natural da doença num período de 40 meses. Afirma também que não se pode fazer inferências quanto ao uso prolongado da droga. É verdade, e assim o é simplesmente porque o medicamento é novo! Como conhecer seu efeito de longo prazo se o longo prazo ainda não aconteceu? Ou pior: como conhecer seu efeito de longo prazo sem utilizar o medicamento, como é a recomendação do relatório? O que se conhece no momento é a sua eficácia e segurança e não há por enquanto elementos que sugiram sua não aplicação. Ao realizar a avaliação final sobre a segurança do medicamento, a exemplo do restante do documento, a CONITEC faz afirmações falsas ou tendenciosas ou omissões. Inicia com “Quanto à segurança, os estudos ECR adotaram uma metodologia sujeita a várias limitações, na qual os EA poderiam ser considerados relacionados ou não ao tratamento, de modo que o julgamento sobre a causa de tais eventos ficou prejudicada”. Ora, como “selecionar” quais efeitos adversos estão ou não relacionados ao tratamento? Ou por outro lado: se os autores tivessem classificado os EAs em relacionados ou não ao tratamento, não seriam passíveis de crítica de viés? A abordagem de não classificar os EAs por sua suposta causa, apenas quantificando-as, é conservadora e, por isso, um mérito da metodologia, não uma limitação. A CONITEC segue aquiescendo “Ainda assim, os estudos demonstraram não haver maiores frequências de EA potencialmente relacionadas ao medicamento no grupo que usou nusinersena em relação ao controle”, ou seja, reconhecendo que o tratamento não traz maior risco do que o não-tratamento.</p>	

Mais do que isso: o texto flagrantemente oculta que a frequência de EAs graves no grupo em tratamento com nusinersena não só não excede o grupo de controle como é significativamente menor, o que evidencia que o tratamento medicamentoso é mais seguro do que o não-tratamento. A conclusão do relatório afirma: “Já em uma das coortes, identificou-se alta proporção de EA graves, que levaram à morte, hospitalização ou prolongamento da internação, dentre os EA relatados”. O comentário refere-se aos EAs reportados por Pechmann, 2018, com 54,7% da coorte apresentando eventos classificados como graves (morte, hospitalização ou prolongamento da internação). Contudo, o relatório não estabelece qual o parâmetro de comparação para definir “alta proporção”. Houvesse comparado com Finkel, 2017, teria concluído que os 54,7% são substancialmente menores, tendo em vista que em percentual bastante inferior aos 76% do grupo também tratado com nusinersena (refletindo a diferença de populações) e os 95% do grupo de controle, sem tratamento! A CONITEC conclui que “Dessa forma, as evidências não permitem resultados conclusivos sobre a segurança do uso do nusinersena, sendo necessários estudos de vida real com maiores tempos de acompanhamento”, finalizando o seu contorcionismo para afirmar o contrário do que os dados mostram: que o tratamento com nusinersena é significativamente mais seguro que o curso natural da doença. O CONITEC está apresentando conclusões e posicionando-se de maneira diametralmente oposta a diversos órgãos regulamentadores e órgãos de saúde no Brasil e no mundo – e a esmagadora conclusão foi pela segurança e eficácia de nusinersena em pacientes portadores de AME Tipo 1. No entanto, a Comissão não aponta quais os aspectos falhos nas avaliações realizadas por todos estes órgãos. Não seria porque o conselho não tem capacidade técnica e deveria ter aberto mão de elaborar um relatório técnico tão importante? Deixando o mesmo ser feito por especialistas de renome na área?

3ª - Sim, AVALIAÇÃO ECONÔMICA O relatório infelizmente começa afirmando que “no Brasil, não existem diretrizes para a condução de avaliações econômicas em saúde para doenças raras” (p. 33). Não é só no Brasil que isso acontece: a avaliação de custo benefício no contexto de doenças raras não é consenso no mundo científico, principalmente pela dificuldade técnica de obter-se resultados confiáveis, além de questões éticas. O relatório utiliza um modelo de Markov para análise de custo-benefício, no qual são modelados apenas dois estados (eficácia e falha terapêutica), ambos obtidos através do tratamento com nusinersena ou tratamento convencional. Ocorre que o estado “eficácia terapêutica” é o mesmo, ou seja, tem a mesma utilidade (1) em ambos os tratamentos. Ora, isso equivale a dizer que toda a melhora na condição clínica do paciente decorrente do tratamento com nusinersena, largamente documentada nos estudos clínicos, e vivida pelas famílias com AME, simplesmente não está representada no modelo. A análise parte da suposição de que o único benefício do medicamento é a prorrogação da expectativa de vida, sem considerar como benefício a melhora de condições clínicas e qualidade de vida dos pacientes, completamente em desacordo com a realidade. O modelo de custos adotado assume que o custo do tratamento com nusinersena é igual ao custo do tratamento convencional atualmente praticado no SUS mais o custo do medicamento. A principal causa de morte ou ventilação permanente em pacientes AME tipo 1 são complicações respiratórias, decorrentes da fraqueza muscular que causa broncoaspiração. A melhora na condição clínica obtida com o uso de nusinersena leva também a menor número de internações hospitalares e obviamente redução dos custos associados. Na página 56 do relatório consta o detalhamento dos gastos estimados do SUS, totalizando

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>R\$15.880,68 mensais, dos quais 83% referem-se a procedimentos cirúrgicos/hospitalares, justamente os que tendem a reduzir. Não só na modelagem dos estados de Markov, mas também aqui o estudo falha em não considerar a melhora na condição clínica dos pacientes como um dos benefícios do tratamento com nusinersena. Além disso, o relatório informa que a referência de custos do SUS com o tratamento convencional totaliza R\$15.880,68 (p. 56) e refere-se ao período de 2000 a 2015. Fazendo-se uma simples atualização destes valores até 2017 pelo índice IPC Saúde (FIPE), este valor seria reajustado em cerca de 85%, aproximando-se de R\$30.000/mês ou cerca de R\$720.000 no período de análise de 2 anos, reduzindo o custo relativo do tratamento com nusinersena. Sob o pretexto da falta de evidências de longo prazo, a análise considera 24 meses como horizonte temporal do tratamento. Ora, trata-se de uma droga órfã e nova, é óbvio que não há evidências de eficácia de longo prazo! Não há também nenhuma evidência de que o medicamento perca eficácia após 24 meses. Esta modelagem é duplamente perversa: primeiro porque o tratamento no primeiro ano consiste em 6 doses, enquanto nos anos subsequentes, apenas 3; segundo porque a diferença de sobrevida tornar-se-á ainda maior após o segundo ano, dado que a probabilidade de sobrevivência em AME tipo 1 sem tratamento é menor que 25% após os 2 anos (Farrar et al., 2013). A escolha de 24 meses como horizonte temporal maximiza os custos e minimiza os benefícios de forma arbitrária, sem qualquer fonte adequada que a justifique. Passa-se à análise de custo-efetividade. Destacam-se inicialmente os erros primários apresentados no quadro 9, no qual houve a inversão dos valores nas colunas de Custo Incremental e RCEI. Além disso, aponta-se outra simplificação grave: o custo em 2 anos do tratamento convencional (R\$270.894,28) está baseado no histórico de custos do SUS entre 2000 e 2015, sem qualquer tipo de correção inflacionária para o período. Corrigindo o valor pelo índice inflação mencionado acima, do período até 2017, este ficaria em torno de R\$500.000,00, reduzindo o custo incremental do tratamento com nusinersena. Também não foi evidenciado com base em que dados foi calculado o custo do tratamento convencional por dois anos no SUS como R\$1.165.136,69 e com nusinersena R\$1.993.823,03 (p. 34). Já do lado dos benefícios, não há qualquer menção sobre como foram calculados os Meses de Vida Ganhos na página 35, tanto para o tratamento convencional (5,58) como para o com nusinersena (6,67). Estima-se que os MVG do tratamento convencional tenham sido baseados em Finkel et al., 2017: “The median time to death or the use of permanent assisted ventilation was 22.6 weeks in the control group and was not reached in the nusinersen group”. Contudo, se esta foi a referência, não há referência para o MVG de 6,67 do tratamento com nusinersena. Com efeito, Finkel et al., 2016, em um estudo de mais longo prazo, indica que mesmo após 40 meses o tempo de sobrevivência mediano não foi alcançado, de forma que poder-se-ia conservadoramente assumir 24 meses no MVG do Quadro 9, ao invés dos 6,67. Como nem o custo nem o benefício se sustentam, nenhuma conclusão pode ser tirada desta análise. Contudo, apenas para referência, o Quadro 09 corrigido o custo do tratamento convencional pela inflação (conforme explicado acima) e a efetividade para o tratamento com nusinersena ficaria: Por fim, há outros aspectos relacionados à falta de transparência e fatores éticos. Ainda que a análise de custo-efetividade estivesse confiável, o estudo afirma na página 35: “A relação custo-efetividade extrapola os precedentes históricos (...)”. Quais seriam os precedentes históricos? Qual o parâmetro utilizado para afirmar que um medicamento tem custo-benefício aceitável? Se o benefício é conhecido (segundo Finkel et al., nusinersena praticamente triplica a probabilidade</p>	

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

de sobrevivência – hazard ratio for death 0.37), qual o custo aceitável para obtê-lo? Em outras palavras, quanto vale a vida?

4ª - Sim, IMPACTO ORÇAMENTÁRIO Analisando todas as cinco referências bibliográficas fornecidas no relatório (OGINO, et al, 2002; LUNN & WANG, 2008; PRIOR, 2010; ARNOLD et al., 2015; VERHAART et al., 2017) a incidência de AME varia entre 1 a cada 10.000 e 1 a cada 11.000 nascidos vivos, portanto os autores cometem erro grave e primário ao utilizar como base o dado de 1 a cada 8.500 nascidos vivos, em descompasso com todas as fontes bibliográficas usadas no trabalho. Trata-se de mais uma evidência de que este relatório é amador e desprovido de confiabilidade mínima. Além disso, VERHAART et al., 2017 identificou que a incidência de AME na população negra e hispânica chega a ser 2,5 vezes maior que na população caucasiana e asiática, de forma que a incidência ajustada à população brasileira poderia ser estimada em torno de 1 a cada 14.000 nascidos vivos. Quanto ao número de nascidos vivos/ano no Brasil, com base nas Estatísticas de Registro Civil do IBGE, em 2016 (última referência nesta data) é 2.793.935, não os 3.058.783 do relatório. Assim, considerando-se a prevalência de 58% de AME tipo 1, o número de pacientes no 1º ano seria 162, ou 22% abaixo dos 209 no Quadro 11. Em seguida, o relatório estima que o tratamento seria por 2 anos, mas que 12% dos pacientes continuariam além desse período. O que causa estranheza é por que para efeitos de impacto orçamentário leva-se em conta que parte dos pacientes sobreviverá além dos 2 anos e para cálculo de custo-efetividade (ver seção anterior) apenas dois anos. Os valores calculados no Quadro 12 estão absolutamente errados. Consideraram-se que são necessárias 6 doses por paciente em todos os anos do tratamento. Por exemplo, na coluna Ano 2, com valor do frasco de R\$54.112,00, o valor de R\$135.712.899,80 é obtido multiplicando-se 418 (número de pacientes no 2º ano evidenciado no Quadro 11) por 6 doses. Mas apenas metade dos pacientes vai tomar 6 doses, pois a outra metade começou o tratamento no ano anterior e vai tomar apenas 3 doses. O valor correto seria de R\$101.784.672,00 (o número mostrado é 33% maior que o real). O mesmo erro se propaga para os próximos anos. Assim, utilizando referências mais acuradas e corrigindo o erro de cálculo de impacto orçamentário (Quadro 12), tem-se que o impacto orçamentário em 5 anos ficaria entre R\$160 milhões e R\$1,19 bilhões, ao invés dos R\$380 milhões a 2,85 bilhões reportados no relatório. Não se pode aceitar uma análise que apresenta impacto orçamentário 140% maior por erro de cálculo! Contudo, mesmo estes números podem estar superestimados, pois ainda não foram consideradas nem a redução de custos de internação hospitalar no SUS, decorrente da melhor condição clínica dos pacientes tratados com nusinersen, nem o triste fato de que muitas crianças morrem antes dos 2 anos sem mesmo terem sido diagnosticadas. Para ter-se uma ideia da ordem de grandeza, segundo o Datasus, ocorreram 180 óbitos infantis referentes ao CID-10:G12 (Atrofia Muscular Espinhal) entre 2007 e 2016, ou seja, 18 por ano em média. Se assumirmos que a incidência e a prevalência na população não mudara neste período e compararmos com o número de nascimentos estimados por ano de 116, tem-se que pouco mais de 15% dos casos foi identificado.

5ª - Sim, Pois bem, o Ministério da Saúde culpa o alto custo da medicação e diz que a mesma irá impactar substancialmente no orçamento da União. Isso é uma inverdade, pois só de fundo partidário o TSE liberou para os partidos o montante de 1,7 bilhões de Reais e o Presidente Michel Temer em um ato de bondade



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>aprovou o reajuste do judiciário causando um impacto orçamentário previsto de 6,9 bilhões de Reais em 2019. Daí nós perguntamos aos senhores, quem está causando maior impacto orçamentário? Os pobres dos portadores de AME ou os políticos e os magistrados? Se o Brasil tem condições de dar essas mordomias aos partidos políticos e magistrados, com certeza tem dinheiro em caixa para exercer sua obrigação constitucional e patrocinar a incorporação do nusinersena no SUS! SEGEM AS NOTAS OFICIAIS SOBRE OS ASSUNTOS ABAIXO: Eleições 2018: TSE divulga montante total do Fundo Especial de Financiamento de Campanha Tabela com os valores por partido pode ser consultada no Portal da Corte. Legendas receberão mais de R\$ 1,7 bilhão para custear campanhas 18.06.2018 17:46 Compartilhar página via email Compartilhar página via facebook Compartilhar página via twitter Compartilhar página via google plus</p> <p>O Tribunal Superior Eleitoral (TSE) divulgou hoje (18), em seu portal na Internet, o montante total do Fundo Especial de Financiamento de Campanha (FEFC). Um total de R\$ 1.716.209.431,00 será transferido aos diretórios nacionais dos 35 partidos com registro no TSE, em conformidade com as regras de distribuição estabelecidas na Resolução-TSE nº 23.568/2018, aprovada pelo Plenário da Corte Eleitoral no último dia 24 de maio. Os recursos do FEFC somente serão disponibilizados às legendas após a definição dos critérios para a sua distribuição, que devem ser aprovados, em reunião, pela maioria absoluta dos membros dos diretórios nacionais de cada agremiação. Tais critérios devem prever a obrigação de aplicação mínima de 30% do total recebido do Fundo para o custeio da campanha eleitoral das candidatas do partido ou da coligação. Em seguida, os órgãos nacionais das legendas devem encaminhar ofício à Presidência do TSE, indicando os critérios fixados para a distribuição do FEFC. O ofício deve estar acompanhado da ata da reunião que definiu os parâmetros, com reconhecimento de firma em cartório, de prova material de ampla divulgação dos critérios de distribuição, e da indicação dos dados bancários da conta corrente aberta exclusivamente para a movimentação dos recursos. Os procedimentos administrativos para gestão e distribuição do Fundo estão previstos na Resolução-TSE nº 23.568/2018. A tabela com o montante total do FEFC pode ser consultada no Portal do TSE. Fundo Especial O FEFC foi criado pelas Leis nº 13.487/2017 e 13.488/2017, aprovadas pelo Congresso durante a reforma política no ano passado. O Fundo concentra recursos que serão utilizados pelos partidos políticos para financiar as campanhas eleitorais de seus candidatos. Com a proibição de doações por parte de pessoas jurídicas estabelecida pelo Supremo Tribunal Federal (STF), o FEFC tornou-se uma das principais fontes de receita para a realização das campanhas. O Fundo integra o Orçamento Geral da União e foi disponibilizado ao TSE pelo Tesouro Nacional no início de junho, conforme previsto na Lei das Eleições (Lei nº 9.504/1997). A movimentação dos recursos do Fundo será efetuada exclusivamente por intermédio dos mecanismos da conta única do Tesouro Nacional. Reajuste de servidores tem impacto de R\$ 6,9 bilhões em 2019, diz Ministério do Planejamento Michel Temer decidiu nesta quarta-feira (29) manter o aumento dos servidores da União para 2019. Estudo do Banco Mundial diz que salários são em média 96% mais altos do que no setor privado Temer decide manter reajuste dos servidores além do aumento de salário dos ministros Temer decide manter reajuste dos servidores, além do aumento de salário dos ministros do STF Os reajustes de salários dos servidores públicos, que o governo decidiu conceder, terão um impacto nos gastos públicos de R\$ 6,9 bilhões em 2019, informou nesta quinta-feira (30) o Ministério do Planejamento. Esse é o valor que seria "economizado", e que poderia ser investido em outras áreas, caso o governo decidisse</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>postegar o aumento. Além disso, há um impacto extra de R\$ 250 milhões nas contas do Poder Executivo por conta do reajuste dos ministros do STF – que têm "efeito cascata" nos demais poderes. Como os salários dos magistrados do STF são o teto do funcionalismo público, o seu reajuste aumenta o número de servidores que poderão receber um valor maior de gratificações e verbas extras que, atualmente, ultrapassam o teto. Esses dois fatores têm um impacto de R\$ 7,15 bilhões nas contas do Executivo no ano que vem. Temer mantém aumento dos servidores e negocia reajuste do STF</p> <p>Temer mantém aumento dos servidores e negocia reajuste do STF</p> <p>Outros reajustes Além do impacto de R\$ 6,9 bilhões com a decisão do presidente Temer de conceder o reajuste dos servidores, e de R\$ 250 milhões por conta do aumento do STF (ambos no Poder Executivo), também serão concedidos aumentos salariais em 2019 para outros poderes. Segundo cálculos da Consultoria de Orçamento da Câmara dos Deputados, o impacto do reajuste dos ministros do STF, em outros poderes, será de R\$ 930 milhões no Judiciário e cerca de R\$ 300 milhões no Legislativo. Também está prevista, para 2019, uma despesa extra de R\$ 3,2 bilhões por conta do reajuste dos servidores do Judiciário, do Ministério Público da União, da Defensoria Pública e do Legislativo, relativo ao acordo celebrado em 2016 pela presidente Dilma e confirmado por Temer. O governo federal não tem prerrogativa de adiar reajuste de servidores em outros poderes, que têm autonomia. Por tanto diante dessas notícias o tesouro nacional tem dinheiro, não há o por que negar medicação a quem precisa para sobreviver.</p>	
16/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Um absurdo o não favorecimento a um único medicamento que pode salvar as vidas de crianças com AME. Deplorável.</p> <p>2ª - Sim, Contribuo para o salvamento de várias vidas! Que para mim, é e sempre será a coisa mais importante da minha vida.</p> <p>3ª - Sim, Com doações em dinheiro.</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim, Contribuição em dinheiro.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Na verdade, mais que discutir artigos científicos que foram bem levantados pelo grupo de estudo gostaria de tecer algumas considerações, não com verdadeiro assombro, como o CONITEC avalia a incorporação de Medicamentos Órfãos no âmbito do SUS. No meu modo de entender não há um olhar específico para as Doenças Raras. Neste sentido com este olhar enviesado a uma preponderância da incorporação para medicamentos não órfãos. Na verdade, vejo com muita preocupação, já que foi publicado uma Portaria de Atenção no SUS do atendimento em Doenças Raras em 2014, mas de lá para cá muito pouca coisa foi feita no meu modo de ver. Os Estados Unidos com o “Orphan Drug Act” já em 1983 estabeleceu um olhar específico para o tratamento das doenças raras e ao longo das décadas seguintes foi acompanhado pela comunidade econômica europeia. Neste sentido vejo o Brasil muito atrás no estabelecimento de um entendimento global do acompanhamento e atendimento as pessoas com doenças raras. Uma política nacional de Doença Rara deveria incluir o acesso aos medicamentos órfãos ao usuário do sistema de saúde. Os doentes com doenças raras não podem ficar à margem do progresso feito pela ciência e pelas farmacêuticas, tendo os mesmos direitos ao tratamento como qualquer outro doente.</p> <p>2ª - Sim, Sou médico geneticista atendendo pacientes com doenças genéticas raras num serviço de genética médica do SUS desde 2002. Não tenho experiência com o Nusinersena, mas atendi no meu ambulatório geral e visitas médicas a pacientes internados, pessoas afetadas pela AME. São pacientes juntos com os outros com doenças raras discriminados e marginalizados pelo nosso sistema de saúde. Na maioria das vezes sem acesso aos meios de diagnóstico e tratamento multidisciplinar. Discordo totalmente do posicionamento dos membros do plenário da CONITEC, que em sua 69ª reunião ordinária, no dia 02 de agosto de 2018, que recomendaram a não incorporação no SUS de nusinersena para o tratamento de crianças com AME 5q tipo I. Não concordo que que as evidências clínicas apresentadas são frágeis e os resultados obtidos com o tratamento, observados no ensaio clínico pivotal, não demonstram aumento de sobrevida para além da expectativa de vida esperada para crianças com a doença. O que na verdade existe é que o CONITEC utiliza critérios que não são adaptados para o universo das doenças raras. Neste sentido marginalizam com critérios tecnicistas a única possibilidade de tratamento para estas pessoas com doenças raras – crianças a maioria delas e deficientes todas.</p> <p>3ª - Sim, No meu modo de ver , em relação a análise de custo-efetividade onde mostra que o preço praticado para o medicamento no Brasil e a análise de impacto orçamentário, que prevê gastos na ordem de R\$ 1 bilhão, evidenciando que a incorporação do medicamento pode comprometer a sustentabilidade do SUS - mais que ficar discutindo os altos custos que na realidade são mesmos, rejeitar a incorporação, deixando uma geração de cidadãos brasileiros, muitos deles crianças sem a única opção de tratamento, deve-se procurar uma verdadeira negociação dos medicamentos órfãos frente as farmacêuticas no âmbito latino-americano como foi levantado no seu olhar europeu por uma série de especialistas que acompanham pessoas com doenças raras. <a href="https://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736(18)31069-9/fulltext#articleInformation">https://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736(18)31069-9/fulltext#articleInformation</a></p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib. Contribuiu como

Descrição da contribuição

Referência

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. DISCORDO TOTALMENTE! O SPINRAZA É A ÚNICA MEDICAÇÃO QUE COMPROVADAMENTE ESTACIONA A DOENÇA E AUMENTA A SOBREVIVÊNCIA DOS PORTADORES, BEM COMO TRAZ GANHOS MOTORES E MELHORA DA PARTE RESPIRATORIA. A ANVISA É UM ORGÃO RESPEITADO INTERNACIONALMENTE, E AO APROVAR SEU REGISTRO NO BRASIL, ANALISOU DIVERSOS REQUISITOS NECESSARIOS PARA TAL. ESSA RECOMENDAÇÃO INICIAL POE EM CHEQUE A CREDIBILIDADE E IMPARCIALIDADE DA ANVISA.</p> <p>2ª - Sim, No que tange à metodologia, percebe-se que, a despeito da ampla procura por artigos, o relatório técnico da CONITEC não incluiu De Sanctis et al. 2018, o mais extenso estudo sobre EAPs (Expanded Access Programs, ou Programas de Acesso Expandido), que evidencia e contradiz várias das conclusões deste relatório e que será mencionado a seguir. Também não mencionou Finkel, 2016 que avalia o tratamento com nusinersena por 40 semanas. Resumindo o relatório do CONITEC é muito mal feito e reflete a capacidade técnica e científica de seu conselho!Analisando a qualidade metodológica, o relatório da CONITEC classificou Finkel, 2017 como “qualidade moderada” e os estudos de coorte Pechmann, 2018 e Farrar, 2018 como “baixa qualidade metodológica, uma vez que não possuíam grupos de comparação”. É certo que estes artigos não apresentaram grupos de comparação. Contudo, a história natural da doença já está amplamente documentada e os resultados dos estudos relatados pelos artigos podem ser facilmente comparados ao curso natural da doença, já documentado em diversos artigos científicos, tais como anexos disponíveis. O relatório da CONITEC apega-se ao formalismo vicioso que, a pretexto de defender a metodologia científica, desmerece resultados solidamente evidenciados. A elaboração de um relatório como este, demanda a participação de quem realmente conhece do assunto, (no caso nenhum dos 13 conselheiros está apto a dar sua opinião), somando-se especialidade técnica na área de neurologia pediátrica, experiência científica e experiência clínica com a doença. Tal relatório não pode ser elaborado apenas por algumas pessoas que leram alguns artigos – sob pena de incorrerem em falta de credibilidade nas conclusões alcançadas. Ao tentar justificar a baixa qualidade dos estudos de corte citados acima (pg. 31 do relatório), a CONITEC menciona que “o ensaio clínico foi financiado pela empresa produtora do medicamento, bem como os programas de acesso que deram origem às cortes de pacientes da Alemanha e Austrália”. Porém o método Newcastle-Ottawa, escolhido para avaliar a qualidade dos estudos e apresentado na página 30, não utiliza a fonte de financiamento como critério de avaliação da qualidade dos estudos. Logo, este não poderia ser considerado um motivo para a baixa qualidade. A CONITEC também ignora que a pesquisa Pechmann, 2018 foi financiada pela Initiative SMA – DGM e.V. (entidade sem fins lucrativos formada por familiares com o objetivo de financiar pesquisa), não pela Biogen, e que os autores da pesquisa receberam financiamento de diversos outros laboratórios concorrentes da Biogen e que estão desenvolvendo terapias que devem concorrer com a nusinersena nos próximos anos, portanto não teriam interesse em “manipular” resultados para favorecer a indústria fabricante de nusinersena. A CONITEC deveria utilizar, para avaliar os seus próprios estudos, os mesmos critérios de avaliação de viés que aplica aos artigos analisados.O relatório da CONITEC aborda o trabalho de Finkel, 2017, afirmando que “os critérios de inclusão e exclusão definidos no estudo apontam para a seleção de crianças com doença menos graves dentre aquelas que possuem AME 5q tipo I”, o que é falso e claramente tendencioso: não há nada no estudo que tenha afirmado que a gravidade da doença tenha sido</p>	

critério de seleção. Muito pelo contrário: ao estabelecer como critério de seleção a presença de duas cópias do SMN2, o estudo teve o cuidado de excluir justamente os pacientes com 3 cópias do SMN2, que são considerados menos graves dentre aqueles que possuem AME 5q Tipo 1. Noutro giro, se por um lado foram selecionadas crianças que tinham ainda condições respiratórias razoáveis (saturação ambiente maior ou igual a 96%, também não foram excluídas crianças, por exemplo, que não tinham mais capacidade de deglutição e se alimentavam por gastrostomia. Não há como afirmar que a seleção favoreceu algum grupo, mais ou menos grave. Quanto à avaliação de Pechmann, 2018, também há claro viés na linguagem quando afirma que houve “modesta melhora da função motora”. Os resultados de Chop Intend aumentaram 9 pontos a partir de 22,3 e os de HINE, 1,4 pontos a partir de 1,1, em linha com os demais estudos. O que seria uma mudança “não-modesta”? Crianças condenadas a uma expectativa de vida de apenas 2 anos, após o uso da medicação tiveram melhora extraordinária em seus sistemas respiratórios! Isso pelo visto passou muito despercebido pelos conselheiros do CONITEC! Por fim, afirma uma inverdade: “(...) com relação à função respiratória e o estado nutricional, as crianças apresentaram piora após os seis meses de tratamento, com maior necessidade de uso de ventilação mecânica ou traqueostomia, bem como de gastrostomia.” Ora, sabendo que o medicamento não é ainda, infelizmente, a cura da AME, é de se esperar que ainda haja incidência de eventos adversos. Cabe, por óbvio, a comparação com a história natural da doença (Farrar, 2013; Finkel, 2016) e esta é clara: há sensível redução de eventos adversos graves com o tratamento. O que poderá ser confirmado com o histórico de internações das crianças submetidas ao nusinersena, as internações deixaram de ser frequentes passando a ser eventos raros! Ao excluir de sua análise o estudo De Sanctis et al, 2018, que ratifica a evolução da função motora de estudos anteriores, mas desta vez em uma amostra ainda maior, de 104 pacientes no EAP na Itália, o relatório da CONITEC não traz à luz conclusões como “Even if limited to the first 6 months of treatment, our preliminary results suggest that a motor functional improvement can be frequently observed in patients outside the range of the inclusion criteria used in the Endear study”. Ou seja: embora a eficácia do tratamento seja maior quanto mais cedo iniciado, o estudo evidencia que há ganhos também para crianças que iniciam o tratamento com mais dos 7 meses de idade. Ao mencionar que, por se tratar de estudos com duração menor que 15 meses, não seria possível fazer inferências quanto ao aumento da sobrevivência dos pacientes, o relatório da CONITEC mais uma vez oculta informações importantes: Finkel, 2017 mostra que a expectativa média de vida sem eventos no grupo de controle é de 22,6 semanas, enquanto no grupo com nusinersena, como não atingiu este ponto, é de pelo menos 56 semanas (e potencialmente maior). A comparação das curvas de sobrevivência também mostra, embora nenhum dos dois grupos tenham atingido a mediana, que o grupo tratado com nusinersena possui probabilidade de sobrevivência maior do que o grupo de controle. Resultado similar também é observado em Finkel, 2016, que compara o tratamento com nusinersen com o curso natural da doença num período de 40 meses. Afirma também que não se pode fazer inferências quanto ao uso prolongado da droga. É verdade, e assim o é simplesmente porque o medicamento é novo! Como conhecer seu efeito de longo prazo se o longo prazo ainda não aconteceu? Ou pior: como conhecer seu efeito de longo prazo sem utilizar o medicamento, como é a recomendação do relatório? O que se conhece no momento é a sua eficácia e segurança e não há por enquanto elementos que sugiram sua não aplicação. Ao realizar a avaliação final sobre a segurança do

medicamento, a exemplo do restante do documento, a CONITEC faz afirmações falsas ou tendenciosas ou omissões. Inicia com “Quanto à segurança, os estudos ECR adotaram uma metodologia sujeita a várias limitações, na qual os EA poderiam ser considerados relacionados ou não ao tratamento, de modo que o julgamento sobre a causa de tais eventos ficou prejudicada”. Ora, como “selecionar” quais efeitos adversos estão ou não relacionados ao tratamento? Ou por outro lado: se os autores tivessem classificado os EAs em relacionados ou não ao tratamento, não seriam passíveis de crítica de viés? A abordagem de não classificar os EAs por sua suposta causa, apenas quantificando-as, é conservadora e, por isso, um mérito da metodologia, não uma limitação. A CONITEC segue aquiescendo “Ainda assim, os estudos demonstraram não haver maiores frequências de EA potencialmente relacionadas ao medicamento no grupo que usou nusinersena em relação ao controle”, ou seja, reconhecendo que o tratamento não traz maior risco do que o não-tratamento. Mais do que isso: o texto flagrantemente oculta que a frequência de EAs graves no grupo em tratamento com nusinersena não só não excede o grupo de controle como é significativamente menor, o que evidencia que o tratamento medicamentoso é mais seguro do que o não-tratamento. A conclusão do relatório afirma: “Já em uma das cortes, identificou-se alta proporção de EA graves, que levaram à morte, hospitalização ou prolongamento da internação, dentre os EA relatados”. O comentário refere-se aos EAs reportados por Pechmann, 2018, com 54,7% da corte apresentando eventos classificados como graves (morte, hospitalização ou prolongamento da internação). Contudo, o relatório não estabelece qual o parâmetro de comparação para definir “alta proporção”. Houvesse comparado com Finkel, 2017, teria concluído que os 54,7% são substancialmente menores, tendo em vista que em percentual bastante inferior aos 76% do grupo também tratado com nusinersena (refletindo a diferença de populações) e os 95% do grupo de controle, sem tratamento! A CONITEC conclui que “Dessa forma, as evidências não permitem resultados conclusivos sobre a segurança do uso do nusinersena, sendo necessários estudos de vida real com maiores tempos de acompanhamento”, finalizando o seu contorcionismo para afirmar o contrário do que os dados mostram: que o tratamento com nusinersena é significativamente mais seguro que o curso natural da doença. O CONITEC está apresentando conclusões e posicionando-se de maneira diametralmente oposta a diversos órgãos regulamentadores e órgãos de saúde no Brasil e no mundo – e a esmagadora conclusão foi pela segurança e eficácia de nusinersena em pacientes portadores de AME Tipo 1. No entanto, a Comissão não aponta quais os aspectos falhos nas avaliações realizadas por todos estes órgãos. Não seria porque o conselho não tem capacidade técnica e deveria ter aberto mão de elaborar um relatório técnico tão importante? Deixando o mesmo ser feito por especialistas de renome na área?

3ª - Sim, O relatório infelizmente começa afirmando que “no Brasil, não existem diretrizes para a condução de avaliações econômicas em saúde para doenças raras” (p. 33). Não é só no Brasil que isso acontece: a avaliação de custo benefício no contexto de doenças raras não é consenso no mundo científico, principalmente pela dificuldade técnica de obter-se resultados confiáveis, além de questões éticas. O relatório utiliza um modelo de Markov para análise de custo-benefício, no qual são modelados apenas dois estados (eficácia e falha terapêutica), ambos obtidos através do tratamento com nusinersena ou tratamento convencional. Ocorre que o estado “eficácia terapêutica” é o mesmo, ou seja, tem a mesma utilidade (1) em ambos os tratamentos. Ora, isso equivale a dizer que toda a melhora na condição clínica do paciente

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>decorrente do tratamento com nusinersena, largamente documentada nos estudos clínicos, e vivida pelas famílias com AME, simplesmente não está representada no modelo. A análise parte da suposição de que o único benefício do medicamento é a prorrogação da expectativa de vida, sem considerar como benefício a melhora de condições clínicas e qualidade de vida dos pacientes, completamente em desacordo com a realidade. O modelo de custos adotado assume que o custo do tratamento com nusinersena é igual ao custo do tratamento convencional atualmente praticado no SUS mais o custo do medicamento. A principal causa de morte ou ventilação permanente em pacientes AME tipo 1 são complicações respiratórias, decorrentes da fraqueza muscular que causa broncoaspiração. A melhora na condição clínica obtida com o uso de nusinersena leva também a menor número de internações hospitalares e obviamente redução dos custos associados. Na página 56 do relatório consta o detalhamento dos gastos estimados do SUS, totalizando R\$15.880,68 mensais, dos quais 83% referem-se a procedimentos cirúrgicos/hospitalares, justamente os que tendem a reduzir. Não só na modelagem dos estados de Markov, mas também aqui o estudo falha em não considerar a melhora na condição clínica dos pacientes como um dos benefícios do tratamento com nusinersena. Além disso, o relatório informa que a referência de custos do SUS com o tratamento convencional totaliza R\$15.880,68 (p. 56) e refere-se ao período de 2000 a 2015. Fazendo-se uma simples atualização destes valores até 2017 pelo índice IPC Saúde (FIPE), este valor seria reajustado em cerca de 85%, aproximando-se de R\$30.000/mês ou cerca de R\$720.000 no período de análise de 2 anos, reduzindo o custo relativo do tratamento com nusinersena. Sob o pretexto da falta de evidências de longo prazo, a análise considera 24 meses como horizonte temporal do tratamento. Ora, trata-se de uma droga órfã e nova, é óbvio que não há evidências de eficácia de longo prazo! Não há também nenhuma evidência de que o medicamento perca eficácia após 24 meses. Esta modelagem é duplamente perversa: primeiro porque o tratamento no primeiro ano consiste em 6 doses, enquanto nos anos subsequentes, apenas 3; segundo porque a diferença de sobrevivência tornar-se-á ainda maior após o segundo ano, dado que a probabilidade de sobrevivência em AME tipo 1 sem tratamento é menor que 25% após os 2 anos (Farrar et al., 2013). A escolha de 24 meses como horizonte temporal maximiza os custos e minimiza os benefícios de forma arbitrária, sem qualquer fonte adequada que a justifique. Passa-se à análise de custo-efetividade. Destacam-se inicialmente os erros primários apresentados no quadro 9, no qual houve a inversão dos valores nas colunas de Custo Incremental e RCEI. Além disso, aponta-se outra simplificação grave: o custo em 2 anos do tratamento convencional (R\$270.894,28) está baseado no histórico de custos do SUS entre 2000 e 2015, sem qualquer tipo de correção inflacionária para o período. Corrigindo o valor pelo índice inflação mencionado acima, do período até 2017, este ficaria em torno de R\$500.000,00, reduzindo o custo incremental do tratamento com nusinersena. Também não foi evidenciado com base em que dados foi calculado o custo do tratamento convencional por dois anos no SUS como R\$1.165.136,69 e com nusinersena R\$1.993.823,03 (p. 34). Já do lado dos benefícios, não há qualquer menção sobre como foram calculados os Meses de Vida Ganhos na página 35, tanto para o tratamento convencional (5,58) como para o com nusinersena (6,67). Estima-se que os MVG do tratamento convencional tenham sido baseados em Finkel et al., 2017: "The median time to death or the use of permanent assisted ventilation was 22.6 weeks in the control group and was not reached in the nusinersen group". Contudo, se esta foi a referência, não há referência para o MVG de</p>	



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

6,67 do tratamento com nusinersena. Com efeito, Finkel et al., 2016, em um estudo de mais longo prazo, indica que mesmo após 40 meses o tempo de sobrevivência mediano não foi alcançado, de forma que poder-se-ia conservadoramente assumir 24 meses no MVG do Quadro 9, ao invés dos 6,67. Como nem o custo nem o benefício se sustentam, nenhuma conclusão pode ser tirada desta análise. Contudo, apenas para referência, o Quadro 09 corrigido o custo do tratamento convencional pela inflação (conforme explicado acima) e a efetividade para o tratamento com nusinersena ficaria: Por fim, há outros aspectos relacionados à falta de transparência e fatores éticos. Ainda que a análise de custo-efetividade estivesse confiável, o estudo afirma na página 35: “A relação custo-efetividade extrapola os precedentes históricos (...)”. Quais seriam os precedentes históricos? Qual o parâmetro utilizado para afirmar que um medicamento tem custo-benefício aceitável? Se o benefício é conhecido (segundo Finkel et al., nusinersena praticamente triplica a probabilidade de sobrevivência – hazard ratio for death 0.37), qual o custo aceitável para obtê-lo? Em outras palavras, quanto vale a vida?

4ª - Sim, Analisando todas as cinco referências bibliográficas fornecidas no relatório (OGINO, et al, 2002; LUNN & WANG, 2008; PRIOR, 2010; ARNOLD et al., 2015; VERHAART et al., 2017) a incidência de AME varia entre 1 a cada 10.000 e 1 a cada 11.000 nascidos vivos, portanto os autores cometem erro grave e primário ao utilizar como base o dado de 1 a cada 8.500 nascidos vivos, em descompasso com todas as fontes bibliográficas usadas no trabalho. Trata-se de mais uma evidência de que este relatório é amador e desprovido de confiabilidade mínima. Além disso, VERHAART et al., 2017 identificou que a incidência de AME na população negra e hispânica chega a ser 2,5 vezes maior que na população caucasiana e asiática, de forma que a incidência ajustada à população brasileira poderia ser estimada em torno de 1 a cada 14.000 nascidos vivos. Quanto ao número de nascidos vivos/ano no Brasil, com base nas Estatísticas de Registro Civil do IBGE, em 2016 (última referência nesta data) é 2.793.935, não os 3.058.783 do relatório. Assim, considerando-se a prevalência de 58% de AME tipo 1, o número de pacientes no 1º ano seria 162, ou 22% abaixo dos 209 no Quadro 11. Em seguida, o relatório estima que o tratamento seria por 2 anos, mas que 12% dos pacientes continuariam além desse período. O que causa estranheza é por que para efeitos de impacto orçamentário leva-se em conta que parte dos pacientes sobreviverá além dos 2 anos e para cálculo de custo-efetividade (ver seção anterior) apenas dois anos. Os valores calculados no Quadro 12 estão absolutamente errados. Consideraram-se que são necessárias 6 doses por paciente em todos os anos do tratamento. Por exemplo, na coluna Ano 2, com valor do frasco de R\$54.112,00, o valor de R\$135.712.899,80 é obtido multiplicando-se 418 (número de pacientes no 2º ano evidenciado no Quadro 11) por 6 doses. Mas apenas metade dos pacientes vai tomar 6 doses, pois a outra metade começou o tratamento no ano anterior e vai tomar apenas 3 doses. O valor correto seria de R\$101.784.672,00 (o número mostrado é 33% maior que o real). O mesmo erro se propaga para os próximos anos. Assim, utilizando referências mais acuradas e corrigindo o erro de cálculo de impacto orçamentário (Quadro 12), tem-se que o impacto orçamentário em 5 anos ficaria entre R\$160 milhões e R\$1,19 bilhões, ao invés dos R\$380 milhões a 2,85 bilhões reportados no relatório. Não se pode aceitar uma análise que apresenta impacto orçamentário 140% maior por erro de cálculo! Contudo, mesmo estes números podem estar superestimados, pois ainda não foram consideradas nem a redução de custos de internação hospitalar no SUS, decorrente da melhor condição clínica dos pacientes tratados com

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>nusinersen, nem o triste fato de que muitas crianças morrem antes dos 2 anos sem mesmo terem sido diagnosticadas. Para ter-se uma ideia da ordem de grandeza, segundo o Datasus, ocorreram 180 óbitos infantis referentes ao CID-10:G12 (Atrofia Muscular Espinhal) entre 2007 e 2016, ou seja, 18 por ano em média. Se assumirmos que a incidência e a prevalência na população não mudara neste período e compararmos com o número de nascimentos estimados por ano de 116, tem-se que pouco mais de 15% dos casos foi identificado.</p> <p>5ª - Sim, Pois bem, o Ministério da Saúde culpa o alto custo da medicação e diz que a mesma irá impactar substancialmente no orçamento da União. Isso é uma inverdade, pois só de fundo partidário o TSE liberou para os partidos o montante de 1,7 bilhões de Reais e o Presidente Michel Temer em um ato de bondade aprovou o reajuste do judiciário causando um impacto orçamentário previsto de 6,9 bilhões de Reais em 2019. Daí nós perguntamos aos senhores, quem está causando maior impacto orçamentário? Os pobres dos portadores de AME ou os políticos e os magistrados? Se o Brasil tem condições de dar essas mordomias aos partidos políticos e magistrados, com certeza tem dinheiro em caixa para exercer sua obrigação constitucional e patrocinar a incorporação do nusinersena no SUS!</p>	
16/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Seu, que o valor do medicamento contra a AMI tem um valor altíssimo, e que seria um gasto alto para os cofres públicos, entretanto deve-se observar que segundo a constituição e o estatuto da criança e do adolescente, toda pessoa tem direito a vida, e é dever do governo garantir isto. As famílias das crianças portadoras da doença não tem condições de custear o tratamento, e isso resulta no agravamento da doença na criança, diminuindo suas chances de vida. JÁ PENSOU SE FOSSE SEU FILHO QUE TIVESSE AMI? O QUE VOCÊ FARIA PARA CONSEGUIR O TRATAMENTO?</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. O medicamento poderia ser incorporado ao SUS pois há evidências clínicas de melhora da doença, porém o valor de comercialização do medicamento é bastante alto.</p> <p>2ª - Sim, O medicamento reduziu o risco de morte ou de suporte ventilatório e houve melhora da escala de avaliação motora.</p> <p>3ª - Sim, o preço do medicamento ainda é muito alto.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A favor de que o SUS forneça nusinersena 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As considerações a seguir foram pensadas junto a uma equipe composta por uma neuropediatra, uma fisioterapeuta motora, uma fisioterapeuta respiratória e uma fonoaudióloga, todas com experiência clínica de manejo de pacientes com Atrofia Muscular Espinhal (AME). Ainda, uma bióloga geneticista atuante em pesquisas científicas no assunto considerou os dados acerca das evidências da literatura. Concordamos com algumas das colocações do CONITEC acerca dos desenhos experimentais e alto custo da medicação. Porém discordamos que o medicamento não apresente eficácia significativa e que não deva ser fornecido pelo SUS. Cerca de 60% dos pacientes tratados e reportados na literatura se mostram responsivos ao nusinersen, indicando potencial e significativa melhora na qualidade de vida dos mesmos. Há de se considerar, por exemplo, que várias drogas aprovadas para tratamento de câncer possuem eficácia menor do que 60%. Assim, nosso parecer é de que o CONITEC considere a renegociação do preço cobrado pelo medicamento, considere o diagnóstico precoce dos pacientes (como explicado nos itens a seguir), considere suporte de reabilitação especializada e suporte hospitalar para administração intratecal do medicamento.</p> <p>2ª - Sim, A AME é considerada uma doença de grande variabilidade fenotípica, denotada pela própria classificação em tipos de 0 a 4 (D'Amico et al., 2011) e, ainda, com uma variabilidade fenotípica observada dentro de cada um dos tipos da doença. Estudos amplos de coortes mundiais, como exemplificado (mas não exclusivo à) pelo artigo de Calucho e colaboradores (2018), mostram a correlação do número de cópias de SMN2 com a gravidade do fenótipo: quanto maior o número de cópias de SMN2, melhor o prognóstico/mais leve o quadro clínico. Contudo, como evidenciado pela literatura, esta correlação não é absoluta, mostrando a existência de outros componentes genéticos e moleculares como moduladores fenotípicos da doença (Wirth et al., 2013). 1) Apesar do curto tempo de seguimento, que de fato pode conferir incertezas sobre os efeitos a longo prazo do nusinersen, um dos estudos considerados pelo CONITEC traz dois dados extremamente relevantes para a avaliação de eficácia do tratamento frente à duas importantes variáveis: o número de cópias de SMN2 e a avaliação de resposta motora de acordo com a idade do paciente no início do tratamento com nusinersen. As conclusões dessas avaliações indicam que, a quantidade do número de cópias do gene SMN2 não parece influenciar o grau de resposta obtido, mas que a idade de início do tratamento, sim. Diante disso, é importante pontuar que trabalhos como o Govoni e colaboradores (2018) visam entender e reportar a janela terapêutica em potencial para o tratamento farmacológico da AME. Como o principal objetivo da terapia é resgatar os níveis suficientes de proteína SMN funcional (e que, de acordo com sua função, esta atue na sobrevivência dos neurônios alfa-motores) é esperado que haja variabilidade de resposta quando os pacientes AME tipo I são tratados antes ou após os 6 meses de idade. Isto porque aproximadamente 95% das unidades motoras de um paciente com AME tipo I são perdidas nos primeiros 6 meses de idade (Sowoboda et al., 2005). Contudo, é evidente, pelos trabalhos relatados pelo CONITEC, que muitos pacientes, após tratamento com a droga, mostram melhora significativa nas escalas motoras, atingindo marcos motores de desenvolvimento não alcançados nesses pacientes quando do curso de evolução natural da doença. Ainda, é importante ressaltar que os desfechos da inclusão dos pacientes do estudo ENDEAR (Finkel et al., 2018) no estudo SHINE (Finkel et al., 2018, apresentado no 15th International Congress on Neuromuscular Diseases) mostram uma progressiva melhora motora na escala HINE-2 e CHOP-</p>	

INTEND dos pacientes que receberam tratamento nos dois estudos. Além disso, esse estudo avalia que o risco de morte de pacientes que receberam o tratamento em ambas as fases ENDEAR e SHINE é menor do que quando os pacientes receberam o tratamento somente na fase SHINE, sendo indicativo de uma maior eficácia da intervenção terapêutica precoce na sobrevida dos pacientes.2)Gostaríamos, também, de comentar a respeito da opinião técnica do CONITEC sobre a eficácia da droga frente à sobrevida e necessidade de ventilação não-invasiva (VNI) ou por traqueostomia. De acordo com o reportado no artigo original de Pechmann e colaboradores (2018), 4,9% dos pacientes fizeram traqueostomia após 6 meses de tratamento com o nusinersen e não 6,6% como escrito no parecer do CONITEC. Apesar do equívoco, ainda podemos ver uma porcentagem de pacientes que evoluíram com uso de VNI ou traqueostomia, indo ao encontro da avaliação do CONITEC. É preciso cautela ao interpretar esses dados como “aumento das taxas de piora”, no qual, se considerarmos que o desfecho observado é um sintoma comum presente em pacientes AME tipo I, com curso de evolução natural da doença, a interpretação seria de que uma porcentagem de pacientes pode não ter sido responsiva ao tratamento por nusinersen e que, portanto, estariam evoluindo em curso natural da doença. Ainda, os autores do trabalho pontuam que não é possível, a partir dos dados coletados, avaliar se a necessidade do suporte ventilatório se deve ao curso natural da doença ou a abordagem terapêutica pró-ativa utilizada. Essa abordagem mencionada pode ser explicada por um exemplo comum na rotina terapêutica: um paciente em uso de VNI somente no período noturno, pode, durante um programa de tratamento fisioterapêutico motor ter indicação de uso da VNI com objetivo de evitar a fadiga muscular e potencializar a capacidade motora. Desta forma, o tempo total de uso da VNI vai estar aumentado, porém este aumento não indica necessariamente piora do quadro e, sim, adequação do uso do suporte ventilatório à demanda diária do paciente. Considera-se também que, dada a variabilidade genética individual, pode-se esperar uma variabilidade de resposta nos pacientes tratados com drogas que visem a produção de proteína SMN funcional a partir de SMN2. Estudos adicionais e de amplas coortes (com números de pacientes possíveis de serem obtidos dada ser uma doença rara) precisam ser realizados afim de elucidar as causas e graus de responsividade e não-responsividade ao tratamento farmacológico. Contudo, esses estudos levam tempo e estamos frente a uma droga que apresenta eficácia e responsividade em cerca de 60% dos pacientes tratados, o que representa qualidade de vida para o paciente, cuidadores e familiares e menor oneração ao governo se pensarmos que indivíduos ativos poderão contribuir, também, ativamente na sociedade.3)Mensurar a quantidade ou qualidade de resposta como “apenas estabilização”, como apontado na página 28 do parecer técnico do CONITEC, também merece atenção. Entendemos e concordamos com a grande heterogeneidade da coorte no que cerne a idade dos pacientes avaliados e amostragem pequena do estudo de Farrar e colaboradores (2018). Contudo, a estabilização do quadro de um paciente com AME, seja ela tipo I, II ou III, pode significar funcionalidade, com consequente inserção, contribuição ativa para a sociedade e potencial independência. Diversos congressos científicos internacionais têm trazidos discussões acerca da mudança da classificação e conduta clínica frente à evolução dos pacientes de AME tipo I sendo tratados com nusinersen e atingindo marcos característicos de AME tipo II. Portanto, quando se fala em estabilização, esse é um resultado altamente relevante, dado que se trata de uma doença altamente progressiva, degenerativa e debilitante. Para elucidar melhor a questão, daremos um exemplo prático: um

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>paciente AME tipo I exige cuidados domiciliares intensivos (24 h por dia), com dieta por gastrostomia, aparelho de ventilação mecânica não invasivo (VMNI) ou invasivo (VMI) por traqueostomia, aspirações e nebulizações que exigem cilindros de oxigênio e ar comprimido, além de tratamento domiciliar de reabilitação, especialmente fisioterapia respiratória. Enquanto que, se esse paciente tiver acesso a medicação e for responsivo a ela, se ele se tornar um AME tipo II pode, por exemplo, depender do uso de VMNI por menos horas, não ser aspirado com tanta frequência, ser levado a centros de reabilitação para tratamento, frequentar escola e a comunidade; atividades que precisariam ser feitas em sistema domiciliar ou com recurso de ambulância em um contexto sem o acesso a medicação. Ainda, a intervenção farmacológica do nusinersen pode potencializar ganhos fonoaudiológicos, como mímica facial (fundamentais para a comunicação e interação social), função de órgãos fonoarticulatórios, tônus e mobilidade da musculatura oral, faríngea, laríngea e esofágica responsáveis pela deglutição; estas funções refletem em respiração, fala e voz, diminuindo risco de broncoaspiração e da introdução à traqueostomia.4) Também é imprescindível o diagnóstico precoce da AME, para que questões que cernem a qualidade de vida do paciente sejam preservadas: sobrevida, juntamente com função respiratória, motora e gastrointestinal/nutricional, garantindo a máxima funcionalidade desse paciente. Se focarmos em uma identificação precoce da AME, como já ocorre no diagnóstico pré-natal em larga escala para doenças como fenilcetonúria por exemplo, poderíamos intervir precocemente, com o uso da medicação e tratamentos associados, no curso de evolução natural da doença e, em poucas gerações, teríamos indivíduos com significativa maior qualidade de vida e, conseqüentemente, menores gastos de cuidados paliativos ao governo. Ainda, a intervenção terapêutica farmacológica em outros tipos de AME, como já se pensa na Austrália, poderia significar além da manutenção da qualidade de vida, independência e redução dos gastos do governo com suportes ventilatórios, internações e cuidadores até mesmo para AME tipo II e III.5) Os artigos de Pechmann et al. (2018) e Farrar et al. (2018) relatam desfechos de melhora e/ou estabilização nas escalas de avaliação funcional, CHOP-INTEND e HINE-2. Estes desfechos são importantes e não podem ser desprezados ou subjugados visto que, por se tratar de uma doença grave, degenerativa e rapidamente progressiva, a manutenção e/ou melhora funcional em itens importantes como capacidade de sustentar a cabeça, rolar, sentar, segurar objetos e capacidade de levar objetos a boca são transformados em melhora e/ou manutenção da qualidade de vida e/ou independência funcional. A sobrevida do paciente com certeza é importante, mas pacientes que recebam a medicação e que consigam melhorar ou manter o quadro clínico e a qualidade de vida podem ser indivíduos que dependam de menores intervenções de terceiros, como cuidadores, e impactem em menores custos em internações e outras intercorrências.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, 1) Verifica-se, também, que todos os pacientes avaliados nos estudos contemplados pelo parecer do CONITEC, foram devidamente instruídos a seguir as condutas terapêuticas estabelecidas nas diretrizes de cuidados padrões com a AME (Wang et al., 2007), minimizando viés de cuidados locais de centro para centro. Consideramos essencial que essa comissão julgue o estabelecimento de suporte multidisciplinar (fisioterapia</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>motora, respiratória, fonoaudiológica, terapia ocupacional, suporte nutricional) juntamente com a administração da droga, visando a máxima qualidade de vida e funcionalidade do paciente frente a intervenção farmacológica conjunta. A formação e capacitação de profissionais atuantes em centros já existentes (como Rede Lucy Montoro e Rede SARAH) para atender também a demanda de pacientes com doenças neuromusculares, como a Atrofia Muscular Espinhal, pode ser uma estratégia a ser pensada. Porém os cuidados na AME são extremamente específicos e a correta formação e orientação dos profissionais é essencial.2) Como a causa genética da AME é a ausência da proteína funcional de SMN, podemos esperar que terapias que tenham por objetivo a modulação da quantidade de proteína SMN funcional produzida sejam mais efetivas. Assim, terapias que visem outros alvos terapêuticos que não os genes SMN1 ou SMN2 tem sua relevância, mas têm sido apontadas pela literatura como estratégias terapêuticas adicionais em casos mais graves ou a longo prazo (Bowerman et al., 2017). Assim, algumas das terapias mencionadas pelo parecer do CONITEC devem ser interpretadas com cautela quando colocadas em um rol comparativo de terapias que objetivam a correção da produção da proteína SMN ausente. A olexosima (TRO19622, Roche), por exemplo, mostrada na figura 01 do parecer do CONITEC, teve seus estudos clínicos de fase 2 descontinuados por não apresentar eficácia em pacientes com AME tipos II e III, alvos dessa terapêutica.3) O relatório do CONITEC, ainda, considera que além do custo da droga, há de se incluir o custo do teste genético para confirmação da AME 5q. Visto que o nusinersen é administrado de maneira intratecal, a viabilização do suporte de monitoração e internação do paciente para recebimento do fármaco também deve ser considerada pelo governo. A indicação para a administração do nusinersen é de que haja controle de parâmetros clínicos e laboratoriais pré, durante e pós-administração intratecal do medicamento. Essa medida minimizaria riscos de infecções e complicações decorrentes da punção intratecal realizada de maneira incorreta e maximizaria a estabilização do paciente quando uma equipe multidisciplinar adequadamente especializada pudesse assistir esses pacientes.</p>	
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O SUS como um sistema de saúde pública universal, deve abranger todas as necessidades dos seus usuários/pacientes, como está em sua diretrizes. Deve também está pautado na política de humanização, onde se considera a necessidade dos pacientes e profissionais, logo é de suma importância a distribuição deste medicamento a inúmeras crianças, adolescentes e adultos pelo qual está doença os acomete, como cidades de direitos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, O tratamento desta doença apesar de ter um grande gasto pode ser considerado preventivo a outras doenças e necessidades que podem surgir, logo, devendo-se ser recomendado a distribuição como forma de prevenção e tratamento, afim de garantir a qualidade de vida destes pacientes</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sabe-se que muitas crianças vem tendo melhorias com essa medicação e diversos países já foi incorporado o mesmo.</p> <p>2ª - Sim, Evidencia clinica de melhorias.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os custos com o tratamento da patologia são maiores que a prevenção</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Não</p>	
16/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tendo em vista todos os argumentos mostrados pela conitec com conclusão não favorável à aprovação do Spinraza, tenho a necessidade de mostrar a minha repulsa como cidadã brasileira e mãe de 2 filhos portadores de ame tipo 1, sendo que a minha primeira filha foi levada pela Ame em 2010. Primeiro que o ministério da saúde não faz ideia de quantos pacientes com ame existe hoje no Brasil, jogando em seu relatório um número fantasioso para mostrar gastos exorbitantes com a possível distribuição do medicamento. Depois que não é papel da conitec dizer quem deve ou não viver colocando os olhos no orçamento público sem sequer abrir negociações com a biogen, sabendo que o Spinraza é o único remédio capaz de salvar a vida dos pacientes . Sim salvar a vida pois não se trata de um medicamento convencional e sim uma única chance de viver que vem mostrando excelentes resultados nos mais de 150 pacientes brasileiros que estão em tratamento hoje no Brasil, e nos outros tantos em diversos países inclusive Itália e Eua. Meu filho chama Luan Pietro Tomé Costa e aos 10 meses foi submetido a primeira avaliação chop inted onde teve 13 pontos, logo depois ele perdeu a deglutição e foi internado numa uti com pneumonia que o levou a a usar respirador vni 24horas. Com quase 11 meses ele fez sua primeira aplicação de Spinraza, hoje ele já tomou 5 doses e está se alimentando 100%pela boca , não usa respirador durante o dia e ganhou movimentos motores surpreendentes como por exemplo segurar sua própria cabeça. Na quarta dose ele teve um aumento de 10 pontos na escala chop inted o que quebra todas as afirmações falsas da conitec que o Spinraza não faz efeito ou pouco efeito . Luan Pietro está aí pra contrariar o ministério da saúde e dizer que sim podemos salvar vidas e evitar que as futuras gerações pereçam e morram de ame.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Hoje no Brasil a média de portadores de ame de todos os tipos é de 1.500 pessoas no máximo</p> <p>4ª - Sim, O impacto orçamentário dos pacientes em leitos de uti , tratamento em home care etc gera um gasto bem compatível com o valor da medicação se a mesma for negociada Com A biogen e comprada em grandes lotes .</p> <p>5ª - Não</p>	
16/09/2018	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
16/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Ainda que seja um equipamento de alto valor agregado, acredito que a consituição defende o direito à saúde e ao tratamento a todos, sem condicionais de valor do tratamento. Alguns afirmam que o o medicamento só surge efeito até uma certa idade, o que na prática foi comprovado ser uma inverdade. E ainda que fosse verdade, salvar uma vida já valeria a pena qualquer investimento. Não podemos atribuir valor a vida humana. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, Acredito que muitas outras despesas do governo impactam no orçamento, como a bilionária renúncia fiscal, como subsídios, alta despesas como por exemplo gramado dos jardins da presidência da república e outras despesas, que não são enxugadas, causando o detrimento das despesas fundamentais. Completando o total descaso, ainda se aprova a PEC dos gastos que limita os únicos gastos que não devem ser limitados. 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A recomendação não possui nenhum embasamento técnico, financeiro ou científico. Na questão técnica, apresenta dados inexistentes, na questão financeira não há qualquer menção a quantos pacientes hoje há em tratamento ou internados, além não distinguir os diversos tipos de AME ao listar o que chamam de "tratamento convencional". Na questão científica, não apresenta qualquer embasamento para desqualificar os diversos estudos publicados em diversos centros, alegando que faltam estudos, mas não dizendo quais métodos devem ser aplicados, o que demonstra apenas que o relatório foi escrito pensando em como dar o resultado negativo, em não como lutar contra o único problema deste medicamento: o seu preço.</p> <p>2ª - Sim, Acredito que existem diversos pontos que foram omitidos, distorcidos, ou inverídicos, sobre ganhos "modestos", perdas ou eventos adversos. Estou anexando alguns para que sejam levados em consideração, mas um ponto específico me chamou a atenção, pois demonstra o descuido na elaboração do relatório. No trecho de precauções, é citado: "Foi observada ocorrência de trombocitopenia e anormalidades da via de coagulação, incluindo trombocitopenia aguda grave e toxicidade renal após administração de nusinersena por vias subcutânea ou intravenosa." Spinraza é aplicado por via INTRATECAL, e o que a bula cita é apenas o seguinte: "Toxicidade renal foi observada após administração de oligonucleotídeos anti-senso ou anti-sentido por vias subcutânea e intravenosa." Ou seja, foi observada toxicidade em outro meio de infusão em medicamentos da mesma classe, mas não no Spinraza, conforme pode ser validado nos artigos em anexo, que não listaram eventos adversos ligados a qualquer questão de toxicidade renal. Pelo contrário, a bula do profissional cita: "No estudo de dose por via IT de 53 semanas em macacos Cynomolgus juvenis foram observados efeitos de toxicidade em níveis de 14 vezes a dose de manutenção de tratamento anual recomendada." Ou seja, doses 14 vezes superiores a dose de tratamento não apresentaram toxicidade.</p> <p>3ª - Sim, Apresentem o que vocês consideram como "tratamento convencional", pois não havia tratamento antes do Spinraza. Além disso, é no mínimo inocente considerar que se houver o rápido início do tratamento, não haverá diminuição de outros gastos. Nos países que estão aplicando Spinraza, diversos pacientes não usam ventilação (invasiva ou não-invasiva) e não necessitam de gastrostomia para alimentação.</p> <p>4ª - Sim, A avaliação de impacto orçamentário não considera que diversos pacientes já iniciaram tratamento, o que em uma conta superficial me fez chegar a um número 55% menor no pior cenário listado pelo CONITEC para 5 anos.</p> <p>5ª - Sim, Incluam o teste genético para AME no teste do pezinho, e façam um estudo demográfico para capacitar os pediatras neonatologistas para identificar pacientes hipotônicos rapidamente e de forma correta.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas devem ter acesso ao tratamento da enfermidade 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos devem ter acesso ao tratamento os que precisam é dever do governo oferecer salvar vidas 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A recomendação preliminar da CONITEC é equivocada e discordantes dos estudos clínicos atuais realizados com o medicamento Nusinersen. Pacientes com Atrofia Muscular Espinhal do tipo I geralmente não apresentam sobrevida superior a 18 meses de vida e durante seu curto período de vida apresentam insuficiência respiratória grave com necessidade de traqueostomia e disfunção bulbar com necessidade de gastrostomia para alimentação, com os estudos clínicos mostrando que pacientes tratados com Nusinersen apresentam melhora importante e estatisticamente significativa do ponto de vista respiratório mantendo independência ventilatória e melhora em todos os escores de desenvolvimento motor com consequente melhora da qualidade de vida e da sobrevida.</p> <p>2ª - Sim, No estudo ENDEAR, o tratamento com nusinersena reduziu em 47% o risco de morte ou de ventilação permanente (desfecho primário) e em 63% o risco de morte. Esses resultados não são estratificados de acordo com a idade dos pacientes. O estudo inclui sim uma análise exploratória de subgrupos com duração de doença maior ou menor do que 13,1 semanas no recrutamento, na qual observa-se maior eficácia para pacientes com menor duração de doença, achado esperado para uma doença neurodegenerativa e progressiva. No mesmo estudo, 41% dos pacientes tratados vs 0% do grupo controle foram responsivos e, esse resultado foi considerado benéfico o suficiente para que se decidisse, junto às agências reguladoras, o término precoce desse estudo e início do estudo de extensão, no qual todos os pacientes foram tratados (SHINE). Na análise final, os resultados para esse desfecho foram de 51% para o grupo tratado vs 0% no grupo controle, evidenciando uma melhora contínua e sustentada. Estudos de vida real, demonstram que o uso de Nusinersen em pacientes com AME tipo I proporciona melhora dos escores motores de modo importante em relação a pacientes não tratados bem como possibilita melhora do quadro ventilatória e da qualidade de vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todo e qualquer medicamento que forneça qualidade de vida ao paciente deve ser utilizado. Os impostos que pago é para que haja retorno do governo em serviços de qualidade. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tive a oportunidade de acompanhar pacientes que iniciaram a medicação em Recife através da avaliação com escalas padronizadas (CHOP INTEND para tipo I e HammerSmith Expandida para tipo II) e houve melhora significativa na função motora das crianças com aumento da pontuação das escalas. O resultado observado é condizente com os estudos publicados em importantes revistas internacionais. O medicamento teve sua tolerância e segurança comprovadas em estudos multicêntricos internacionais e sua eficácia vem sendo demonstrada em diversas pesquisas.</p> <p>2ª - Sim, O uso do medicamento deve ser indicado de acordo com a prescrição de médico especialista na área para todos os tipos de ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL, sem restrição de idade ou condição de suporte ventilatório ou via alternativa de alimentação. Sabe-se que seus efeitos são ainda melhores se o tratamento for realizado em crianças menores, na fase inicial de sintomas, mas mesmo pacientes de maior idade apresentam ganhos na evolução motora. Importante salientar que o medicamento se mostrou capaz também de prolongar a sobrevida de pacientes TIPO I . Alguns estudos devem ser destacados :Estudo NURTUREEstudo com pacientes pré-sintomáticos. Os doentes que fizeram uso do Nusinersena atingiram etapas não esperadas na SMA do Tipo I ou II e estas foram mais consistentes com o desenvolvimento normal. Estudo ENDEAREstudo realizado com pacientes AME tipo 1 com até 6 meses de idade. Foi um estudo de fase 3, aleatorizado, com dupla ocultação, controlado com simulação, conduzido em 121 lactentes sintomáticos com &amp;#8804; 7 meses de idade, diagnosticados com SMA (aparecimento dos sintomas antes dos 6 meses de idade). Observaram-se efeitos estatisticamente significativos na sobrevida sem acontecimentos, na sobrevida global, na proporção de doentes que atingiram a definição de respondedor de uma etapa motora e na percentagem de doentes com uma melhoria de pelo menos 4 pontos, relativamente aos valores iniciais, no Teste de Doença Neuromuscular para Lactentes do Hospital Pediátrico da Filadélfia (Children's Hospital of Philadelphia Infant Test for Neuromuscular Disease - CHOP INTEND) nos doentes no grupo de Spinraza em comparação com aqueles no grupo de controle com simulação. Outro estudo recentemente publicado por Karolina Aragon-Gawinska e colaboradores mostrou ganho motor também em pacientes com AME tipo 1 que iniciaram a medicação em idade mais avançada ( entre 8 e 113 meses de vida). O estudo de Pane e colaboradores publicado na Neuromuscular Disorders também aponta evolução na função motora de pacientes com AME tipo I após seis meses de tratamento com o Spiranza. Os pacientes apresentavam de 3 meses até 19 anos. Tendo a maior parte dos sujeitos da pesquisa mais de 7 meses no início do tratamento. Um estudo alemão publicado na revista Journal of Neuromuscular Diseases mostrou que 77% dos pacientes com AME 1 entre 1 a 93 meses ( média 23) melhoraram a sua performance motora avaliada na escala CHOP INTEND. Fato não esperado na história natural da doença que cursa com perdas motoras importantes. Estudo CHERISH126 Pacientes, de 2 a 12 anos, com uma maior probabilidade de desenvolver SMA do Tipo II ou III que usaram o Spiranza apresentaram melhora significativa na função motora avaliada pela escala HammerSmith .</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Torna-se imprescindível uma revisão do parecer técnico da CONITEC diante das evidências científicas mundiais com o uso da medicação. A AME é uma doença grave que mata e incapacita pacientes. Conforme</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>texto da constituição federal (lei 8080 de 1990) no Art. 2º "A saúde é um direito fundamental do ser humano, devendo o Estado prover as condições indispensáveis ao seu pleno exercício."§ 1º O dever do Estado de garantir a saúde consiste na formulação e execução de políticas econômicas e sociais que visem à redução de riscos de doenças e de outros agravos e no estabelecimento de condições que assegurem acesso universal e igualitário às ações e aos serviços para a sua promoção, proteção e recuperação. Assim, o medicamento NUSINERSENA deve ser incorporado ao SUS, sem restrições de tipo ou idade, na tentativa de garantir o direito à saúde e qualidade de vida aos pacientes com AME.</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As crianças com AME precisam desra medicacao com urgencia,deste modo torna-se muito dificil para os pais/familia/amigos conseguirem um valor tao alto em tao pouco tempo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Atualmente está é a única esperança de vida para um paciente com AME. O Estado não pode negar uma alternativa de vida a um ser humano.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos tem direto a vida e saúde com qualidade, pois contribuimos sempre. Pagamos impostos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Sim, 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O IMPORTANTE É TRABALHAR EM PROL DA POPULAÇÃO. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Concordo com algumas das colocações do CONITEC acerca dos desenhos experimentais e alto custo da medicação. Porém discordamos que o medicamento não apresente eficácia significativa e que não deva ser fornecido pelo SUS. Cerca de 60% dos pacientes tratados e reportados na literatura se mostram responsivos ao nusinersen, indicando potencial e significativa melhora na qualidade de vida dos mesmos. Há de se considerar, por exemplo, que várias drogas aprovadas para tratamento de câncer possuem eficácia menor do que 60%. Assim, nosso parecer é de que o CONITEC considere a renegociação do preço cobrado pelo medicamento, considere o diagnóstico precoce dos pacientes (como explicado nos itens a seguir), considere suporte de reabilitação especializada e suporte hospitalar para administração intratecal do medicamento.</p> <p>2ª - Sim,</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
17/09/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo pois é o único tratamento disponível para tratamento da Ame 5q, e os pacientes que estão em uso tem mostrado melhoras significativas. Não podemos considerar os cuidados como tratamento, os cuidados como fisioterapia, fonoaudiologia, terapia ocupacional, orteses são importantes, mas não são tratamento. O único tratamento hoje disponível é o nusnersena, para parar com a progressão da doença.</p> <p>2ª - Sim, Sou Juliane mãe do André Arndt de Godoi, ele possui ame tipo 1, 2 anos e é traqueostomizado. O André já tomou 7 doses do Spinraza, e sua melhora tem sido evidente. Ele melhorou muito o padrão respiratório, hoje já consegue ficar de 2 a 3 horas sem o respirador. Na parte motora voltou a mexer as pernas que não tinham movimentos mais, mexe os braços e mãos, o tronco, quadril, e está começando a firmar a cabeça, também melhorou as expressões faciais e a comunicação. Durante as consultas com a neuropediatra Livia Lobo, os testes de chopintend, que são usados para quantificar as melhoras, a pontuação dele inicial foi 12 pontos, depois 17 pontos, depois 22 pontos, e nos próximos dias irá fazer uma nova avaliação para ver os novos ganhos após a sétima dose. Com toda essa melhora, é evidente que aumentou a sobrevida dele, e com a estabilidade da doença, ele não teve mais intercorrências. A qualidade de vida dele aumentou, hoje ele segura pequenos brinquedos, consegue apertar botões para ligar os brinquedos, melhoras importantes no desenvolvimento e independência dele.</p> <p>3ª - Sim, A vida não tem preço, e o tratamento precisa ser disponibilizado para todos. É necessário uma renegociação do valor do Spinraza com a biogen. Porém usar o valor como um impessilio para disponibilizar o tratamento é desumano, pois sem o medicamento a doença progride até a morte.</p> <p>4ª - Sim, Com o uso da medicação, a tendência é a melhora da criança e com isso necessitar menos de internações hospitalares,, internações domiciliares e com isso o impacto orçamentário não ser tão grande.</p> <p>5ª - Sim, Acompanho outras crianças em uso do nusinersena, do tipo ame 2 e ame 3. É necessário fazer a inclusão do sus para esses tipos também, pois a doença é degenerativa. Com o tratamento eles terão a estabilidade da doença, possibilitando assim o desenvolvimento de atividades e contribuições a sociedade. A Anvisa já aprovou a medicação para todos os pacientes de ame com deleção 5q, não tem porque restringir o uso a ame tipo1 e muito menos restringir por idade ou estado clínico do paciente. Todos têm direito a estabilidade da doença primeiramente, e depois conquistar as melhoras que a medicação proporciona.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. a maioria das pessoal que necessitam deste medicamento não tem acesso devido ao seu alto valor. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Sim, 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pagamos tantos impostos e são poucas crianças que necessitam deste medicamento, sendo que cada necessitado é uma vida, são crianças normais que apenas perderam seus movimentos e nós, o governo podemos dar uma nova chance de voltarem a sorrir. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. para o governo o custo e mais baixo, e ira ajudar varias pessoas, só aqui na minha cidade serão 5. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A AME é uma doença bastante prevalente e afeta famílias carentes e o tratamento é muito caro, não havendo condições das famílias arcarem com esse tratamento. Além disso, é um tratamento bastante eficaz em dar qualidade de vida e prolongar a vida de pacientes com AME.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. deveria ser liberado 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acredito que a incorporação do nusinersena seja importante, poderá ajudar muitos pacientes, que em vários casos acabam não fazendo o tratamento da forma devida por não terem condição de pagar. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Governo/sociedade devem assumir/socializar o tratamento de quem não tem condições. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um direito de toda população o acesso à manutenção da saúde. Uma doença degenerativa que somente com o uso deste medicamento pode salvar a vida de milhares de crianças e jovens. Uma vida não tem preço.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acho que deveria ser incorporado ao tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acredito que deveria ser liberada essa medicação para todos os pacientes que necessitam para seu tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É de grande importância essa medicação para os pacientes com AME. Sou a favor da liberação.</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
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acompanho casos de crianças nas redes sociais que passaram a fazer uso da medicação e a melhora é evidente, por mínima que seja pois muitas vezes demoram muito a começar o tratamento. Precisam dessa garantia de qualidade de vida, não se pode tratar o problema como uma sentença de morte.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Os valores destinados ao tratamento desses pacientes não chegam nem perto dos valores desviados por todas as esferas do nosso governo</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é de fundamental importância clínica para os pacientes portadores de qualquer uma das formas de AME, pela melhora clínica e estabilização dos sinais e sintomas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Os custos das complicações relacionadas com o passar do tempo, em UTI, complicações clínicas, acaba compensando financeiramente o custo da medicação.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A eficácia está comprovada junto a organismos nacionais como a Anvisa e internacionais como a agência de saúde americana FDA e agência de saúde européia, não há nada que desabone a eficácia do medicamento, pelo contrário o que se tem visto dentro e fora da comunidade científica são ganhos expressivos dentro do quadro clínico em que se encontram os portadores de AME 5qTipo1, é um equívoco registrar o 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
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. NÃO ACHO QUE SEJA UM ALTO CUSTO AO GOVERNO,POIS SE TRATA DE UMA MEDICAÇÃO ÚNICA E ESSENCIAL AO TRATAMENTO DOS PORTADORES DE AME.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Vamos colaborar com as inúmeras crianças que estão com seus futuros comprometidos em função da atrofia muscular!!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos tem direito a 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
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O sus parece que so olha para o bolso deles e a vida das pessoas como ficam? Se eles acham que não resolvem por que então com essa grandr capacidade que eles de acham não fazem um medicamento melhor?</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A eficácia está comprovada junto a organismos nacionais como ANVISA e internacionais como agencia de saúde americana FDA e agencia de saúde europeia , não a nada que desabona a eficácia do medicamento, pelo contrário o que se tem visto dentro e fora da comunidade científica são ganhos expressivos dentro do quadro clínico em que se encontram os portadores de AME 5q tipo 1, é um equívoco restringir o tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É uma doença muito grave e deve ser tratada. O paciente deve ter o medicamento a sua disposição. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas sem condições precisam do tratamento 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicamente de suma importância!</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim,</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Salvar uma vida não pode ter preço. É dever do Estado prover todos os meios possíveis para garantir a vida dos brasileiros.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O Estado deve prover os meios necessários para garantir todos os tratamentos necessários á população. Salvar uma vida não preço. Como economista, infelizmente vejo que no país só se preocupam com o custo de oferecer algo, não com o valor inestimável de se salvar algo (não falando apenas de vidas humanas).</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo, pois todos os pacientes tem o direito à uma melhor qualidade de vida, pois são cidadãos.</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
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes com Atrofia Muscular Espinhal precisam do Nusinersena, porque este é o único medicamento para tratar a AME, e eles tem o direito de serem tratados e principalmente o direito a vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Como mãe de um paciente com Atrofia Muscular Espinhal, eu peço pelo amor de Deus, que o Nusinersena seja incorporado no SUS, meu filho tem o direito de se tratar, tem o direito a viver, ele, e todas as crianças e adultos com AME.</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esse benefício deve ser oferecido pelo SUS aos que necessitam de tratamento!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A constituição Federal prevê o direito a vida . O paciente que é portador dificilmente terá condição financeira de prover a vida devido ao alto custo do tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho acompanhado a melhora constante das crianças que fizeram e fazem uso da medicação. Independente de usarem traqueostomia ou não. A melhora é inegável, a doença regrediu ou parou de avançar em todos os casos que acompanho (e não são poucos). A implementação do medicamento ao SUS é indispensável, e eu, como cidadã e pagadora de impostos, solicito esta implementação em caráter de urgência. São vidas, são crianças sofrendo diariamente por não serem medicadas. Peço que antes de qualquer coisa, acompanhem essas famílias. vão as suas casas, participem da rotina dessas crianças. Pois, contra fatos, não há argumentos. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Se é necessário no tratamento o medicamento deve ser disponibilizado. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é de suma importância para a saúde dos pacientes, e acho que deve ser dispensada pelo SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O direito a Vida é garantido por lei, desta forma entendo que violamos esse direito, uma vez que no momento é o que estabiliza a doença!!! 2ª - Não 3ª - Sim, Uma vez que nos preocupamos em garantir o direito a vida não podemos colocar auto custo como empecilho, temos sim que saber cobrar doa nossos governantes politicas públicas e organização desse recurso! 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Embora os resultados preliminares possam pouco conclusivos, o escopo de análise também foi pequeno. Se der certo para apenas uma criança, já terá valido todo o investimento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos os pacientes têm direito a vida e também, a ter esperança de uma qualidade de vida melhor. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Precisam entender que esse medicamento para a degeneração da doença. Precisam se colocar em nosso lugar. E se fosse filho de vcs? 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A MEDICAÇÃO É A NOSSA UNICA CHANCE DE PRESERVAR A VIDA DOS NOSSOS FILHOS. CRIANÇAS ESTAO MORRENDO POR CAUDA DISSO. 2ª - Sim, <a href="https://www.youtube.com/watch?v=DmnhArpJNIESTE">https://www.youtube.com/watch?v=DmnhArpJNIESTE</a> É O VÍDEO DE UMA CRIANÇA QUE ESTA SE MEDICANDO. ELA MAL SEGURAVA SEU PESCOÇO, MAS AGORA ESTA TENDO UMA VIDA NORMAL. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A recomendação preliminar é um atentado aos direito da vida para pacientes com AME, então sou contrário a tal recomendação 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Sim, Que seja levado em consideracao o numero de pessoas trabalhando e em tratamento. 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes com AME necessitam deste medicamento, suas familias não tem condições de comprar. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Sim, 4ª - Sim, 5ª - Sim,	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>Descrição da contribuição</b>	<b>Referência</b>
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A MEDICAÇÃO É A ÚNICA DISPONÍVEL PARA TRATAR A AME E DEVE SER UTILIZADA PELOS PACIENTES, POR MENOR QUE SEJA O GANHO AOS MESMOS. É MUITO IMPORTANTE SALIENTAR QUE QUANTO ANTES PUDER SER ADMINISTRADA A MEDICAÇÃO, MAIORES SERÃO OS BENEFÍCIOS. 2ª - Sim, EXISTEM EVIDÊNCIAS CLÍNICAS SUFICIENTES PARA SUPORTAR A LIBERAÇÃO E USO DA MEDICAÇÃO O MAIS RÁPIDO POSSÍVEL 3ª - Sim, 4ª - Sim, SE O GOVERNO DIMINUÍSSE A QUANTIDADE DE IMPOSTOS A SEREM COBRADOS DA MEDICAÇÃO, O CUSTO CAIRIA SIGNIFICATIVAMENTE. 5ª - Sim,	<a href="#">Clique aqui</a>  <a href="#">Clique aqui</a>  <a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eu discordo totalmente, devido o medicamento fazer efeito para o paciente. Pois cuido de um paciente que a medicação ajuda no tratamento do mesmo, ajudando na evolução.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Divulgação sobre assunto para que outras pessoas tomem conhecimento da importância do tratamento, já que no momento não possuo condições financeiras para contribuir de outra forma.</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Hoje, existe apenas esse remédio para tratar o problema, mas o Ministério da Saúde negou o pedido de distribuição do medicamento pelo SUS devido ao seu alto custo, conforme eu li em uma reportagem veiculada no Jornal local. Essa consulta pode ajudar a reverter essa decisão, beneficiando as pessoas e famílias que sofrem devido a essa doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, O alto custo da medicação é totalmente inviável para as famílias, já o Governo desvia tanta verba em benefício próprio dos políticos, que seria muito injusto a rede pública não fornecer qualquer tipo de medicação.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O SUS deve fornecer condições para o tratamento da AME</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Muitas famílias só tem essa esperança de sobrevivida de seus familiares</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Porque é um remedio muito caro.. e essas pessoas precisam desse remédio pra ter uma qualidade de vida melhor.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A família já está passando por um sofrimento e passar pela burocracia ainda é muito penoso.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim,</p>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O medicamento tem histórico de contribuir para a saúde dos pacientes. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. VIDAS dependem deste remedio! 2ª - Sim, VIDAS dependem deste remedio! 3ª - Sim, VIDAS dependem deste remedio! 4ª - Sim, VIDAS dependem deste remedio! 5ª - Sim, VIDAS dependem deste remedio!	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. #SPIRANZANOSUSJA... 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É dever do poder publico auxiliar pacientes com doenças graves e sem condições à manutenção do seu tratamento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Sim, tratamento extremamente caro 4ª - Sim, tratamento extremamente caro 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, Se o medicamento for comprado por pessoa física o valor atual é de aproximadamente R\$ 400 mil por dose. Se for comprado pelo governo, o custo baixa pra R\$ 70 mil 5ª - Sim, Peço empatia aos avaliadores. Deixamos de nos colocar no lugar dos outros. Não deveríamos olhar apenas para os números, tampouco tratar seres humanos como números.	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tratamento caríssimo . É dever do Estado promover saúde aos cidadãos, especialmente CRIANCAS, condenadas a morte prévia por falta de condição financeira para acesso ao tratamento . 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Nao concordo com a conitec porque o medicamento do Spinarza é o unico usado para o tratamento da Ame,sua eficacia em sendo comprovada por diversas melhoras que as crianças que já tomaram apresentaram e apresentam,e por ser muito caro poucos pacientes tem acesso,e hoje por falta ao acesso do spinarza muitas crianças estao morrendo.até quando os pacientes da Ame serao setenciados a morte por falta do medicamento????</p> <p>2ª - Sim, Que é um medicamento que esta tendo garnde eficacia para os pacientes em tratamento.e</p> <p>3ª - Sim, Hoje no nosso cenario economico ha grandes desfalques orcamentais ,mas se baixarmos os salarios dos politicos,ministros e seus secretarios provavelmente teriamos verbas suficientes para os nossos pacientes</p> <p>4ª - Sim, Se o nosso quadro politico,fossem de pessoas corretas,dignas e comprometidas com o povo brasileiros teriamos outras expectativas.</p> <p>5ª - Sim, Devolve a esperança de qualidade de vida para os pacientes.</p>	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por que nossas crianças tem direito a vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Medicação deve ser prescrita somente para pacientes que preenchem os critérios de inclusão descritos nos estudos que mostraram resultados favoráveis (ENDEAR/CHERISH) 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	<a href="#">Clique aqui</a>
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>Descrição da contribuição</b>	<b>Referência</b>
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim,	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar  2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar  2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Sim, O custo de aquisição via governo é muito mais em conta, na minha opinião não precisaria de burocracia nestes casos, e sim partir imediatamente para a aquisição do mesmo. 4ª - Sim, Este dinheiro será muito bem investido, no caso para a saúde destes pacientes. 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tem que ser feito todo possível pra uma melhor qualidade de vida dessas crianças</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Com tanta robalheira nesse país e injusto que inocentes não possam se tratar por falta de dinheiro. Nos Com o seres humanos devemos nos colocar no lugar desses familiares...</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acredito no direito de todo e qualquer cidadão de poder viver, independente de valores relacionados a qualquer medicação necessária.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Venho acompanhando diversas crianças acometidas pela AME, com idades e estágios diferentes da AME, e percebo que aqueles que estão utilizando o medicamento têm a progressão da doença interrompida e, em diversos casos, há a recuperação de movimentos (como no caso dos irmãos João Vitor e Miguel - vídeos demonstrando a evolução das crianças podem ser vistos pela conta de Instagram @amejoaoemiguel) e a conseqüente melhora na qualidade de vida dos pacientes. O Estado Brasileiro não pode negar acesso a um remédio que é o único que efetivamente vem tendo sucesso em interromper a progressão da AME e possibilitar a melhora dos pacientes, tendo em vista que a AME é uma doença fatal. Além disso, milhões são gastos pelos sistemas públicos de saúde apenas com cuidados paliativos para dar sobrevida aos pacientes, ao passo que, com a medicação, muitas dessas crianças poderão estudar e futuramente trabalhar, gerando renda ao país.</p> <p>2ª - Sim, Instagram @amejoaoemiguel</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Meu sobrinho Enzo Cardoso Paixão Policena tem AME tipo I. É notavel a melhora no quadro clinico, no estacionamento da progressão da doença. É indignante que se cogite não fornecer esse medicamento a todos que necessitem</p> <p>2ª - Sim, Meu sobrinho Enzo Cardoso Paixão Policena tem AME tipo I. Já fez 5 doses do remédio e os ganhos motores são evidentes e comprováveis. A parte respiratória e de deglutição melhoram dia a dia.</p> <p>3ª - Sim, Retirando impostos ja baixaria consideravelmente o valor do remedio. Sendo o governo que compre o remedio, diminui mais ainda.</p> <p>4ª - Sim, É só distribuir os impostos que pagamos diariamente, cortar gastos RIDÍCULOS como auxilio moradia, paletó e etc que é possível comprar o remédio para todos os portadores.</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. O medicamento funciona em alguns pacientes, em um nível considerado bom. O preço é o maior empecilho, a compra deste cria nas empresas uma forma de explorar os governos. No entanto, crianças precisam do medicamento. E eu não posso pensar em questões financeiras quando alguém precisa de um medicamento para melhorar sua qualidade de vida. Retirar o dinheiro dos magistrados.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O medicamento é caro, mas são poucos pacientes com essa doença. Se forem muitos pacientes, então é preciso melhorar sua qualidade de vida. de qualquer foram, é preciso distribuir o medicamento, pois doença não escolhe classe social. Retirem o dinheiro dos magistrados.</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Meu sobrinho possui AME Tipo I e desde que iniciou o tratamento teve claramente a doença com progressão praticamente estagnada e teve ganhos motores claros e evidentes.</p> <p>2ª - Sim, Meu sobrinho teve ganhos motores importantes depois de receber o medicamento . Hoje consegue elevar braços e ombro . Pernas se movimentam muito. Esta voltando a deglutir.</p> <p>3ª - Sim, Reduzindo impostos o valor do remedio cai consideravelmente.</p> <p>4ª - Sim, Cortando gastos desnecessários como auxilio paletó, moradia e outros absurdos dá pra comprar o remedio Spirnaza.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A justificativa teve um embasamento financeiro no qual não concordo uma vez que os valores podem ser negociados e a tendência é que esses valores reduzam ao longo do tempo em função das novas tecnologias e concorrentes. O fato do ganho de sobrevida não ser grande é uma avaliação fria. Para os que passam por esse problema, qualquer avanço é uma grande conquista.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O medicamento em questão, conforme sua bula e estudos duplo cego, foram desenvolvidos para portadores de Amiotrofia Espinhal dos tipos 1,2 e 3. Não havendo motivo para excluir os pacientes portadores de AME tipo 1.</p> <p>2ª - Sim, Estudo: Results from a phase 1 Study of nusinersen in children with spinal muscular atrophy</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Se trata de vidas de crianças que nao pediram pra nascer assim mas aprouve a Deus permitir.É um absurdo de ser negada por que custo e muito caro.Quanto vale uma vida??? Se coloquem em nosso lugar que tipo de seres humanos são vocês? 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Nossas crianças necessitam deste medicamento Vamos liberarSalvem os vidas 2ª - Sim, Orientar e passar meus conhecimentos para com as pessoas menos favoráveis 3ª - Sim, A que for necessária 4ª - Sim, Todas possíveis 5ª - Sim, As possíveis	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Pagamos nossos impostos para ter acesso a saúde. Cada um deve fazer a sua parte e ninguém deve sonegar ou roubar o dinheiro que é para este fim. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes precisam desse medicamento e é um dever do estado fornecer. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Em relação à incorporação do nusinersena para pacientes com AME, acredito que o impacto orçamentário no Brasil, não justifica a não incorporação do medicamento. Não devemos avaliar apenas o impacto orçamentário e sim a base científica do mesmo.</p> <p>2ª - Sim, Acompanho várias redes sociais de paciente portadores da AME e vejo que após a aplicação do nusinersena no tratamento deles, a melhora é considerável visível.</p> <p>3ª - Sim, "Se o medicamento for comprado por pessoa física o valor atual é de aproximadamente R\$ 400 mil por dose. Se for comprado pelo governo, o custo baixa pra R\$ 70 mil." Acredito que essa afirmação, deva ser levada em consideração, pois além do medicamento, muitas famílias ainda arcam com fisioterapias, internações...</p> <p>4ª - Sim, "Os pacientes que sofrem com atrofia muscular espinhal não têm outra opção de tratamento medicamentoso". Por isso o lado benefício do produto, deve ser considerado em maior amplitude do que o custo que o medicamento vai ocasionar para o SUS.</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. sou totalmente favorável a incorporação do nusinersena para o tratamento de pacientes com AME 5Q tipo I. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Temos visto recentemente casos de crianças que em pouco tempo com uso do medicamento já apresentam melhoras significativas do quadro de AME, melhorando em muito sua qualidade de vida e a de seus cuidadores. A suposta contra-indicação por falta de evidências cai por terra quando se vê na prática os resultados. Como sociedade temos responsabilidade para com essas crianças. É justo abandoná-las à própria sorte? Se é preciso uma vila para criar uma criança, é preciso um governo justo para cuidar de sua saúde. A luta deveria ser com os fabricantes do medicamento, com os governadores que não isentam impostos, com qualquer agente que impeça o acesso ao medicamento. Mas nunca contra os pais desses bebês que só querem o melhor para seus filhos. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, Qual é o preço de uma vida? Coloquem no orçamento e questionem a sociedade se quer pagar ou não. Duvido que um pai de família se oporá. 5ª - Sim, EVIDÊNCIA MORAL = É nosso dever ajudar essas crianças!	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Pela grande demanda de pacientes necessitando com baixa renda ou mesmo pelo alto valor di tratamento, considerando ser impossível o paciente arcar com esse valor. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É direito de todo cidadão ter atendimento e tratamento de toda doença pelo SUS. Não é justo que tantas famílias sejam humilhadas diariamente pela falta de medicamentos nos setores de saúde desse país. 2ª - Não 3ª - Sim, 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O remédio salva vidas, e pelo custo elevado não é possível a pessoa física comprar, mas é dever do Estado garantir acesso a saúde e medicamentos, sem falar que para o estado o remédio custa muito menos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Deve sim ser custeado pelo sus esse medicamento q é caro e pode salvar muitas vidas de inocentes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A CF preza pela dignidade da pessoa humana, a CONITEC deu não favorável pois, o entendimento é que o medicamento não salvará a vida do paciente porém trará para ele uma qualidade de vida melhor, isso é digno de qualquer ser humano.</p> <p>2ª - Sim, Com base nos estudos dos pacientes que já estão utilizando o medicamento, não houve perdas, somente ganhos de movimentos, respiração, ou seja, mantenho a opinião de que não salva a vida porém trás vida a quem usa.</p> <p>3ª - Sim, O medicamento se torna muito mais caro pela cobrança de impostos, ocorre que há tantos outros gastos desnecessários, que o pagamento por um medicamento que trará melhorias para o paciente não é um gasto exorbitante.</p> <p>4ª - Sim, Não acho que ocorra um ``impacto``, pois saúde é direito, não uma perda.</p> <p>5ª - Sim, O medicamento não deveria ser tratado como um gasto, pois dar vida a alguém que luta por ela não é prejuízo.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim,</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um remédio importantíssimo para os portadores. Todos têm direito à vida, e à vida com qualidade. É dever do estado zelar por isso. Se há alguma coisa que pode ser feita, deve ser feita. Este remédio deve ser incorporado ao tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Não acho digno, nem ético, nem correto dar preço a uma vida. É por isso que o povo está doente. Poucos determinando quem merece tratamento digno e quem não merece. Como se saúde fosse por merecimento e não direito.</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Respeito o ponto de vista da conitec , mas nesse caso é cabível os pais dos pacientes (AME ) decidirem .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim, Nesse caso se a conitec não se ver na condição financeira para esses fins, a mesma disponibilize de campanha , para que a sociedade possa contribuir ainda mais pela saúde .</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou favorável a incorporação de todos os medicamento necessários, nestes casos em vidas estão sendo salvas por esse medicamentos e tratamentos.</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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Anvisa quando aprovou a comercialização já estava claro que o medicamento tem se mostrado eficaz a todos os tipos de AME. 2ª - Sim, Tenho 2 filhos com AME tipo 2 os quais necessitam urgente do medicamento em questão e estão perdendo a vida diariamente devido à falta do medicamento que comprovadamente veio para frear a progressão da doença. 3ª - Sim, Desejo que o mesmo se torne mais viável e mais acessível aos pacientes 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Paciente que fizeram uso do medicamento Spinraza. Após avaliação inicial do quadro motor, utilizando escalas validadas tive a pontuação real inicial de todos os comprometimentos motores no qual o paciente tinha antes do início do tratamento. Após o início do tratamento com o medicamento, comecei a observar ganhos positivo em algumas funções motoras.</p> <p>2ª - Sim, As evidências comprovadas até o momento são as citadas nas referências em anexo deste documento. Na minha prática clínica como fisioterapeuta, tenho observado avanços positivos nas funções motoras.</p> <p>3ª - Sim, Além do impacto negativo social e familiar que um paciente com AME trás na vida dos pais, o custo para tratar um paciente com esta doença durante toda a vida do paciente é muito grande para o SUS. Acredito que com a implementação da medicação no sistema único de saúde associado com testes genéticos para diagnóstico precoce, seria muito mais econômico do que todo o tratamento multidisciplinar convencional existente hoje em todo o país. Doc. Já anexado.</p> <p>4ª - Sim, Um dos maiores custos, se não o maior para o SUS é custear o aparelho de ventilação mecânica para esses pacientes. Já existe evidências de que pacientes que realizam o tratamento com a medicação em questão, reduz o tempo de uso de ventilação mecânica.</p> <p>5ª - Sim, Já mencionado a cima</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Salvar essas vidas pra mim como ser humano é essencial</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo pelo fato do relatório da Anisa ter aprovado a medicação. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todo mundo tem que ter direito a vida e esse remédio é a vida para eles 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acredito pelos estudos publicados que a medicação beneficiaria pacientes com tipos variados de amiotrofia espinhal , tem sido visto na pratica terapêutica que os pacientes submetidos a aplicação da medicação , sendo ele ventilado de forma invasiva ou não vem apresentando ganhos motores. Sabe-se que quanto mais cedo os pacientes forem submetidos as doses as respostas são melhores.</p> <p>2ª - Sim, Recentemente Karolina Aragon-Gawinska e colaboradores publicou estudo onde o mesmo mostrou ganho motor também em pacientes com AME tipo 1 que iniciaram a medicação em idade mais avançada ( entre 8 e 113 meses de vida). Pane e colaboradores publicado na Neuromuscular Disorders, os pacientes apresentavam idade de 3 meses até 19 anos. Tendo a maior parte dos sujeitos da pesquisa mais de 7 meses no início do tratamento.</p> <p>3ª - Sim, Tenho a preocupação quanto ao custeio da medicação pelo estado , porém, acredito que o mesmo tem formas de negociar os custos com os laboratórios de forma atender as demandas do estado e das famílias.A saúde é um direito de cidadania de todas as pessoas e cabe ao Estado assegurar este direito, sendo que o acesso às ações e serviços deve ser garantido a todas as pessoas, independentemente de sexo, raça, ocupação, ou outras características sociais ou pessoais.Equidade e Integralidade.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Se o medicamento oferece chance de sobrevida ou qualquer melhora na condição clínica, física ou psíquica do paciente é dever do Estado ofertar o medicamento para esse fim. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acompanho o trabalho de vários cidadãos que tem feito arredação de dinheiro para adquirir o medicamento para tratamentos específicos e temos relatados reais da melhoria dos paciente. Como cidadão e em cumprimento á Constituição Nacional de 1988 onde diz que acesso à saúde é um direito de todo o brasileiro e uma obrigação do Estado venho exigir que se cumpra a lei. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>Descrição da contribuição</b>	<b>Referência</b>
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É necessário a inclusão deste remédio a ser oferecido pelo SUS, para que possa beneficiar pessoas que necessitam. Não tem cabimento a compra deste remédio pelo valor de R\$ 400 mil reais a doce. Sendo feita a inclusão pelo SUS, poderia salvar muitas vidas. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. À equipe Técnica da Comissão de Nacional de Incorporação de Tecnologias do SUS (CONITEC) Prezados Senhores, Li o relatório da Conitec sobre a proposta de incorporação do Nusinersena para o tratamento de pacientes com AME. Na minha avaliação pessoal considero que o relatório subvaloriza os benefícios esperados com o tratamento desta medicação e explora uma fraqueza das publicações relacionadas ao produto, que é o fato de não haver estudos que avaliam pacientes em uso da medicação em longo prazo. No entanto este é um problema da maior parte das terapias com medicamentos órfãos destinados ao tratamento de pacientes com doenças raras. Estudos com grande poder estatístico necessitam de uma amostra significativa de sujeitos da pesquisa, que é algo que uma doença rara não tem como proporcionar devido à baixa incidência de casos dentro das populações estudadas. Na minha avaliação pessoal e como geneticista clínico com especialização em neuropediatria, habituado a tratar pacientes com múltiplas deficiências sem perspectivas de cura, não podemos desvalorizar um tratamento medicamentoso que traz perspectivas reais de melhorar (mesmo que parcialmente) a qualidade de vida de pacientes que possuem doenças extremamente incapacitantes apenas porque o tratamento é caro. Não podemos sucumbir à tentação de subvalorizar a interpretação das estatísticas que mostram benefícios comprovados para esses pacientes para não justificar o seu uso devido ao custo proibitivo da medicação. Precisamos encontrar alternativas que facilitem a incorporação da medicação pelo SUS (como a negociação de preços junto ao laboratório detentor da patente e que sejam ajustados à nossa realidade econômica). Dizer que ela não tem benefício comprovado e que não vale a pena ser utilizada por esse motivo não é uma resposta digna que estamos dando às famílias de pacientes que aguardam o resultado dessa consulta pública. A indicação sobre a escolha de um tratamento a ser incorporada no rol de medicamentos excepcionais deve ser imparcial e não pode ser contaminada pela preocupação que temos a respeito dos desdobramentos orçamentários. O princípio de Universalidade é um dos princípios doutrinários fundamentais do Sistema Único de Saúde (SUS) e determina que todos os cidadãos brasileiros, sem qualquer tipo de discriminação, tenham direito ao acesso às ações e serviços de saúde. E o princípio da Integralidade garante a ampla cobertura das ações de saúde, independente da natureza ou do nível de complexidade desses serviços de saúde. Esses princípios constitucionalmente reconhecidos do direito universal e igualitário à saúde devem nortear nossas atitudes e ações finais. É sabido que Estado brasileiro não reúne ainda condições operacionais e financeiras para atender à demanda concreta por ações e serviços de saúde existentes de modo a garantir os princípios de Universalidade e Integralidade do SUS. Por esse motivo é fundamental a presença de comissões como a CONITEC para garantir que a incorporação de tecnologias seja feita através de critérios racionais e parâmetros de eficácia, eficiência e efetividade adequados às necessidades de saúde. Mas não podemos condenar um tratamento se a relação custo-efetividade não parece ser satisfatória para o sistema de saúde apenas. Se essa relação for relevante para o cidadão que se beneficia dela, ainda que os benefícios sejam modestos, não podemos negar ao mesmo o direito a esse tratamento. Também entendo que uma empresa farmacêutica engajada na produção e comercialização de uma droga com um valor que extrapola a realidade econômica do país (com projeção de faturamento superior a dois bilhões de reais nos próximos cinco anos) não pode se furtar a participar ativamente das políticas públicas que minimizem o impacto social da doença nos pacientes portadores dessa condição. Por isso eu sugiro que o Estado estimule uma parceria</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>com a empresa que produz o Nusinersena para que parte da arrecadação bruta (digamos 30-40%) com o medicamento seja destinada à viabilização de políticas públicas que contemplem a assistência a outras esferas das necessidades de saúde dos pacientes com AME (Como a criação e credenciamento de novos centros de Doenças Raras onde possam ser desenvolvidas atividades de reabilitação e suporte à criação de redes de assistências dos pacientes com AME além da realização de aconselhamento genético às famílias de pacientes com AME) e participem ativamente dos programas de triagem neonatal visando rastrear famílias com genitores portando risco elevado de produzirem filhos com AME.</p>	
		<p>2ª - Sim, Deixo em anexo parte da revisão da literatura que fiz recentemente a respeito desse tratamento enfocando os benefícios esperados com o mesmo para os pacientes com AME. Espero que essa revisão possa auxiliar na decisão final do Conitec sobre a incorporação (ou não incorporação) do Nusinersena no rol de medicamentos excepcionais fornecidos pelo Sistema Único de Saúde.</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
		<p>3ª - Sim, sugiro que o Estado estimule uma parceria com a empresa que produz o Nusinersena para que parte da arrecadação bruta (digamos 30-40%) com o medicamento seja destinada à viabilização de políticas públicas que contemplem a assistência a outras esferas das necessidades de saúde dos pacientes com AME (Como a criação e credenciamento de novos centros de Doenças Raras onde possam ser desenvolvidas atividades de reabilitação e suporte à criação de redes de assistências dos pacientes com AME além da realização de aconselhamento genético às famílias de pacientes com AME) e participem ativamente dos programas de triagem neonatal visando rastrear famílias com genitores portando risco elevado de produzirem filhos com AME.</p>	
		<p>4ª - Sim, sugiro que o Estado estimule uma parceria com a empresa que produz o Nusinersena para que parte da arrecadação bruta (digamos 30-40%) com o medicamento seja destinada à viabilização de políticas públicas que contemplem a assistência a outras esferas das necessidades de saúde dos pacientes com AME (Como a criação e credenciamento de novos centros de Doenças Raras onde possam ser desenvolvidas atividades de reabilitação e suporte à criação de redes de assistências dos pacientes com AME além da realização de aconselhamento genético às famílias de pacientes com AME) e participem ativamente dos programas de triagem neonatal visando rastrear famílias com genitores portando risco elevado de produzirem filhos com AME.</p>	
		<p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A autorização deste medicamento pelo SUS salvará muitas vidas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Se o medicamento for comprado por pessoa física o valor atual é de aproximadamente R\$ 400 mil por dose. Se for comprado pelo governo, o custo baixa pra R\$ 70 mil.</p> <p>4ª - Sim, Se o medicamento for comprado por pessoa física o valor atual é de aproximadamente R\$ 400 mil por dose. Se for comprado pelo governo, o custo baixa pra R\$ 70 mil.</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Como sabemos, os recursos para saúde não são infinitos. Seria muito injusto alocar milhares para o tratamento de um único paciente ao invés de tratar vários outros.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. DIREITO A VIDA ESTÁ ACIMA DE TUDO, O MEDICAMENTO JÁ VEM APRESENTANDO BONS RESULTADOS FORA DO PAÍS. 2ª - Não 3ª - Sim, SÓ O DINHEIRO ARRECADADO DE MULTAS DE TRÂNSITO PAGARARIA OS TRATAMENTOS E SOBRARIA MUITO, MAS MUITO DINHEIRO, ESTE QUE NÃO SÃO BEM DEMONSTRADO ONDE INVESTIDO. 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, Monetária 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, Monetária	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação permite parar a evolução da doença, que é degenerativa e progressiva. A medicação comprada pelo governo tem um custo muito mais baixo, viabilizando o acesso.As crianças com AME tem o cognitivo preservado e são muito inteligentes, precisam e merecem ter acesso a única medicação que lhes permitem ganhar força e mais autonomia a cada aplicação.É dever do Estado/ está na CF investir no controle e cura de doenças raras. Viabilizar o acesso a essa medicação mé uma maneira de investir nisso.Uma vez que o relatório do Conitec considera que se fazem necessários mais estudos para compreender os benefícios da droga, essa é a maneira de colaborar com a pesquisa, permitindo o acesso, já que o Brasil nunca investiu um centavo.. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O tratamento é caro e deve ser incorporado 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Quando se coloca a vida em primeiro lugar, até quem não está passando pelo problema aprova. Vida acima de tudo! 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há evidências e o acompanhamento clínico de um paciente em tratamento mostra resultados que devem ser considerados.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Aspecto da qualidade de vida para o indivíduo tratado e para sua família. Apesar de todo aparato necessário para aplicação da medicação, ficam claros os ganhos que com certeza estão melhorando a qualidade de vida.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
17/09/2018	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
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. A medicação em discussão, poderia ser utilizada em um espectro maior de situações, como por exemplo, crianças com mais idade, ou mesmo já em ventilação mecânica, para podermos avaliar o impacto dessa medicação no suporte ventilatório das mesmas, com possível redução de parâmetros ventilatórios ou mesmo maior suporte muscular dos músculos ventilatórios. Contudo, esbarramos dentro do absurdo do custo que resultariam tais experiências, diante das evidências de melhora até hoje registradas. Sei que a presença de qualquer evidência de melhora para uma família que tem uma criança com essa doença, justificaria o uso, não só dessa medicação, como de qualquer outra esperança que pudesse vir a ser lançada em suas mãos. Analisando custo benefício, acredito que os ganhos não justificariam o emprego de tal medicação nessas crianças, a menos que esses custos fossem drasticamente reduzidos com uma quebra de patente, por exemplo.</p> <p>2ª - Sim, Sou pediatra geral e trabalho há 13 anos acompanhando pacientes portadores de doenças neuromusculares, especificamente, amiotrofia espinhal tipo I. Trabalho em uma unidade do Hospital Infantil Albert Sabin, chamada UPE ( Unidade de Pacientes Especiais). Para essa unidade são transferidas as crianças portadoras de amiotrofia espinhal, em ventilação mecânica, para terem seus cuidadores treinados no que diz respeito aos cuidados básicos relacionados à sua doença. Quando esse treinamento é efetuado a contento e os cuidadores tornam-se aptos a cuidarem de seus filhos, mesmo em ventilação mecânica, os mesmos são transferidos para sua casas, de onde pouquíssimas vezes, a grande maioria não retorna para o hospital. Retirar as crianças de dentro de uma UTI, onde ainda hoje a maioria dos hospitais públicos não consegue promover, e levá-las de volta para suas casas, para o convívio com suas famílias, com todo o suporte de uma equipe multidisciplinar, que ajuda essas famílias a cuidar de suas crianças; isso sim mudou drasticamente a qualidade de vida dessas crianças e de suas famílias, modificando sobrevida de crianças com essa patologia de 2 anos, para até 16 anos, atualmente.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tratando-se de medicamento com alto custo, mas sendo medicamento que contribui para melhora de pacientes, deveria sim ser incorporado ao tratamento com ajuda de custo.</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
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É PUBLICO E NOTÓRIO A EFICACIA DESTA MEDICAÇÃO PARA O PORTADORES DA AME, POR ESSE MOTIVO TEM QUE SER DISPONIBILIZADO PELO SUS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Deve sim dar o tratamento total para pessoa c a doença</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Nusinersena é o único tratamento disponível para esta enfermidade</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O direito à saúde é algo extremamente necessário, por parte de toda a sociedade.</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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação contribui para melhora significativa do paciente 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acredito que toda criança deva receber esse medicamento o spiraza pelo sus. Medicamento esse que ajuda muito na condição da criança dos efeitos que a doença gera. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Irá ajudar a salvar vidas e/ou dar mais qualidade de vida. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acho q todos tem direito a uma qualidade de vida melhor, e temos visto isso acontecer em todos os tipos de AME q estão recebendo o tratamento com o spinraza. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos devem ter direito à saúde segundo a nossa constituição</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por ser a única medicação disponível no Brasil, e aprovada pela ANVISA, para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (doença neurodegenerativa).</p> <p>2ª - Sim, Ao realizar uma revisão na literatura, observei vários trabalhos, que mostraram melhora nos ganhos motores de pacientes tratados com a medicação.</p> <p>3ª - Sim, Concordo que a medicação é exorbitantemente cara, mas deveria ser feito um esforço do governo, junto ao fabricante para redução do custo. Tal esforço faz-se necessário, pois os pacientes que possuem a doença não tem, nesse momento, nenhuma outra alternativa para o tratamento da mesma.</p> <p>4ª - Sim, Acredito que o impacto seja grande, porque o valor é muito alto, mas não existe ainda outra alternativa disponível para essas pessoas com a doença. O governo vai ter que negociar com o fabricante para tentar reduzir o preço da medicação ao máximo.</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Creio que o relatório de recomendação da CONITEC abordou os estudos mais significativos, mas há um certo viés de subestimar os resultados clinicamente significativos desses estudos, especialmente os ganhos motores verificados pelo mais robusto dos estudos, o ENDEAR.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Para quem atende pacientes com doenças raras e doenças órfãs, é difícil não valorizar o impacto positivo dos novos medicamentos, mesmo cientes do alto custo econômico associado às novas terapias gênicas. Pela oportunidade de observar clinicamente resultados inesperados para a história natural da doença (corroborados por evidências objetivas dos estudos), lastimamos a possibilidade de descontinuação do tratamento pela quase inviabilidade de custeio individual do medicamento.</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Já temos diversos artigos científicos com comprovação da melhora motoras/ou estabilização do quadro de AME nestas crianças.</p> <p>2ª - Sim, Infelizmente na minha prática ainda não foi possível o uso da medicação em consulta,mas já li pelo menos 6 artigos com referências confiáveis que nos embasam a trazer essa defesa.</p> <p>3ª - Sim, Apesar de uma medicação de alto custo, estamos nos referindo a uma doença grave com péssimo prognóstico e não é relevante levar em conta custos qdo se trata de salvar vidas.</p> <p>4ª - Sim, Tenho consciência do alto custo da medicação,mas uma melhor organização e fiscalização orçamentária no SUS poderia viabilizar a liberação do uso do Nusinersena.</p> <p>5ª - Sim, É mto difícil dar um diagnóstico de AME aos pais.Mais difícil ainda é informar que existe uma medicação que trás esperança ao quadro,mas que o acesso ainda não é viável pelo SUS.</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há evidências que o medicamento melhora a qualidade de vida e barra o avanço 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
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os dados científicos existentes são suficientes para recomendar o uso da medicação em pacientes portadores da doença que é progressiva e leva a morte se não tratada.</p> <p>2ª - Sim, Pacientes em uso da medicação têm a doença estabilizada e evoluem menos para morte quando comparados a pacientes não tratados</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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 - Sim, A saúde é um direito de todos, indiferente o tipo de doença ou patologia, o governo deve acompanhar a evolução da ciência e tecnologia.</p>	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tratamento muito caro.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A terapia genética é a única terapia disponível capaz de parar a progressão da doença e permitir a regressão dos sintomas, mudando para melhor a qualidade de vida do paciente, desde que esteja presente a mutação no SMN1.</p> <p>2ª - Sim, Os artigos científicos disponíveis já demonstram a eficácia da medicação em questão.</p> <p>3ª - Sim, Os gastos com ventilação mecânica, fisioterapia, diárias de UTI diminuem com a medicação.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, É a vida de uma pessoa que pode mudar totalmente com uma medicação.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Entendendo que o relatório parte de pesquisa bibliográfica de janeiro de 2018 para trás, é de se compreender a falta de importantes artigos que lidam com a questão da história natural da AME tipo 1 (Bertini e colaboradores 2018, De Sanctis e colaboradores 2018). Conhecendo esta história natural, compreende-se o impacto que a nusinersena tem ao modificar o curso de progressão evolutiva.</p> <p>2ª - Sim, Todas as etapas de pesquisa clínica foram conduzidas, após a aprovação do conceito do funcionamento da nusinersena em estudos pré-clínicos. Os estudos tiveram resultados tão importantes na análise interina, que passou a ser considerado não ético manter ensaios clínicos randomizados a partir dos mesmos, e o material considerado suficiente para aprovação de seu registro em diferentes países. Todavia, outros estudos foram conduzidos, e estão surgindo em revistas de alto impacto, tendo seus resultados sido apresentados previamente em congressos internacionais. Finalmente, começa a se ter informações científicas, do uso do mesmo em países onde foi implementado de forma mais ágil, através de série de casos avaliados prospectivamente. Acreditamos que o material disponível é amplo e traz evidências suficientes para adjetiva-lo de forma diferente da colocada na conclusão do relatório da CONITEC. Ademais novas publicações trazem reforço para a magnitude do efeito encontrado. Ensejamos portanto, que este não seja um ponto final, mas um ponto de partida para constituição de grupo de trabalho com corpo técnico-científico, atores fundamentais, visando a elaboração de um Protocolo Clínico de Diretrizes Terapêuticas (PCDT) sem maior delonga.</p> <p>3ª - Sim, A principal causa de morte ou ventilação permanente em pacientes AME tipo 1 são complicações respiratórias, decorrentes da fraqueza muscular que causa broncoaspiração. A melhora na condição clínica obtida com o uso de nusinersena leva também a menor número de internações hospitalares e obviamente redução dos custos associados.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Segue resposta elaborada pelo Comitê Científico da AAME - Associação Amigos da Atrofia Muscular Espinhal</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
17/09/2018	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
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Concordo que a medicação incorporada ao tto coberto pelo SUS para os pacientes com AME tipo 1 teria grave impacto econômico no sistema, e poderia inclusive impactar as ações atualmente bem sucedidas no manejo desses pacientes, porém minha concordância é parcial, uma vez que os trabalhos científicos mostram de forma inequívoca a melhora das crianças - adquirindo marcos do desenvolvimento, desde que obedecidos critérios fundamentais para indicar a medicação.</p> <p>2ª - Sim, Desejo apresentar a experiência da Unidade de Pacientes Especiais do Hospital Infantil Albert Sabin, em Fortaleza, onde trabalho há 1 ano como pediatra assistente. Conseguimos observar importante sobrevida das crianças portadoras de AME, vendo que elas atingem idades BEM superiores ao que é posto hoje em literatura atualizada - UpToDate, por exemplo. E essa possibilidade de atingir idades superiores aos 2 anos de vida - expectativa atual - vem com os CUIDADOS. Cuidados com nutrição, boas práticas de manejo de traqueostomia e gastrostomia, incorporação total das mães e outros cuidadores no processo, trabalho interdisciplinar.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Foi feito um levantamento pela equipe médica que atua na Unidade de PACIENTES ESPECIAIS do Hospital Infantil Albert Sabin apontando importante impacto econômico na colocação de pacientes com perfil (AME e outras doenças neuromusculares) em Unidade de transição de cuidado, bem como a possibilidade de desospitalização via Programa de Assistência VENTILATÓRIA DOMICILIAR. Dessa forma, retiramos esses pacientes de longas permanências em UTI e colocamos outros horizontes para as famílias, provendo os cuidadores de conhecimentos e viabilizando essa criança novamente para uma vida em casa, cercadas de seus parentes, sem perder o foco da assistência de qualidade.</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como a ANVISA libera um produto de custo unitário maior se R\$ 400.000,00 sendo que o Estado possui maior poder de negociação e poderia baratear absurdamente o custo. O valor será repassado ao consumidor pois nenhum plano de saúde pode arcar com tal custo.</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
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo, desse tratamento depende a vida de 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Acredito que poderiam ser criados critérios rígidos de inclusão e exclusão para o início do tratamento (tais como o uso de ventilação mecânica) e que as escalas funcionais utilizadas na avaliação funcional dos participantes do estudo também possam ser aplicadas por peritos credenciados pelo ministério da saúde tanto no baseline, aos seis meses e aos doze meses após o início do tratamento e se não houver ganhos na escala (ou até regressão), o tratamento poderia ser descontinuado.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Acredito que a recomendação ou não da incorporação de uma nova tecnologia deva sempre ser baseada em estudos clínicos com níveis de evidências científicas bem estabelecidos, porém, em se tratando de doenças raras, de caráter progressivo e diferentes manifestações clínicas, como a AME, a experiência do uso de nusinersena em outros tipos de AME, como os tipos II e III deve ser levada em conta. Pela fisiopatologia e pelo mecanismo de ação da droga em análise, não vejo porque restringir a indicação apenas para o tipo I. Outro detalhe que não concordo com a posição da CONITEC é desmerecer os estudos citados pelo fato de terem sido feitos/patrocinados pela indústria farmacêutica... Se os eventuais conflitos de interesses foram relatados nos artigos, isso não enfraquece a metodologia ou os resultados... Chega ser até leviana essa afirmação... As agências regulatórias internacionais que já aprovaram a incorporação do medicamento não levaram este dado como critério de impedimento... O Ministério da Saúde está disposto a financiar um estudo clínico com recursos próprios? Além do mais, os estudos para tratamento de doenças raras já incorporadas pela CONITEC como para Doença de Gaucher, Mucopolissacaridose, etc também foram realizados pela própria indústria farmacêutica? Um outro aspecto para o início precoce do tratamento seria a necessidade de capacitação para diagnóstico precoce por parte dos profissionais saúde ainda numa fase assintomática ou oligossintomática.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Nós, representantes do povo brasileiro, reunidos em Assembléia Nacional Constituinte para instituir um Estado Democrático, destinado a assegurar o exercício dos direitos sociais e individuais, a liberdade, a segurança, o bem-estar, o desenvolvimento, a igualdade e a justiça como valores supremos de uma sociedade fraterna, pluralista e sem preconceitos, fundada na harmonia social e comprometida, na ordem interna e internacional, com a solução pacífica das controvérsias, promulgamos, sob a proteção de Deus, a seguinte CONSTITUIÇÃO DA REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL.Art. 196. 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> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, a Comitec (ou algum representante) deveria conviver, ao menos um dia, com algum paciente menor de um ano de idade com AME e que esteja de forma particular realizando o tratamento. Iriam perceber a felicidade da família com a evolução do paciente apesar de estarem vendendo tudo que adquiriram durante a vida para puderem manter o tratamento inicial. Não é somente o paciente que será afetado pela não incorporação do fármaco, várias familiares tbém serão...</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas devem ter direito a tratamento medicamentoso mesmo não possuindo renda .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pois o medicamento é fundamental para portadores de Ame</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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A própria bula do remédio recomenda justamente o uso para AME. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Estão privando os pacientes de terem um mínimo de qualidade de vida, e estão os condenando a morte, para q o Estado não tenha custo com o tratamento, em contra partida o governo gasto nosso dinheiro com corrupção, propina e regalias. 2ª - Não 3ª - Sim, Doação financeira 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essas crianças são raras e o medicamento é totalmente caro eu entendo que a maioria delas são de famílias que não possuem dinheiro para arcar com todo o tratamento da Ame.</p> <p>2ª - Sim, Alguns relatos comprovam que com o auxílio deste medicamento os movimentos do corpo ou alguns vão retornando aos poucos. Será que não seria uma boa hora para realizar e liberar este tipo de</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Deve haver avaliação minuciosa de qual será o ganho que cada paciente poderá alcançar , visto que muitos deles estão já gravemente acometidos e podem não ter resposta efetiva à medicação.</p> <p>2ª - Sim, Alguns resultados dos trabalhos foram muito satisfatórios e que em alguns estudos foi considerado anti ético randomizar as amostras.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. os pacientes precisam viver</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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação vital para portadores de AME 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Concordo que o impacto orçamentário é alto. Entretanto, o custo direto com a doença (suporte respiratório, nutricional e musculoesquelético) será reduzido com a disponibilidade da medicação. Portanto, sou favorável à incorporação da medicação no SUS. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação está aprovado em Bula da Anvisa para atrofia muscular espinhal (AME) 5q 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Um tratamento que custa milhares de reais e que é acessível para apenas uma parcela minúscula da população tem que ser fornecido pelo governo. Não podemos tirar a esperança destes país.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Vejam pelo aspecto HUMANO. Somente o governo pode ajudar estes pacientes. O governo não pode tirar a chance de sucesso pelo preço inacessível do medicamento.</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Negar a medicação aos pacientes é negar a única opção de tratamento que temos até agora, é cruzar os braços e negar ajuda.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. A medicação deveria ser incorporada para pacientes que atendam às recomendações internacionais, ou seja, aqueles que tenham acesso a terapias de suporte ideais para sua reabilitação.</p> <p>2ª - Sim, O texto mostra, além de considerações mais amplas com relação ao direito ao acesso pleno à saúde, os benefícios clínicos reconhecidos por este profissional no manejo de diversos pacientes em tratamento farmacológico com a medicação.</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
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, O estudo ENDEAR (multicêntrico internacional, duplo cego, controlado) envolveu 121 pacientes com AME tipo I, onde 41% das crianças tratadas com nusinersena obtiveram resposta para marcos motores versus 0% dos controles, quando sabe-se que normalmente as crianças afetadas são incapazes de atingir ou manter a maioria dos marcos motores. Nesse mesmo estudo, o risco de morte ou de necessidade de ventilação permanente foi reduzido em 47% em pacientes tratados em relação ao grupo controle. A incidência e gravidade dos eventos adversos foram iguais nos 2 grupos, eventos esperados para pacientes com AME e não relacionados diretamente ao tratamento.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Sobre o impacto orçamentário, é prudente considerar a economia que haveria com os pacientes tratados que, de outra forma, estariam em ventilação mecânica e que teriam complicações próprias da doença, com internação prolongada e necessidade de UTI.</p> <p>5ª - Sim, 1) Tive oportunidade de ver vídeos de crianças com AME I em tratamento com nusinersena e é animador ver o resultado, ver o progresso motor dessas crianças, em uma doença que até pouco tempo não tinha nada além de somente tratamento de suporte a ser feito. Ver crianças sem sustento cefálico, sentando sem apoio e tentando pegar objetos com as mãos. 2) Não foi mencionado o tratamento com nusinersena para pacientes com as formas tardias (tipos II e III) e temos estudos disponíveis com evidência de melhora significativa na função motora dos pacientes tratados (Estudo CHERISH). Esses casos também devem ser levados em consideração.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Spinraza salva vidas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos os cidadãos tem direito à um tratamento de qualidade.</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
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todo cidadão tem direito a tratamento de saúde fornecido pelo governo federal pois na hora de cobrar os impostos todos são obrigado a cumprir com seu dever , então o governo também tem que arcar com sua obrigação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	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
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O medicamento trouxe benefícios clínicos significativos para os pacientes com AME, tanto que foi aprovado em diferentes países do mundo. Como existem vários pacientes em tratamento no Brasil, sugiro que sejam consultados e acompanhados os resultados dos experts que são em pequeno número no país. Eles são os únicos profissionais que podem dizer se houveram ou não benefícios clínicos para pacientes com AME 5q. É um grave erro limitar somente para o tipo I que é o subtipo mais grave de todos.</p> <p>2ª - Sim, Tenho relato de colegas que já têm experiência de uso com o medicamento e que atestam os benefícios para os pacientes com outros subtipos de AME além do tipo I, pois em outros países o medicamento é utilizado para os outros tipos clínicos.</p> <p>3ª - Sim, O custo decorrente da incapacidade desses pacientes que ficam dependentes de cuidados de terceiros ou que ficam dependentes de cuidados hospitalares precisa ser melhor avaliado, pois avalia-se somente o custo do tratamento sem levar em conta os prejuízos econômicos, psicológicos e sociais decorrentes de grave incapacidade que os pacientes podem ter.</p> <p>4ª - Sim, A avaliação de custo não deve ser somente a do medicamento em si, mas deve-se procurar quantificar e comparar todos os gastos que podem ser evitados se o medicamento for indicado de forma precisa e com acompanhamento por equipe multidisciplinar, pois os gastos com hospitalização e home care são também elevados.</p> <p>5ª - Sim, O Brasil vem acompanhando a evolução tecnológica e científica do restante do mundo e parece um grande retrocesso tirar o direito de pacientes acometidos por uma doença tão grave e incapacitante como a AME de receber o único tratamento disponível no mundo. Nursinesena não é indicado somente para AME 5q tipo I como pode ser facilmente constatado. Sugiro rever o protocolo com ampliação de indicações clínicas para outros tipos.</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Já há evidências clínicas e científicas da ação do medicamento. Eu como médico uso esta medicação em um paciente tipo I que após 5 doses conseguiu sentar e não foi preciso instituir traqueostomia além de ganhos na escala CHOP INTEND.</p> <p>2ª - Sim, Minha contribuição é fornecer todas as informações a respeito dos ganhos do meu paciente que são relevantes</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Nusinetsena aut a sobrevida dos pacientes com AME, além de melhorar a qualidade de vida 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acho muito importante este medicamento, pois se vê uma melhora clínica. E acho justo todos terem direito a aplicação desta medicação. É muito triste ver que é preciso entrar via judicial pra conseguir as doses, e com isso ter uma demora na melhora e evolução, principalmente motora da criança.</p> <p>2ª - Sim, Melhora do quadro motor, movimentação de cabeça, membros, interação por meio de sons. Participação ativa nos movimentos de membros inferiores e superiores. Ajuda na evolução da deglutição.</p> <p>3ª - Sim, Famílias não tem condições de arcar com esta medicação, por isso a importância de se ter acesso pelo SUS.</p> <p>4ª - Sim, O país tem condições de arcar com as aplicações, pois existem verbas orçamentária para isto.</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Precisa-se ajudar estas famílias que pagam impostos como todos cidadãos. Dar a chance de cura. Se vocês têm filhos melhor pensarem melhor. Não sabemos o dia de amanhã. Eu quero é voto para que todos tenham direito ao tratamento para seus entes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Nao Concordo</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
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Paciente que fizeram uso do medicamento Spinraza. Após avaliação inicial do quadro motor, utilizando escalas validadas tive a pontuação real inicial de todos os comprometimentos motores no qual o paciente tinha antes do início do tratamento. Após o início do tratamento com o medicamento, comecei a observar ganhos positivo em algumas funções motoras.</p> <p>2ª - Sim, As evidências comprovadas até o momento são as citadas nas referências em anexo deste documento. Na minha prática clínica como fisioterapeuta, tenho observado avanços positivos nas funções motoras.</p> <p>3ª - Sim, Além do impacto negativo social e familiar que um paciente com AME trás na vida dos pais, o custo para tratar um paciente com esta doença durante toda a vida do paciente é muito grande para o SUS. Acredito que com a implementação da medicação no sistema único de saúde associado com testes genéticos para diagnóstico precoce, seria muito mais econômico do que todo o tratamento multidisciplinar convencional existente hoje em todo o país. Doc. Já anexado.</p> <p>4ª - Sim, Um dos maiores custos, se não o maior para o SUS é custear o aparelho de ventilação mecânica para esses pacientes. Já existe evidências de que pacientes que realizam o tratamento com a medicação em questão, reduz o tempo de uso de ventilação mecânica.</p> <p>5ª - Sim, Já mencionado a cima</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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>	
17/09/2018	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>	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>Descrição da contribuição</b>	<b>Referência</b>
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/09/2018	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
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Gostaria de registrar evolução do paciente B.G.A. com 2 anos com AME tipo 2. Paciente iniciou tratamento com Nusinersena, atualmente em uso da quarta dose. A criança foi avaliada com a versão original da escala HammerSmith Expandida um dia antes de cada aplicação do medicamento. Na primeira avaliação realizada em 09.05.18 a sua pontuação foi 14, na última avaliação em 23.08.18 aumentou para 33 pontos. Funcionalmente foi possível observar maior agilidade nos movimentos, aumento de força de tronco e membros superiores, conseguindo utilizar mais as mãos nas suas atividades de vida diária. Na primeira avaliação o menor não conseguia alcançar a cabeça com as mãos enquanto sentado, não sustentava a cabeça na postura prona e não era capaz de rolar, hoje, além de todas essas atividades consegue também assumir a postura de gatas, arrastar-se sentado, se mantém de pé com apoio com uso apenas de órtese suropodálica. Os ganhos motores apresentados conferem ao paciente uma maior independência, com menor risco de desenvolver contraturas e deformidades e vão de encontro com a evolução natural da doença sem uso da medicação, que levaria a um quadro de perdas progressiva da sua força muscular e funcionalidade.</p> <p>2ª - Sim, Os resultados relatados no caso do paciente acima corroboram os achados da publicação do estudo CHERISH, com pacientes com AME tipo II, que tiveram evolução motora significativa avaliada na HAMMERSMITH,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
17/09/2018	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>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Houve aprovação da ANVISA para tratamento de AME 5q</p> <p>2ª - Sim, Estudo ENDEAR com redução de 47% risco de morte ou ventilação permanente(desfecho primário) e 63% o risco de morte. Achados não divididos por idade de pacientes. E benefícios motores continuam a ser evidenciados no estudo de extensão SHINE Estudo fase III CHERISH melhora da função motora em AME tipo 2 ou 3.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>Descrição da contribuição</b>	<b>Referência</b>
17/09/2018	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
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Spinraza® (nusinersena) é uma terapia específica e de grande potencial de eficácia, confirmada por estudos clínicos e de vida real (2–9). Spinraza® (nusinersena) é indicado para tratamento da AME 5q, sem restrição de uso de acordo com idade ou subtipo, conforme o registro aprovado pela ANVISA (1).</p> <p>2ª - Sim, No estudo ENDEAR, o tratamento com Spinraza® (nusinersena) reduziu em 47% o risco de morte ou de ventilação permanente (desfecho primário) e em 63% o risco de morte.No ECR avaliado no relatório, a incidência de eventos adversos (EA) foi semelhante entre os grupos tratado e controle. Ademais, EA graves foram menos frequentes no grupo tratado do que no grupo controle (56% vs. 80%), assim como os EA sérios (76% vs. 95%) ou os EA que levaram à saída do estudo (16% vs. 39%), sendo que os últimos representam os óbitos somente, mostrando que não houve EA que levassem à saída do estudo, exceto morte. O perfil de risco/benefício da medicação é consistente com outros estudos já publicados, inclusive aqueles não avaliados pela CONITEC (3–5,15,16).Referencias1. ANVISA (2017). SPINRAZATM (nusinersena) - Bula aprovada pela ANVISA. 2 Finkel, R.S.; Mercuri, E.; et al. Nusinersen versus Sham Control in Infantile-Onset Spinal Muscular Atrophy. <i>New England Journal of Medicine</i>, v. 377, n. 18, p. 1723–1732, 2017. 3 Mercuri, E.; Darras, B.T.; et al. Nusinersen versus Sham Control in Later-Onset Spinal Muscular Atrophy. <i>New England Journal of Medicine</i>, v. 387, n. 7, p. 625–635, 2018. 4 Vivo, D.C. De; Bertini, E.; et al. [POSTER] Nusinersen in Infants Who Initiate Treatment in a Presymptomatic Stage of Spinal Muscular Atrophy (SMA): Interim Efficacy and Safety Results From the Phase 2 NURTURE Study. <i>Muscular Dystrophy Association Congress</i>, v. 40, 2018. 5 Acsadi, G., Shieh, P., Crawford, T., Richardson, R., Natarajan, N., Castro, D., Gheuens, S., Gambino, G., Sun, P., Reyna, S., Farwell, W., &amp; Mueller-Felber, W. (2017). [POSTER] Safety and efficacy of nusinersen in infants/children with spinal muscular atrophy (SMA): part 1 of the phase 2 EMBRACE study. <i>Annual Congress of the World Muscle Society</i>, P.380. 6 Pane, M.; Palermo, C.; et al. Nusinersen in type 1 SMA infants, children and young adults: preliminary results on motor function. <i>Neuromuscular Disorders</i>, 2018. 7 Pechmann, A.; Langer, T.; et al. Evaluation of Children with SMA Type 1 Under Treatment with Nusinersen within the Expanded Access Program in Germany. 2018. 8 Farrar, M.A.; Teoh, H.L.; et al. Nusinersen for SMA: expanded access programme. <i>Journal of Neurology, Neurosurgery &amp; Psychiatry</i>, p. jnnp-2017-317412, 2018. 9 Aragon-Gawinska, K.; Seferian, A.M.; et al. Nusinersen in spinal muscular atrophy type 1 patients older than 7 months. <i>Neurology</i>, p. 10.1212/WNL.0000000000006281, 2018. 10 ANVISA Nusinersena - Parecer Público de Avaliação do Medicamento - Aprovação. 2017. 11 CONITEC Nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal 5q tipo I. 2018. 12 Castro, D.; Farrar, M.A.; et al. Longer-term Assessment of the Safety and Efficacy of Nusinersen for the Treatment of Infantile-onset Spinal Muscular Atrophy (SMA): An Interim Analysis of the SHINE Study. <i>AAN Anual Meeting</i>, v. 388, n. 10063, p. 10063, 2018. 13 Finkel, R.S.; Mcdennott, M.P.; et al. Observational study of spinal muscular atrophy type I and implications for clinical trials. <i>Neurology</i>, v. 83, p. 810–817, 2014.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. A incorporação do nusinersena deveria respeitar critérios de inclusão e de exclusão e de interrupção do medicamento bem definidos. Crianças com AME tipo 1 pré sintomática e as menores de 6 meses de idade sem uso de ventilação mecânica invasiva deveriam receber a droga. O estabelecimento de um Protocolo Clínico interdisciplinar, implantação de centros de referência para tratamento e monitorização da efetividade clínica do nusinersena possibilitaria a avaliação do desempenho da tecnologia. A negociação de preços mais baixos é imperativa.</p> <p>2ª - Sim, Treatment of Type 1 pre-symptomatic infants with nusinersen has been demonstrated to result, in many cases, in achievement of motor milestones at the age expected for healthy infants<sup>1</sup>. De Vivo, D.C., Hwu, W.-L., Reyna, S.P., Farwell, W., Gheuens, S., Sun, P., Zhong, Z.J., Su, J., Schneider, E., and Bertini, E. (2017). Interim efficacy and safety results from the phase 2 NURTURE study evaluating nusinersen in presymptomatic infants with spinal muscular atrophy. <i>Neurology</i> 88, S46.003.2. De Vivo, D.C., Bertini, E., Hwu, W.-H., Foster, R., Bhan, I., Gheuens, S., Farwell, W., and Reyna, S.P. (2018). Nusinersen in infants who initiate treatment in a presymptomatic stage of SMA: interim efficacy and safety results from the phase 2 NURTURE Study. In MDA Clinical Conference (March 2014, Arlington, VA: The Muscular Dystrophy Association).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Precisa ser validado a idade e a condição clínica no momento do diagnóstico. No entanto, precisa estar padronizado o uso para agilizar.</p> <p>2ª - Sim, É necessário o teste genético molecular e avaliação com escalas funcionais.</p> <p>3ª - Sim, Acredito que a indicação adequada favorece a logística, reduzindo custos.</p> <p>4ª - Sim, O teste genético molecular, ajuda ao aconselhamento genético, reduzindo o risco de recorrência na família, e o diagnóstico e tratamento precoces diminui os custos com hospitalização, home care.</p> <p>5ª - Não</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Estudos científicos mostram melhora na sintomatologia com o uso da medicação.</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
17/09/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Com um país que tem politico que geram um alto custo e ainda roubam voces vao vir com essa comverça de mediação de alto custo , alto custo tem essa doença chamada corrupção 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, No relatório da CONITEC afirma-se que o uso de Spinraza® (nusinersena) foi associado a “resultados marginais” e a um “discreto benefício para desfechos relacionados à função motora e sobrevida sem necessidade de ventilação permanente no grupo de crianças com menos de 13,1 semanas de idade no início do tratamento” (11). No estudo ENDEAR, o tratamento com Spinraza® (nusinersena) reduziu em 47% o risco de morte ou de ventilação permanente (desfecho primário) e em 63% o risco de morte. Esses resultados não são estratificados de acordo com a idade dos pacientes. O estudo inclui sim uma análise exploratória de subgrupos com duração de doença maior ou menor do que 13,1 semanas no recrutamento, na qual observa-se maior eficácia para pacientes com menor duração de doença, achado esperado para uma doença neurodegenerativa e progressiva.- Outro ponto:Ainda em relação à afirmação sobre resultados “discretos” de função motora, é necessário esclarecer que o desfecho primário do estudo foi baseado em escala clinicamente relevante para função motora desses pacientes, adaptada ainda para maior acurácia com a exclusão do item de prensão palmar e considerada melhora no item de chute somente o aumento igual ou maior que dois pontos. Houve melhora estatisticamente significativa e clinicamente relevante já na análise interina do estudo. Na ocasião, 41% e 0% dos pacientes tratados e controle foram responsivos, respectivamente, e esse resultado foi considerado benéfico o suficiente para que se decidisse, junto às agências reguladoras, o término precoce desse estudo e início do estudo de extensão, no qual todos os pacientes são tratados (SHINE). Na análise final, os resultados para esse desfecho foram de 51% e 0%, evidenciando uma melhora contínua e sustentada (2). Benefícios motores continuam a ser mostrados no estudo de extensão SHINE, inclusive em pacientes antes no grupo controle do ENDEAR que iniciaram o tratamento mais tarde (12). Pacientes que não se encaixariam nos critérios desses estudos por conta de sua idade ou uso de suporte ventilatório também vêm demonstrando benefícios com a terapia em diversos estudos de vida real (6–9). Outro ponto:- Afirma-se que as “evidências não permitem resultados conclusivos sobre a segurança do uso de Spinraza® (nusinersena)” (11), o que é invalidado pela literatura. No ECR avaliado no relatório, a incidência de eventos adversos (EA) foi semelhante entre os grupos tratado e controle. Ademais, EA graves foram menos frequentes no grupo tratado do que no grupo controle (56% vs. 80%), assim como os EA sérios (76% vs. 95%) ou os EA que levaram à saída do estudo (16% vs. 39%), sendo que os últimos representam os óbitos somente, mostrando que não houve EA que levassem à saída do estudo, exceto morte. Sobrepõe-se aqui a discussão sobre o desfecho de sobrevida, realizada em item anterior deste documento. A maioria dos EA foram consistentes com o esperado em pacientes com AME 5q Tipo 1, de acordo com a história natural dessa doença (2,13,14). O perfil de risco/benefício da medicação é consistente com outros estudos já publicados, inclusive aqueles não avaliados pela CONITEC (3–5,15,16).</p> <p>3ª - Sim, Discordo da abordagem de avaliação de custo-efetividade (ACE) apresentada no relatório de recomendação preliminar da CONITEC. Estudos internacionais sugerem que a ACE não seja aplicável para doenças raras, o que levou agências de avaliação de tecnologias em saúde (ATS) de outros países a não exigirem esse tipo de estudo para doenças de baixa prevalência. Além disso, a comparação econômica entre tratar e não tratar uma doença neurodegenerativa e progressiva como AME 5q em um cenário em que há</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>uma alternativa terapêutica disponível, esbarra em questões éticas importantes. Atualmente, o Brasil não tem critérios específicos estabelecidos para a análise de terapias de doenças raras, porém, vale ressaltar que a própria CONITEC desconsiderou a ACE no processo de avaliação de outras terapias de mesma natureza, incluindo Gaucher, cujos custos de tratamento foram mencionados como referência para as análises econômicas de Spinraza®.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A incorporação do Spinraza® (nusinersena) ao SUS, conforme indicação debula, é a melhor alternativa tanto para a gestão sustentável dos recursos públicos, como para o atendimento da necessidade da comunidade médica e de pacientes. No momento é o único tratamento disponível, para uma doença onde evitar o tratamento levaria a morte do paciente. Como médica, toda vez que tiver um caso, vou continuar prescrevendo o medicamento, porque é a única forma disponível de evitar uma morte e oferecer uma melhor qualidade de vida para o paciente.</p>	
17/09/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O nusinersena é uma terapia específica e de grande potencial de eficácia, confirmada por estudos clínicos e de vida real e é indicado para tratamento da AME 5q, sem restrição de uso de acordo com idade ou subtipo, conforme o registro aprovado pela ANVISA, e agências regulatórias de outros países, incluindo Estados Unidos e União Europeia. Para aprovar a indicação ampla, a ANVISA analisou o programa de desenvolvimento clínico do medicamento, composto por 10 estudos clínicos que envolveram desde recém-nascidos até indivíduos com 15 anos de idade, e que demonstram a eficácia e segurança para o tratamento da AME 5q.</p> <p>2ª - Sim, No estudo ENDEAR, o tratamento com nusinersena reduziu em 47% o risco de morte ou de ventilação permanente (desfecho primário) e em 63% o risco de morte.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/09/2018	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As últimas duas décadas foram marcadas pelo avanço mundial das pesquisas sobre a Atrofia Muscular Espinhal (AME) à medida que a descoberta das bases moleculares e genéticas da doença impulsionou a busca por novas perspectivas de tratamento clínico e reabilitação. A AME é uma enfermidade hereditária de padrão autossômico recessivo caracterizada pelo acometimento dos neurônios motores localizados na medula espinhal e tronco cerebral, resultando em fraqueza muscular e atrofia. É atualmente a principal causa de morte por doenças neuromusculares (DNM) na infância. Estima-se uma incidência de 1 a cada 6 a 10 mil nascidos vivos e que cerca de 1 a cada 40 a 60 adultos assintomáticos é portador da alteração. A pessoa afetada apresenta uma alteração homocigótica do gene de SMN1 localizado no cromossomo 5q que impede a codificação da proteína de sobrevivência do neurônio motor (SNM), levando a distúrbios de crescimento e desenvolvimento neuroaxonal. Uma pequena concentração da proteína SMN disfuncional é produzida pelo gene SMN2, um homólogo quase idêntico ao SMN1, cujo número de cópias está relacionado com o prognóstico da doença. O quadro clínico da AME é bastante variado e sua classificação é baseada na gravidade do acometimento motor, com fenótipos diversos divididos em quatro tipos de acordo com a idade de início dos sintomas e funcionalidade. Pacientes do Tipo I apresentam grave hipotonia muscular observada antes dos seis meses de idade e ausência de controle cervical, os pacientes com tipo II demonstram fraqueza antes dos 18 meses, podem sentar, mas não conseguem manter ortostatismo e marcha. Pessoas com AME tipo III e IV, conseguem deambular e tem expectativa de vida normal, porém podem necessitar de cadeira de rodas na fase adulta. Apesar da variação clínica, consensos estabelecem que em geral a fraqueza muscular é simétrica, com predomínio proximal e em membros inferiores. O comprometimento motor progride junto com importante prejuízo do sistema respiratório, sendo as doenças pulmonares as principais causas de morbimortalidade para os pacientes dos tipos I e II. Diversos mecanismos estão envolvidos na gênese da disfunção ventilatória; a fraqueza dos músculos inspiratórios, mais significativa nos intercostais do que no diafragma, leva a alterações na biomecânica da caixa torácica e ao padrão respiratório paradoxal, hipoventilação e distúrbio nas trocas gasosas. Ocorre também comprometimento dos músculos expiratórios e fraqueza da musculatura bulbar levando a déficit na deglutição, broncoaspiração e infecções pulmonares de repetição. Assim, os indivíduos acometidos apresentam importante diminuição da complacência torácica e pulmonar que pode ser piorada na vigência de imobilidade e surgimento de deformidades torácicas como cifoescoliose. Sabe-se ainda que a insuficiência ventilatória está relacionada com a fadiga dos músculos respiratórios diante de uma maior carga imposta e pode ser apenas noturna, resultante da alteração na posição e incursão do diafragma em supino, ou pode ocorrer também por disfunção generalizada da musculatura respiratória. Devido à fraqueza e atrofia muscular progressiva algumas funções motoras alcançadas antes do início dos sintomas da doença podem ser perdidas com a sua evolução. Assim, embora algumas crianças possam alcançar etapas esperadas na avaliação do desenvolvimento motor típico, haverá regressão do seu quadro motor com o avançar do acometimento muscular. A resposta clínica dos pacientes submetidos ao medicamento com Nusinersena – Spiranza, um oligonucleotídeo antisense capaz de provocar uma alteração genética que aumenta a produção da proteína SMN ausente nos pacientes com AME vem sendo relatada em diversos estudos, demonstrando estabilização do quadro e evolução motora dos pacientes. Alguns estudos devem ser destacados :Estudo</p>	

NURTUREEstudo com pacientes pré-sintomáticos. Os doentes que fizeram uso do Nusinersena atingiram etapas não esperadas na SMA do Tipo I ou II, de forma que esses pacientes apresentaram um desenvolvimento motor mais próximo ao de crianças saudáveis. Estudo ENDEAEstudo de fase 3 realizado com pacientes AME tipo 1 com até 6 meses de idade, conduzido em 121 lactentes sintomáticos com menos de 7 meses de idade. Observaram-se efeitos estatisticamente significativos na sobrevida global e melhoria da função motora avaliada pelo Teste de Doença Neuromuscular para Lactentes do Hospital Pediátrico da Filadélfia (Children's Hospital of Philadelphia Infant Test for Neuromuscular Disease - CHOP INTEND) nos doentes no grupo de paciente que usaram o Spiranza em comparação com aqueles no grupo de controle com simulação (placebo). Outro estudo recentemente publicado por Karolina Aragon-Gawinska e colaboradores mostrou ganho motor também em pacientes com AME tipo 1 que iniciaram a medicação em idade mais avançada (entre 8 e 113 meses de vida). O estudo de Pane e colaboradores publicado na Neuromuscular Disorders também aponta evolução na função motora de pacientes com AME tipo I após seis meses de tratamento com o Spiranza. Os pacientes apresentavam de 3 meses até 19 anos. Tendo a maior parte dos sujeitos da pesquisa mais de 7 meses no início do tratamento. Um estudo alemão publicado na revista Journal of Neuromuscular Diseases mostrou que 77% dos pacientes com AME 1 entre 1 a 93 meses (média 23) melhoraram a sua performance motora avaliada na escala CHOP INTEND. Fato não esperado na história natural da doença que cursa com perdas motoras importantes. Estudo CHERISH126 Pacientes, de 2 a 12 anos, com uma maior probabilidade de desenvolver SMA do Tipo II ou III que usaram o Spiranza apresentaram melhora significativa na função motora avaliada pela escala HammerSmith. Diante da segurança e eficácia inquestionáveis do medicamento, com base nas evidências científicas demonstradas nos diferentes tipos de AME por realizados com pacientes pediátricos, adolescentes e adulto ficam comprovados os seus efeitos benéficos na evolução dos pacientes. Torna-se assim imprescindível uma revisão do parecer técnico da CONITEC diante das evidências científicas mundiais. A AME é uma doença grave que mata e incapacita pacientes. Negar o medicamento aos pacientes é negar a sua possibilidade de enfrentar a doença com qualidade de vida e impedir também a sua longevidade. Conforme texto da constituição federal (Lei 8080 de 1990) no Art. 2º "A saúde é um direito fundamental do ser humano, devendo o Estado prover as condições indispensáveis ao seu pleno exercício." § 1º O dever do Estado de garantir a saúde consiste na formulação e execução de políticas econômicas e sociais que visem à redução de riscos de doenças e de outros agravos e no estabelecimento de condições que assegurem acesso universal e igualitário às ações e aos serviços para a sua promoção, proteção e recuperação. Assim, o medicamento NUSINERSENA deve ser incorporado ao SUS, sem restrições de tipo ou idade, na tentativa de garantir o direito à saúde e qualidade de vida aos pacientes com AME.

2ª - Sim, Diversas publicações comprovam a eficiência do medicamento.

3ª - Não

4ª - Não

5ª - Não

[Clique aqui](#)