

# Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Alfaelosulfase para mucopolissacaridose IVA - CONITEC

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
14/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há diversos estudos clínicos randomizados em todas as etapas de pesquisa clínica que evidenciaram benefícios marcantes da terapêutica de reposição enzimática em MPS IVA, assim como a segurança da mesma e a custo-efetividade do uso da mesma. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Porque o direito a saúde é um direito de todo cidadão brasileiro e é um dever do estado ou da união então eles tem direito ao tratamento . 2ª - Sim, Nós somos um dos centros com números de pacientes com mucopolissacaridoses e ouvimos muitos que o tratamento tem levados os mesmos uma qualidade de vida melhor, na parte respiratória, locomotora e menos incidência de internações. 3ª - Sim, Meus impostos e como de muitos brasileiros são nossa forma de contribuição mais precisa. 4ª - Sim, Eu sei que é custo alto mas a nossa vida não tem preço portanto direito a saúde é um dever do estado 5ª - Não	
16/10/2018	Paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. porque o direito à saúde é um direito de todo cidadão brasileiro e é um dever do estado ou da união. então os pacientes tem direito ao tratamento.</p> <p>2ª - Sim, Nós somos um dos centros com números de pacientes com mucopolissacaridose IVA onde participamos do estudo clinico, onde tivemos a oportunidade de observar e acompanhar estes pacientes antes e após tratamento. com relatos de pais e dos próprios pacientes que: que melhoram a qualidade de vida, na parte respiratória, locomotora. que diminuíram o numero de internamentos.</p> <p>3ª - Sim, Meus impostos e como de muitos brasileiros nossa forma de contribuição mais precisa.</p> <p>4ª - Sim, sabemos que o custo é alto. Mas a vida deles não tem preço! portanto saúde é um dever do estado. E ao gastarmos com tratamento, estaremos economizando com gastos maiores, em internações recorrentes em UTI e outros.</p> <p>5ª - Não</p>	
16/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A reposição enzimática em pacientes com MPS IVA tem mostrado ganhos clínicos que corroboram com o benefício da incorporação da medicação.</p> <p>2ª - Sim, Ao acompanhar pacientes e famílias quando iniciam a medicação, percebemos melhora da qualidade de vida, com melhoria do sono, independência para atividades da vida diária, movimentação e função cardiopulmonar. Percebe-se, da mesma forma, piora das queixas quando os pacientes ficam sem a infusão do remédio, referindo cansaço, aumento das secreções e piora do sono. Esses pacientes ficam mais susceptíveis a infecções e com isso a internações e complicações respiratórias, com altas taxas de internação em UTI e aumento da morbi mortalidade.</p> <p>3ª - Sim, O custo benefício do tratamento desses pacientes se reflete não apenas na questão clínica como também econômica do país. Os gastos com internação, medicação e exames são maiores entre os pacientes que nunca trataram e naqueles que ficam intervalos sem o remédio.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do impacto orçamentário que está associado a incorporação das medicações, deve se levar em conta os gastos com pacientes não tratados, tendo em vista que requerem mais exames, medicações e hospitalizações, que costumam ser mais prolongadas e com maiores chances de UTI pelo drive respiratório prejudicado. Não se trata de uma parcela de pacientes impactante, se compararmos com o custo da medicação, uma vez que se trata de uma condição rara. Os custos com a judicialização da medicação também devem ser levados em conta.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou enfermeira responsável pela terapia de reposição enzimática dos pacientes com MPS no Hospital Professor Basílio. Atendemos aqui 07 pacientes com MPS, sendo 01 paciente com MPS IVA que está em terapia há aproximadamente 07 meses. No acompanhamento desta paciente foi nítido e perceptível a rápida melhora clínica após início da terapia a medicação elosulfase alfa. A paciente não conseguia nem mesmo ficar em pé e hoje, após 7 meses de tratamento a paciente já consegue caminhar com apoio. também foi importante a melhora do quadro respiratório, aonde antes de iniciar o tratamento a mesma tinha vários episódios de falta de ar, cansaço e infecções respiratórias graves. Depois de iniciado o tratamentp semanal com a medicação, a paciente não apresentou mais intercorrências respiratórias. Sendo assim, considero a medicação essencial para manutenção da vida destes pacientes com qualidade, e não tratar estes pacientes com elosulfase alfa pode acarretar em graves danos a saúde e qualidade de vida da paciente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. sou téc de enfermagem trabalho num hospital ond e os pacientes fazem uso da medicação e vejo a melhora da qualidade dos paciente de MPS que fazem uso da medicação. É o aumento da perspectiva de vida desses paciente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esse paciente necessitam da medicação para aumentar a expectativa de vida , melhorar a qualidade de vida desses pacientes que precisam dessa medicação para viver. É dever do estado oferecer medicação para essas famílias que tanto precisam</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esse paciente necessitam da medicação para aumentar a expectativa de vida , melhorar a qualidade de vida desses pacientes que precisam dessa medicação para viver. É dever do estado oferecer medicação para essas famílias que tanto precisam</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
18/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A mucopolissacaridose é uma doença genetica que leva a graves lesoes osseas. a enzima pode melhorar a qualidade de vida dos pacientes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Como profissional da saude que acompanha essa doença genetica observo as graves sequelas da doença. Melhorar a qualidade de vida dos paciente é muito importante</p>	
18/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou Téc de enfermagem , e trabalho com a reposição de enzima das crianças portadoras de MPS, sou testemunha da melhora da qualidade de vida desses pacientes. Por isso sou favorável a proposta de incorporação da medicação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
18/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou profissional da saúde e trabalho na reposição de enzima dos pacientes portadores de MPS,sei o quanto é importante a medicação na vida dessas famílias.</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
18/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou profissional da saúde e trabalho na reposição de enzima dos pacientes portadores de MPS,sei o quanto é importante a medicação na vida dessas famílias.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
18/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou profissional da saúde e trabalho na reposição de enzima dos pacientes portadores de MPS,sei o quanto é importante a medicação na vida dessas famílias.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
18/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. os paciente que recebem esa medicação tema um aumento da sobrevida</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou profissional da saúde trabalho na reposição enzimática há 10 anos e vejo os benefícios da medicação quanto a parte respiratória, motora. A parte psicológica melhora bastante. Vejo só benefícios na 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
19/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
19/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. os pacientes necessitam da medicação , sem a medicação ficam prejudicados a própria saúde. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
19/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
19/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes precisam muito desta medicação para poder ter uma vida melhor, meus pacientes são crianças que amam brincar e fazer suas atividades de criança. Porém sem medicação eles não brincam. Não tem ânimo devido a dor no corpo e articulações por falta do medicamento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
19/10/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou profissional da saúde, vejo no dia a dia a melhora na parte respiratória , melhora da parte motora. A medicação é muita importância, por isso precisa ser incorporada .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho acompanhado de perto o tratamento de pacientes vom alfaelosufase e a evolução dos mesmos é muito satisfatória melhorando a qualidade de vida e diminuindo internações e óúteis complicações</p> <p>2ª - Sim, Minha contribuição é a evidência da melhora clinica dos pacientes que acompanhou.</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim, A melhora na qualidade de vida dos pacientes com certeza diminui os gastos com tratamentos das sequelas que o não tratamento ocasiona</p> <p>5ª - Não</p>	
19/10/2018	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>	
19/10/2018	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
20/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Sou enfermeira, trabalho a mais de 4 anos em sala de reposição enzimática, conheço de perto as dificuldades e os entravos, fragilidades da saúde em nosso país. NÃO SOU FAVORÁVEL A PROPOSTA DE INCORPORAÇÃO DA ENZIMA..NO TRATAMENTO DE MPS IV</p> <p>2ª - Sim, O impacto orçamentário está diretamente ligado a falta ou atrasos e descumprimento de prazos fragilizando o tratamento e interrompendo a vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Realizo infusões deste medicamento em meu serviço e vejo bom resultado nos pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Todos os pacientes são de baixa renda e a maioria do interior, sendo necessário a aquisição do medicamento pelo SUS.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Realizo infusões deste medicamento em meu serviço e vejo bom resultado nos pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Todos os pacientes são de baixa renda e a maioria do interior, sendo necessário a aquisição do medicamento pelo SUS.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Realizo infusões deste medicamento em meu serviço e vejo bom resultado nos pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Todos os pacientes são de baixa renda e a maioria do interior, sendo necessário a aquisição do medicamento pelo SUS.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
20/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Realizo infusões deste medicamento em meu serviço e vejo bom resultado nos pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Todos os pacientes são de baixa renda e a maioria do interior, sendo necessário a aquisição do medicamento pelo SUS.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. iniciar o tratamento precoce.</p> <p>2ª - Sim, evoluiu com melhora do quadro respiratorio</p> <p>3ª - Sim, tentar diminuir o custo da medicação , com negociação com a empresa</p> <p>4ª - Sim, negociação para diminuir o custo</p> <p>5ª - Sim, Melhora do quadro respiratorio</p>	
21/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pela importância do tratamento na melhora clínica e na qualidade de vida do doente</p> <p>2ª - Sim, Os ensaios clínicos demonstram a importante melhora geral dos pacientes</p> <p>3ª - Sim, Por ser doença rara não acarreta em despesa excessiva</p> <p>4ª - Sim, Por ser doença rara são poucos os doentes é assim não representa gasto excessivo. Não levando à impacto econômico</p> <p>5ª - Não</p>	
22/10/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trata-se de uma medicação de alto custo. A medicação melhora a condição clínica e física . Estabiliza. Melhora a parte respiratória. Sendo fundamental para 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
22/10/2018	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>	
23/10/2018	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>	
23/10/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. a medicação e muito importante em nossa vida</p> <p>2ª - Sim, sim depois da medicação me sinto bem melhor,</p> <p>3ª - Sim, sim, o numero de internações minha diminuiu bastante</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, eu como paciente relato que minha qualidade de vida melhorou bastante.</p>	
23/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou Médico, responsável técnico, da associação mineira de MPS. Acompanho vários pacientes portadores de MPS. Vejo cotidianamente a importância vital da reposição enzimática. Melhora clinica, cardiovascular, ortopédica, oftalmológica, gastrointestinal e redução da incidência de infecções com o uso da medicação. Melhora importante da qualidade de vida e sobrevida. Temos em nossa instituição relatos de morte precoce em pacientes que não receberam a medicação e longevidade maior nos que receberam.</p> <p>2ª - Sim, Sou Médico, responsável técnico, da associação mineira de MPS. Acompanho vários pacientes portadores de MPS. Vejo cotidianamente a importância vital da reposição enzimática. Melhora clinica, cardiovascular, ortopédica, oftalmológica, gastrointestinal e redução da incidência de infecções com o uso da medicação. Melhora importante da qualidade de vida e sobrevida. Temos em nossa instituição relatos de morte precoce em pacientes que não receberam a medicação e longevidade maior nos que receberam.</p> <p>3ª - Sim, Custo ja existe pois a medicação é liberada via judicial.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sugiro reavaliar as evidências científicas e a análise de custo efetividade também com base na criação de critérios bem definidos para iniciar a TRE, critérios para avaliar a resposta e a manutenção do tratamento e critérios para não iniciar e também para parada do uso da medicação conforme outras agências internacionais já adotam como o CDATH no Canada e NHS no Reino Unido.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Sugiro reavaliar as evidências científicas e a análise de custo efetividade também com base na criação de critérios bem definidos para iniciar a TRE, critérios para avaliar a resposta e a manutenção do tratamento e critérios para não iniciar e também para parada do uso da medicação conforme outras agências internacionais já adotam como o CDATH no Canada e NHS no Reino Unido.Referências para consulta:<a href="https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/complete/SR0456_complete_Vimizim_May-26_16.pdf">https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/complete/SR0456_complete_Vimizim_May-26_16.pdf</a><a href="https://www.nice.org.uk/guidance/hst2/resources/managed-access-agreement-december-2015-pdf-2238935869">https://www.nice.org.uk/guidance/hst2/resources/managed-access-agreement-december-2015-pdf-2238935869</a></p>	
23/10/2018	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>	
23/10/2018	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
24/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Não existe valor para uma vida.</p> <p>5ª - Sim, Tenho uma irmã que realiza o tratamento e que apresenta evidencias significativas de evolução com melhoria em sua qualidade de vida.</p>	
24/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Fiz diagnóstico em menina de 5 anos, há quase 3a e a paciente ainda não conseguiu a medicação, Alfaelofsulfase, apresenta deformidades ósseas, no qual podem ser estacionadas, assim como o prognóstico ósseo, cardiopulmonar dessas crianças, aumentando a sobrevida e também suas qualidades de vida.</p> <p>2ª - Sim, Em relação as doenças as raras, como a MPS IVA, entre outras, observei que foi , considerado, apenas um estudo e existem mais 3 estudos de extensão, onde a medicação mostrou que reduz a progressão da doença.</p> <p>3ª - Sim, para crianças e adolescentes, no meu ponto de vista, como médica, sempre o benefício, sobrepõe os custos, visto que todos nós pagamos impostos.</p> <p>4ª - Sim, acredito que para melhorar a saúde de uma criança, que será um adulto, idoso e com a Medicina de hoje com uma sobrevida longa, com planejamento e direcionamento de recurso, o impacto orçamentário, será ínfimo, perto de um adulto, que sem tratamento, pode ser improdutivo</p> <p>5ª - Não</p>	
24/10/2018	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O HUOL é referência na infusão de enzimas (TRE) no RN, com boa resposta ao 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
24/10/2018	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>	
24/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Faço acompanhamento sequencial de uma paciente portador de MPS IV há mais de um ano. Notórios são as melhorias com relação a sua qualidade de vida frente a infusão continuada da enzima. A paciente vivia com fortes dores osteomusculares que a limitavam das práticas mais simples como uma caminhada, além de frequentes quadros de dispneia. Era abuso o uso de medicação analgésica para controle algico bem como medidas e suporte para a queixa respiratória. A medicação proporcionou uma condição que antes era impossibilidade pela doença. Minha paciente viaja mais 160 km diariamente para frequentar a Faculdade de Direito, o que faz como muita disposição. Desde a interrupção da medicação, há cerca de 4 meses tem havido recidiva das dores e das queixas anteriores a terapia. Considero de considerável relevância o acompanhamento medicamentoso enzimático para os pacientes portadores da síndrome.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Temos um paciente que é usuário da Enzima e percebemos a melhora e evolução do quadro clínico do 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
24/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por acompanhar um paciente com tal diagnóstico, vejo a necessidade real do tratamento.</p> <p>2ª - Sim, Atendimento humanizado e com frequência ao paciente.</p> <p>3ª - Sim, Corte de gastos e melhor avaliação ao caso clínico.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acompanhamos paciente com MPS a algum tempo fazendo tratamento com a alfaelosultase e evidenciamos a melhora do quadro clínico</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trabalho com doenças raras e acompanho varios pacientes com MPS IV, após inicio da medicação a maioria dos pacientes vem estabilizando o quadro, que é progressivo, com melhora da parte motora, inclusive é perceptível a piora, quando falta medicação por um tempo mais prolongado, com mais queixas por parte do 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
24/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As evidências clínicas descritas no parecer da CONITEC para doenças raras sempre caem no viés da população em estudo. NUNCA conseguiremos um trabalho robusto, com "n" confiável e dados clínicos robustos devido a própria raridade da condição, da distribuição heterogênea desses pacientes em diferentes centros de estudo, dos tipos de estudos realizados (maioria são estudos descritivos e relatos de casos), muitas vezes realizados por médicos não habituados na construção de estudos com robustez metodológica e estatística. Ainda em relação a MPS IV e VI, não considero o teste de caminhada de 6 minutos como metodologia robusta na avaliação cardiorrespiratória dos pacientes. Em relação a MPS IV seguia uma família de 3 irmãos com Morquio A. Os dois mais velhos em uso de TRE e o irmão mais novo que, infelizmente não foi indicado tratamento específico por complicações na infância. Os dois irmãos mais velhos têm excelente evolução clínica, sem descrição de internamentos, infecções ou outras complicações, em detrimento do irmão mais novo. Há alguns relatos de caso na literatura evidenciando, em paciente com MPS IV e VI, que quanto mais precocemente iniciado a TRE mais benefícios irão ter esses pacientes até mesmo em comparação com irmãos mais velhos e diagnósticos tardios.</p> <p>2ª - Sim, Tantos os estudos como as metodologias utilizadas nos estudos atuais não conseguem evidenciar os benefícios que observamos no dia-a-dia desses pacientes por diferentes erros metodológicos e estratégias de avaliação. Considero que esses dados poderão ser avaliados de uma forma mais robusta daqui alguns anos.</p> <p>3ª - Sim, Sugiro que a incorporação esteja atrelada a redução dos custos da medicação, como realizado no Canadá</p> <p>4ª - Sim, Vide acima</p> <p>5ª - Não</p>	
24/10/2018	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>	
24/10/2018	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
26/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da recomendação preliminar, em virtude do exposto abaixo: A Mucopolissacaridose IVA (MPS IVA ou Síndrome de Morquio A, CID 10: E76.2, OMIM 253000) pertence ao grupo dos erros inatos do metabolismo dos glicosaminoglicanos (GAGs), sendo geneticamente determinada, herdada em caráter autossômico recessivo. Na MPS IVA, há deficiência da enzima N acetilgalactosamina-6 sulfatase (GALNS, OMIM 612222), que participa da degradação de componentes importantes da matriz extra-celular e do tecido conjuntivo, determinando o acúmulo de glicosaminoglicanos nos lisossomos, resultando em disfunção de células, tecidos e órgãos e aumento da excreção urinária de GAGs, especialmente queratan sulfato e condroitina 6-sulfato. A MPS IVA manifesta-se de forma crônica e progressiva, como doença multissistêmica, sendo observado o seguinte quadro clínico: baixa estatura, tronco curto, macrocefalia, face grosseira, proganatia, hirsutismo, perda da audição, glaucoma, opacificação corneana, macrostomia, aumento do espaço interdental, esmalte acinzentado, cáries dentárias, acometimento valvar (valvas aórtica e mitral), infecções respiratórias de repetição, distúrbio respiratório restritivo, hérnia inguinal, hepatomegalia, osteoporose, platispondilia, hipoplasia de odontoide, subluxação cervical, cifose, corpos vertebrais ovoides, hiperlordose, escoliose, coxa valga, lassidão ligamentar, genu valgu, mielopatia cervical, porém com inteligência normal. O fenótipo é variável quanto à gravidade, porém, os pacientes com fenótipo grave geralmente não sobrevivem após a segunda ou terceira década de vida. Porém, o devastador quadro clínico da MPS IVA tem sido modificado pela Terapia de Reposição Enzimática (TRE) com o medicamento Elosulfase alfa (Vimizim®). Trata-se de uma variante da enzima humana N acetilgalactosamina-6 sulfatase, produzida através da tecnologia do DNA recombinante. A substância, infundida por via endovenosa semanalmente nos pacientes com MPS IVA, funciona como fonte exógena da enzima, aumentando o catabolismo dos glicosaminoglicanos. Estudos clínicos com Elosulfase alfa em pacientes com MPS IVA mostraram melhora significativa da capacidade respiratória, além de ganhos na estatura quando o tratamento é iniciado em pacientes mais jovens (menores de 14 anos), redução da excreção urinária de queratan sulfato. Não há contra-indicações significativas para o uso da elosulfase alfa. Ressalto também, que não há outro produto similar no Brasil e no mercado mundial capaz de substituir o Vimizim® no tratamento da MPS IVA, o que o caracteriza como droga-órfã. O Elosulfase alfa possui registro na ANVISA: 173330002, de 08/12/2014. Neste momento, uma paciente com MPS IVA é atendida no Ambulatório de Genética Médica da Unidade de Atenção à Saúde da Criança e do Adolescente (UASCA) do Hospital Universitário Cassiano Antonio Moraes da Universidade Federal do Espírito Santo/Empresa Brasileira de Serviços Hospitalares (HUCAM/EBSERH/UFES) e recebe infusões semanais com Elosulfase alfa. A paciente (GBS, data de nascimento 12/12/2002) iniciou as infusões com Elosulfase alfa aos 14 anos e 9 meses no dia 29/09/2017 por meio de Ação Judicial contra a Secretaria Estadual de Saúde do Espírito Santo (SESA/ES). Neste período de TRE com Elosulfase alfa, não houve interrupção do fornecimento da medicação pela SESA/ES e a paciente não apresentou quaisquer efeitos adversos à medicação. Em virtude do acima exposto, concluo que Elosulfase alfa modifica o grave curso natural da MPS IVA e deve ser incorporado com celeridade no rol de medicamentos fornecidos pelo SUS para o tratamento dos pacientes tão logo seja feito o diagnóstico MPS IVA, o que reduzirá as co-morbidades associadas e gastos públicos delas decorrentes, redução do número de internações hospitalares, promovendo maior sobrevida, inserção acadêmica e no</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>mercado de trabalho, bem como melhor qualidade de vida para os pacientes e seus familiares.</p> <p>2ª - Sim, Estudos clínicos com Elosulfase alfa em pacientes com MPS IVA mostraram melhora significativa da capacidade respiratória e da marcha, além de redução da excreção urinária de glicosaminoglicanos.</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/EBSERH. Tais informações podem ser confirmadas no site Plataforma Lattes do CNPq (<a href="http://lattes.cnpq.br/6438981250094401">http://lattes.cnpq.br/6438981250094401</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 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</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

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) Regulamento - 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, A necessidade de judicialização para o fornecimento de Elosulfase alfa aos pacientes devidamente diagnosticados com MPS IVA determina atraso no início do seu tratamento, com agravamento do seu quadro clínico e suas co-morbidades, aumento das internações hospitalares onerando o erário público e determinando piora da qualidade de vida para os pacientes e familiares, absentismo escolar e nas atividades laborais também dos seus familiares além de desgaste das instituições públicas e acúmulo de Ações Judiciais para o já bastante sobrecarregado Poder Judiciário.Sendo saúde direito de todos e dever do Estado (Constituição Federal de 1988 Art. 196), confio que esta COMISSÃO NACIONAL DE INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS NO SUS aprove com máxima celeridade a incorporação do Elosulfase alfa no rol de medicamentos do SUS.

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da recomendação preliminar, em virtude do exposto abaixo: A Mucopolissacaridose IVA (MPS IVA ou Síndrome de Morquio A, CID 10: E76.2, OMIM 253000) pertence ao grupo dos erros inatos do metabolismo dos glicosaminoglicanos (GAGs), sendo geneticamente determinada, herdada em caráter autossômico recessivo. Na MPS IVA, há deficiência da enzima N acetilgalactosamina-6 sulfatase (GALNS, OMIM 612222), que participa da degradação de componentes importantes da matriz extra-celular e do tecido conjuntivo, determinando o acúmulo de glicosaminoglicanos nos lisossomos, resultando em disfunção de células, tecidos e órgãos e aumento da excreção urinária de GAGs, especialmente queratan sulfato e condroitina 6-sulfato. A MPS IVA manifesta-se de forma crônica e progressiva, como doença multissistêmica, sendo observado o seguinte quadro clínico: baixa estatura, tronco curto, macrocefalia, face grosseira, prognatismo, hirsutismo, perda da audição, glaucoma, opacificação corneana, macrostomia, aumento do espaço interdental, esmalte acinzentado, cáries dentárias, acometimento valvar (valvas aórtica e mitral), infecções respiratórias de repetição, distúrbio respiratório restritivo, hérnia inguinal, hepatomegalia, osteoporose, platispondilia, hipoplasia de odontoide, subluxação cervical, cifose, corpos vertebrais ovoides, hiperlordose, escoliose, coxa valga, lassidão ligamentar, genu valgu, mielopatia cervical, porém com inteligência normal. O fenótipo é variável quanto à gravidade, porém, os pacientes com fenótipo grave geralmente não sobrevivem após a segunda ou terceira década de vida. Porém, o devastador quadro clínico da MPS IVA tem sido modificado pela Terapia de Reposição Enzimática (TRE) com o medicamento Elosulfase alfa (Vimizim®). Trata-se de uma variante da enzima humana N acetilgalactosamina-6 sulfatase, produzida através da tecnologia do DNA recombinante. A substância, infundida por via endovenosa semanalmente nos pacientes com MPS IVA, funciona como fonte exógena da enzima, aumentando o catabolismo dos glicosaminoglicanos. Estudos clínicos com Elosulfase alfa em pacientes com MPS IVA mostraram melhora significativa da capacidade respiratória, além de ganhos na estatura quando o tratamento é iniciado em pacientes mais jovens (menores de 14 anos), redução da excreção urinária de queratan sulfato. Não há contra-indicações significativas para o uso da elosulfase alfa. Ressalto também, que não há outro produto similar no Brasil e no mercado mundial capaz de substituir o Vimizim® no tratamento da MPS IVA, o que o caracteriza como droga-órfã. O Elosulfase alfa possui registro na ANVISA: 173330002, de 08/12/2014. Neste momento, uma paciente com MPS IVA é atendida no Ambulatório de Genética Médica da Unidade de Atenção à Saúde da Criança e do Adolescente (UASCA) do Hospital Universitário Cassiano Antonio Moraes da Universidade Federal do Espírito Santo/Empresa Brasileira de Serviços Hospitalares (HUCAM/EBSERH/UFES) e recebe infusões semanais com Elosulfase alfa. A paciente (GBS, data de nascimento 12/12/2002) iniciou as infusões com Elosulfase alfa aos 14 anos e 9 meses no dia 29/09/2017 por meio de Ação Judicial contra a Secretaria Estadual de Saúde do Espírito Santo (SESA/ES). Neste período de TRE com Elosulfase alfa, não houve interrupção do fornecimento da medicação pela SESA/ES e a paciente não apresentou quaisquer efeitos adversos à medicação. Em virtude do acima exposto, concluo que Elosulfase alfa modifica o grave curso natural da MPS IVA e deve ser incorporado com celeridade no rol de medicamentos fornecidos pelo SUS para o tratamento dos pacientes tão logo seja feito o diagnóstico MPS IVA, o que reduzirá as co-morbidades associadas e gastos públicos delas decorrentes, redução do número de internações hospitalares, promovendo maior sobrevida, inserção acadêmica e no</p>	

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

mercado de trabalho, bem como melhor qualidade de vida para os pacientes e seus familiares.

2ª - Sim, Estudos clínicos com Elosulfase alfa em pacientes com MPS IVA mostraram melhora significativa da capacidade respiratória e da marcha, além de redução da excreção urinária de glicosaminoglicanos.

[Clique aqui](#)

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/EBSERH. Tais informações podem ser confirmadas no site Plataforma Lattes do CNPq (<http://lattes.cnpq.br/6438981250094401>)  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.

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 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

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>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) Regulamento - 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)</p> <p>5ª - Sim, A necessidade de judicialização para o fornecimento de Elosulfase alfa aos pacientes devidamente diagnosticados com MPS IVA determina atraso no início do seu tratamento, com agravamento do seu quadro clínico e suas co-morbidades, aumento das internações hospitalares onerando o erário público e determinando piora da qualidade de vida para os pacientes e familiares, absenteísmo escolar e nas atividades laborais também dos seus familiares além de desgaste das instituições públicas e acúmulo de Ações Judiciais para o já bastante sobrecarregado Poder Judiciário.Sendo saúde direito de todos e dever do Estado (Constituição Federal de 1988 Art. 196), confio que esta COMISSÃO NACIONAL DE INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS NO SUS aprove com máxima celeridade a incorporação do Elosulfase alfa no rol de medicamentos do SUS.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação tem impacto positivo na evolução da doença. Ao exemplo da MPS tipo II, a terapia de reposição enzimática aumentou a sobrevida em 10 anos, já descrito na literatura (Burton BK et al. J Inherit Metab Dis (2017) 40:867-874.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Apesar da medicação ter valor elevado, este fato não deve pesar tanto na balança. Este medicamento é uma esperança para melhor qualidade de vida e mais saúde para estes pacientes.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/10/2018	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda, inscrita no CNPJ sob o nº 08.002.360/0001-34, com sede na cidade de São Paulo, Estado de São Paulo, na Rua James Joule, nº 92, conjunto 42, Cidade Monções, CEP 04576-080, fabricante e detentora do registro sanitário ANVISA para o medicamento Vimizim® (alfaelosulfase), objeto da consulta pública nº 51/2018, referente à inclusão de alfaelosulfase para pacientes com mucopolissacaridose tipo IVA (MPS IVA; síndrome de Morquio A), gostaria de fazer sua contribuição neste processo. Discordamos totalmente da recomendação, por entender que existem pontos críticos não abordados, a serem discutidos tanto na parte de evidências clínicas quanto de avaliação econômica e de impacto orçamentário. Estes pontos serão explorados nos itens que seguem e compõem a contribuição desta consulta pública. Com base nos resultados dessa análise em reposta a CONITEC reforça-se que a alfaelosulfase é a única opção terapêutica específica para o tratamento de MPS IVA que vem apresentando benefícios a longo prazo em endurance e qualidade de vida. O início precoce do tratamento específico demonstra melhores resultados. Por se tratar de uma doença rara, com prevalência muito baixa, não existe um comparador adequado para avaliação de custo efetividade, razão pela qual os elevados custos incrementais relacionados à aquisição de medicamentos são esperados. Normalmente, na prática médica, a introdução de novas tecnologias passa a ser incorporada a partir de resultados de estudos clínicos patrocinados por empresas privadas. Muitas vezes, tais pesquisas são incentivadas financeiramente por famílias acometidas em busca de terapias ou cura. As doenças raras impactam a sociedade e merecem atenção da saúde pública, assim como toda condição médica que compromete a saúde dos seres humanos. Visto isso e dada a situação de avaliação de medicamentos voltados para doenças raras no mundo e particularmente no Brasil, faz-se necessária ampla discussão de como os resultados das avaliações econômicas devem ser interpretados, uma vez que os parâmetros que serão considerados mais relevantes para sua avaliação (eficácia, segurança e qualidade de vida), usualmente necessitam de interpretação diferenciada em relação às doenças de alta incidência. Na ausência de alternativa terapêutica, a segurança das terapias propostas, o clamor da sociedade e a análise ampliada das evidências clínicas, não restrita a estudos randomizados e controlados por placebo, tal como previamente apreciado por esta mesma Comissão, são fatores a serem considerados. Por último, a BioMarin, reforça seu posicionamento frente à necessidade de previsibilidade de abastecimento dos pacientes, bem como interesse de previsibilidade de orçamento por parte do ministério da saúde e se coloca aberto à negociação com a CONITEC, de forma a minimizar custos que hoje oneram o sistema e dificultam a otimização do atendimento dos pacientes.</p> <p>2ª - Sim, No item 1, página 6, em resumo executivo, onde está escrito: “Contexto: A síndrome de Morquio A é uma doença de depósito de mucopolissacarídeos causada pela deficiência de enzimas lisossômicas específicas, resultando no acúmulo de substratos dos glicosaminoglicanos no organismo levando a manifestações clínicas variando de formas graves com rápida progressão a formas leves com o diagnóstico apenas na fase adulta.” Apenas com a intenção de aprimorar o texto com nomenclatura mais atualizada, a requerente solicita correção ou substituição do termo “mucopolissacarídeo” para glicosaminoglicano. A síndrome de Morquio A ou MPS IVA é uma doença genética, decorrente da deficiência da enzima N-acetilgalactosamina 6-sulfatase (GALNS), responsável pela degradação dos GAGs: queratan sulfato (QS) e 6-</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

sulfato de condroitina (CS6), resultando no acúmulo desses componentes nos lisossomos de múltiplos órgãos e tecidos, principalmente nos ossos, cartilagens, ligamentos, válvulas cardíacas e córneas. Hendriksz CJ, Harmatz P, Beck M, Jones S, Wood T, Lachman R, et al. Review of clinical presentation and diagnosis of mucopolysaccharidosis IVA. Vol. 110, Molecular Genetics and Metabolism. 2013. p. 54–64. Tomatsu S, Montano AM, Oikawa H, Smith M, Barrera L, Chinen Y, et al. Mucopolysaccharidosis type IVA (Morquio A disease): clinical review and current treatment. Curr Pharm Biotechnol. 2011;12(6):931–45. Peracha H, Sawamoto K, Averill L, Kecskemethy H, Theroux M, Thacker M, Nagao K, Pizarro C, Mackenzie W, Kobayashi H, Yamaguchi S, Suzuki Y, Orii K, Orii T, Fukao T, Tomatsu S. Molecular genetics and metabolism, special edition: Diagnosis, diagnosis and prognosis of Mucopolysaccharidosis IVA. Mol Genet Metab. 2018 Sep;125(1-2):18-37. Ainda no item 1, página 6, onde está escrito: “Não há tratamento específico no SUS e o único aprovado pela ANVISA é o alfaelosulfase. A doença é muito rara, estima-se que no Brasil existam 183 pacientes com este diagnóstico.” Tal afirmativa está idêntica ao relatório referente à resposta da CONITEC ao pedido de incorporação de galsulfase para o tratamento da MPS VI em relação aos dados de frequência populacional no Brasil de Morquio A. A requerente informou 153 pacientes no Brasil quando solicitou ao órgão a análise da incorporação. Vale lembrar que a MPS VI e a MPS IVA são condições distintas, embora fazem parte do mesmo grupo de doença de depósito lisossomal, apresentam defeitos genéticos completamente diferentes. Na página 6 onde está escrito: “Pergunta: Em portadores da síndrome de Maroteaux-Lamy, a alfaelosulfase em relação ao placebo é mais eficaz e segura? Na pergunta no referente relatório existe um erro sobre a denominação da condição a ser discutida. A requerente solicita gentilmente a reescrita do início da frase: Em pacientes com a síndrome de Morquio A, a alfaelosulfase em relação ao placebo é mais eficaz e segura? E não “síndrome de Maroteaux-Lamy” como está escrito na página seis. Na página 6, no item sobre evidências científicas: “Evidências científicas: Alfaelosulfase é o único tratamento aprovado havendo apenas um único ensaio clínico randomizado de baixa qualidade metodológica. Foi demonstrada uma diferença estatisticamente significativa a favor da intervenção quando comparada ao placebo em relação ao teste de caminhada de 12 minutos, um acréscimo médio de  $92 \pm 40$  metros (11 a 172 metros) p valor 0,025 e um aumento médio na capacidade de subir degraus de  $5,7 \pm 2,9$  degraus por minuto (p = 0,053). Há uma importante limitação neste ensaio, a randomização não foi descrita e os grupos eram diferentes, sendo o grupo placebo mais jovem, mais baixo, de menor peso e com maior capacidade basal para a caminhada de 12 minutos ( $381 \pm 202$  metros versus  $227 \pm 170$  metros p = 0,014).” A requerente identificou um equívoco nesse item, já que nesse trecho refere-se ao estudo pivotal de galsulfase e não da alfaelosulfase. A requerente solicita gentilmente a correção desse trecho conforme justificativa abaixo. A melhora nas medidas baseadas no esforço no grupo que recebeu placebo não é inesperada dentro do contexto do teste de estudos clínicos. Este efeito foi observado em outros ensaios clínicos de enzima recombinante que usaram o teste da caminhada de seis minutos (TC6). Vale ressaltar que apesar da melhora no grupo placebo, os dados do ensaio de Fase 3 mostram um efeito de tratamento demonstrável com alfaelosulfase em relação ao placebo, incluindo uma melhora estatisticamente significativa em relação ao placebo no objetivo primário do estudo. O tratamento a longo prazo com alfaelosulfase continua a beneficiar os pacientes em detrimento da trajetória de declínio baseada na história natural. Melhorias nas medidas baseadas no esforço em um grupo

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>placebo não são inesperadas dentro do contexto do teste de ensaio clínico. O grupo placebo no estudo randomizado placebo controlado com alfaelosulfase mostrou melhora esperada durante as primeiras 12 semanas de tratamento, mas geralmente estabilizou depois disso, o que pode indicar que os pacientes estavam inicialmente tentando mais duramente, mas foram incapazes de sustentar ou aumentar seu esforço pela duração do tratamento. É importante ressaltar que os dados do estudo de Fase 3 mostraram uma melhora estatisticamente significativa em relação ao placebo no desfecho primário para o estudo, bem como um efeito de tratamento demonstrável com alfaelosulfase em relação ao placebo para a maioria dos desfechos secundários e terciários. Os dados do estudo de extensão da Fase 3 (MOR-005) apoiam os resultados de eficácia positivos do ensaio de Fase 3. Eles também mostram que o tratamento a longo prazo com alfaelosulfase continua a beneficiar os pacientes, o que é clinicamente significativo, dada a trajetória natural baseada na história do declínio causado pela doença. Harmatz P, Giugliani R, Schwartz I, et al. Enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis VI: a phase 3, randomized, double-blind, placebo-controlled, multinational study of recombinant human N-acetylgalactosamine 4-sulfatase (recombinant human arylsulfatase B or rhASB) and follow-on, open-label extension study. <i>J Pediatr</i> 2006;148:533-539. Hendriksz CJ, Parini R, AlSayed MD, et al. Long-term endurance and safety of elosulfase alfa enzyme replacement therapy in patients with Morquio A syndrome. <i>Mol Genet Metab</i>. 2016a Jun 16. pii: S1096-7192(16)30117-2. Hendriksz C, Berger K, Parini R, et al. Impact of long-term elosulfase alfa treatment on respiratory function in patients with Morquio A syndrome. 2016b Aug 23. <i>J Inher Metab Dis</i>. O TC6 foi escolhido como desfecho primário do estudo de Fase 3 devido ao potencial para esse desfecho representar mudanças benéficas nos diversos sistemas e órgãos afetados pela síndrome de Morquio A, incluindo os sistemas pulmonar e cardiovascular, circulação sistêmica, circulação periférica, sangue, unidades neuromusculares e metabolismo muscular. Tal teste é indicado pela sociedade torácica americana para medir a resposta a intervenções médicas em pacientes com doença cardíaca ou pulmonar moderada a grave. O TC6 também tem sido usado como uma medida única do estado funcional dos pacientes, bem como um preditor de morbidade e mortalidade. A afirmação de que o estudo de fase 3 foi patrocinado pelo fabricante pode ser complementada com alguns pontos importantes na história de doenças órfãs, já que as pesquisas iniciais para possíveis tratamentos específicos para as MPS, assim como outras doenças de depósito lisossômicas foram primordialmente patrocinadas por alianças de famílias e pacientes com tais doenças extremamente graves, debilitantes e negligenciadas em todo mundo. O estudo MOR-004 foi um estudo randomizado, controlado, duplo-cego, fase 3, com seguimento de 24 semanas. O objetivo desse estudo foi avaliar eficácia e segurança de pacientes com MPS IV que receberam terapia de reposição enzimática (TRE) com alfaelosulfase, na dose de 2,0 mg/kg/semana ou 2,0 mg/kg em semanas alternadas ou placebo. Foi avaliada a distância percorrida no teste de caminhada de seis minutos (TC6), teste do degrau/escada - 3 minutos (TDE3), queratano sulfato, ventilação máxima voluntária (MVV), capacidade vital forçada (FVC), volume expiratório forçada no 1<sup>a</sup> segundo (FEV1), medição do anticorpo anti- alfaelosulfase, presença de anticorpo neutralizante (NAb) e IgE. Os sujeitos no ensaio de Fase 3 que foram tratados com alfaelosulfase tiveram uma alteração média de 36,5 metros desde o valor inicial na Semana 24, com um efeito de tratamento estimado em comparação com o placebo de 22,5 metros. Tais dados evidenciam uma melhora estatisticamente significativa em relação ao</p>	

placebo nesta importante medida de desfecho primário multi-sistêmica. Ao avaliar a capacidade de resposta ao tratamento nesta população única de pacientes, as alterações nas distâncias de caminhada de 6 minutos não precisam ser grandes para serem clinicamente relevantes; pequenas melhorias podem refletir mudanças significativas na capacidade de realizar tarefas rotineiras da vida diária. Além disso, pacientes com Morquio A têm anormalidades esqueléticas e frouxidão articular que tornam a caminhada particularmente desafiadora, além de sentirem dor durante a mobilização. Estudos realizados a longo prazo como o estudo de extensão (MOR005) e estudos após a comercialização de alfaelossulfase devem ser considerados em resposta a afirmação de que o estudo clínico foi fraco. O estudo de extensão da fase 3, levou 120 semanas (MOR-005). Os resultados são comparados com a coorte histórica do estudo MorCAP-1 e 2, uma vez que esse estudo é braço único, então os autores fizeram isso para se ter dados comparativos. O estudo MOR-001, com 353 pacientes de 10 países, representa cerca de 10% da população mundial estimada de MPS IVA. Este é o maior estudo de história natural em MPS, caracterizando bem o aspecto progressivo da doença, com impacto na qualidade de vida, independentemente da idade ou do fenótipo. E o estudo MorCAP-2 são os pacientes virgens de tratamento, oriundos do MorCAP-1, excluídos os pacientes que realizaram cirurgias ortopédicas e seguidos por 2 anos. Os resultados foram avaliados por Intenção de Tratar, e também Per Protocol Modificada. Na Per Protocol Modificada foram excluídos os pacientes que realizaram cirurgia ortopédica durante o estudo (N = 38) e / ou apresentaram não conformidade recorrente com o protocolo do estudo. Distância percorrida no teste de caminhada de seis minutos (TC6), em metros: População - Intenção de Tratar (MOR-004/ MorCAP1 (valor da mudança em relação à base (erro médio), p valor = diferença do MorCAP1). Para avaliar melhor a relevância clínica das melhorias observadas nas medidas de eficácia, foram realizadas análises post-hoc dos resultados individuais de MPS HAQ do Estudo MOR-004. Para além do aumento líquido pós-linha de base de 5 (8,5%) doentes no grupo placebo utilizando uma cadeira de rodas na semana 24 versus 0 (0%) nos dois grupos de tratamento com alfaelossulfase outros parâmetros do domínio da mobilidade mostraram tendências de melhoria com alfaelossulfase. Os pacientes com Morquio A têm limitações de qualidade de vida na vida diária causadas por baixa resistência e mobilidade prejudicada (Hendriksz, 2013). As deficiências respiratórias e cardiovasculares desempenham um papel significativo, juntamente com anormalidades musculoesqueléticas clássicas, na redução da força e resistência. A baixa resistência gera aos pacientes uma maior dependência de auxílio na caminhada e uso de cadeiras de rodas, o que tem mostrado impacto direto na qualidade de vida. A incapacidade para o trabalho está associada a uma qualidade de vida significativamente menor (Hendriksz, 2014a). Em um estudo com 24 pacientes alemães com Morquio A, foi demonstrada uma correlação forte e estatisticamente significativa entre a capacidade de andar (TC6) e subir escadas (3MSCT) e a qualidade de vida dos pacientes medida pelo EuroQoL (EQ) 5D-5L (EQ5D-5L) (TC6, R = 0,884; 3MSCT, R = 0,852) (Lampe, 2015). O uso da alfaelossulfase a longo prazo também foi associada com uma maior resistência e melhora no desempenho das atividades do dia-a-dia. A alfaelossulfase apresenta um perfil de segurança aceitável, a curto prazo e a longo prazo. American Thoracic Society. ATS statement: guidelines for the six-minute walk test. Am J Respir Crit Care Med. 2002; 166:111-117. Hughes D, Giugliani R, Guffon N, Jones SA, Mengel KE, Parini R, et al. Clinical outcomes in a subpopulation of adults with Morquio A syndrome: results from a long-term extension study of elossulfase alfa. Orphanet J

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>Rare Dis. 2017;12(1):98. Hendriksz CJ, Parini R, Alsayed MD, Raiman J, Giugliani R, Solano ML, et al. Long-term endurance and safety of elosulfase alfa enzyme replacement therapy in patients with Morquio A syndrome. Mol Genet Metab. 2016;119(1–2):131–43. Hendriksz CJ, Berger KI, Parini R, Alsayed MD, Raiman J, Giugliani R, et al. Impact of long-term elosulfase alfa treatment on respiratory function in patients with Morquio A syndrome. J Inher Metab Dis. 2016;839–47. Long B, Tompkins T, Decker C, Jesaitis L, Khan S, Slasor P, et al. Long-term Immunogenicity of Elosulfase Alfa in the Treatment of Morquio A Syndrome: Results from MOR-005, a Phase III Extension Study. Clin Ther. 2017;39(1):118–129.e3. Hendriksz CJ, Lavery C, Coker M, et al. Burden of disease in patients with Morquio A syndrome: results from an international patient-reported outcomes survey. Orphanet J Rare Dis. 2014a;9:32. Hendriksz CJ, Lavery C, Coker M, et al. The burden endured by caregivers of patients with Morquio A Syndrome: results from an international patient-reported outcomes survey. J Inborn Errors Metab Screenings. 2014b;2:2326409814540872. Hendriksz CJ, Giugliani R, Harmatz P, Mengel E, Guffon N, Valayannopoulos V, et al. Multi-domain impact of elosulfase alfa in Morquio A syndrome in the pivotal phase III trial. Mol Genet Metab. 2015;114(2):178–85. Lampe C, Jain M, Olaye A, et al. Relationship between patient-reported outcomes and clinical outcomes in patients with Morquio A syndrome. J Inborn Errors Metab Screening. 2015;3:2326409815576188. doi: 10.1177/2326409815576188.</p> <p>O apoio sintomático que o autor se refere seria o tratamento inespecífico, ou multidisciplinar e multiprofissional que uma doença grave multissistêmica e progressiva demanda. Ao longo da vida, pacientes com MPS IVA necessitam de inúmeras cirurgias como herniorrafias, cirurgia de correção da instabilidade atlato-axial de coluna cervical, cirurgias de membros inferiores, principalmente de quadril e joelho. Cirurgias otorrinolaringológicas, como adenoideotomias e uso de aparelhos auditivos, transplante de córnea. Assim como cirurgias cardíacas como valvoplastias mitral e aórtica. E acompanhamento fisioterápico frequente. Vale lembrar que tais “terapias” devem ser oferecidas pelo sistema único de saúde. Hendriksz CJ, Berger KI, Giugliani R. International guidelines for the management and treatment of Morquio A syndrome. Am J Med Genet A. 2015a;167A:11-25. Na página 12, referente ao item 4.1. Evidência clínica, onde está o texto sobre limitações: “A evidência apresentada é composta por apenas um ensaio clínico, patrocinado pelo fabricante, no qual a randomização não foi descrita e os grupos apresentaram uma diferença basal favorável ao grupo da intervenção semanal (Tabela 2). Esta vantagem foi considerada base no próprio ensaio, onde os autores afirmam a necessidade de homogeneizar a capacidade basal de caminhada para evitar o efeito de teto, ou seja, um valor máximo possível dado os limites físicos dos pacientes. Assim, aqueles com menor capacidade basal terão maior potencial de melhora. Ainda, pacientes com a forma mais agressiva da doença apresentam mortalidade precoce sendo, portanto, esperada uma menor mortalidade no grupo mais jovem.” Como já explicitado anteriormente nesse documento, a resposta à pergunta PICO que leva apenas um estudo clínico randomizado em consideração não evidencia dados suficientes a curto prazo. No estudo de fase 3, a eficácia foi evidenciada, assim como a segurança da alfaelossulfase, aprovada por diversas agências regulatórias como o FDA (Food and Drugs Administration) e o EMA (Agência Europeia de Medicamentos). O estudo de alfaelossulfase de fase 3 foi randomizado, multicêntrico, internacional, duplo-cego e controlado por placebo que avaliou 176 pacientes. Um número considerável por se tratar de doença rara a ser estudado em pesquisa clínica intervencionista. Os pacientes foram avaliados a longo prazo, em</p>	

estudo de extensão, onde todos os pacientes (176) foram acompanhados por 96 semanas, todos os parâmetros foram mantidos com alta significância estatística em resultados de endurance e função cardiopulmonar conforme apresentado no parecer técnico científico. Hughes D, Giugliani R, Guffon N, Jones SA, Mengel KE, Parini R, et al. Clinical outcomes in a subpopulation of adults with Morquio A syndrome: results from a long-term extension study of elosulfase alfa. *Orphanet J Rare Dis.* 2017;12(1):98. Hendriksz CJ, Parini R, Alsayed MD, Raiman J, Giugliani R, Solano ML, et al. Long-term endurance and safety of elosulfase alfa enzyme replacement therapy in patients with Morquio A syndrome. *Mol Genet Metab.* 2016;119(1–2):131–43. Hendriksz CJ, Berger KI, Parini R, Alsayed MD, Raiman J, Giugliani R, et al. Impact of long-term elosulfase alfa treatment on respiratory function in patients with Morquio A syndrome. *J Inher Metab Dis.* 2016;839–47.

3ª - Sim, Na página 13, item 4.2, o relatório expõe: “Em cada ciclo, o risco de morte se relacionava com o grau de limitação, com a necessidade de realização de cirurgias, e com a capacidade vital forçada (CVF), sendo que a melhora da CVF considerada para o grupo recebendo alfaelossulfase resultou em mortalidades significativamente mais baixa no modelo para o grupo intervenção.”. Dentro do modelo, a transição entre os estados de saúde depende do declínio de 6MWT ou do declínio da CVF ao longo do tempo, dependendo do estado de cadeira de rodas: - Baseado na opinião dos especialistas internacionais, definiu-se que os pacientes que iniciaram o modelo no estado de saúde "assintomático" transicionaram após três anos; - Para os pacientes nos estados "sintomático (sem uso de cadeira de rodas)" e "às vezes usa cadeira de rodas", os dados do estudo MOR-001 de declínio anual nos 6MWT foram utilizados para calcular o tempo até a transição de "sintomático (sem uso de cadeira de rodas)" para "às vezes usa cadeira de rodas", e "às vezes usa cadeira de rodas" para "dependente de cadeira de rodas"; - Quando os pacientes atingem os estados de cadeira de rodas, a transição é decidida pelo declínio na CVF. Na página 14, item 4.2, cita-se: “A qualidade de vida foi incorporada no modelo através da atribuição de escores de utilidade para cada estado de saúde, sendo que, em um mesmo estado de saúde, foi considerada utilidade mais alta para pacientes tratados com alfaelossulfase. Não foi relatada claramente a fonte dos dados de utilidade para cada estado de saúde.” A empresa gostaria que reforçar a explicação feita no dossiê de submissão, página 52, item 3.1.8, Probabilidades de transição. Neste trecho a empresa explica como foi feito o cálculo das probabilidades. Na página 16, ainda no item 4.2, tem-se: “Quanto à mortalidade, como no modelo a sobrevida é influenciada pelo estado de saúde, a progressão mais lenta dos pacientes tratados traz significativo aumento da sobrevida. Adicionalmente, a vantagem de CVF observada com o tratamento também influencia positivamente a sobrevida, trazendo a possibilidade de dupla-contagem de benefício de sobrevida.”. Sobre o tema de possível dupla-contagem de benefício de sobrevida, a mortalidade considerada no modelo é a mortalidade geral da população e a mortalidade de acordo com o CVF. Portanto não há uma dupla contagem de sobrevida. Críticas são feitas também à utilização de Painel Delphi, com especialistas nacionais e internacionais. Como mencionado no dossiê, alguns inputs do modelo econômico precisavam de validação sob o aspecto clínico, para que fizesse sentido a adequação do modelo à realidade brasileira. De uma forma geral, a empresa entende e reconhece que existem incertezas no modelo econômico, como é de se esperar, dada a escassez de dados de utilidade e toda a dificuldade de se modelar um estudo que mimetize uma doença tão complexa

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>quanto esta. Contudo, fez uso da melhor evidência científica disponível no intuito de atender aos requisitos mínimos necessários. Em paralelo, proveu diferentes análises de sensibilidade, como recomendado, evidenciando a robustez e, ao mesmo tempo, as incertezas da análise de forma transparente.</p> <p>4ª - Sim, Na página 16, item 4.3, há o trecho: “Assim como foi observado com relação ao estudo de custo-utilidade, o uso de dados de literatura para definição da distribuição inicial da população nos estados de saúde e, mais importantemente, do peso médio dos pacientes, pode não corresponder à realidade brasileira. Como o medicamento é aplicado em doses ajustadas pelo peso, essa variação de peso pode trazer diferença significativa dos custos por paciente.” Ao entender o questionamento do relatório, a empresa adaptou o modelo de impacto orçamentário submetido, considerando uma análise de sensibilidade quanto ao peso dos pacientes: 20181029_BR_VMZ_IO.xlsm (anexo). Na página 18, item 4.3, o relatório cita: “o entanto, no caso da análise de impacto orçamentário – ao contrário do que ocorre na análise de custo-utilidade – esse pode ser considerado um viés conservador, que tenderia a superestimar o impacto orçamentário.”. A empresa optou por ter um viés mais conservador, entendendo que deveria manter a metodologia aplicada desde o modelo de avaliação econômica e garantindo a transparência na submissão.</p> <p>5ª - Sim, Na ausência de alternativa terapêutica, a segurança das terapias propostas, o clamor da sociedade e a análise ampliada das evidências clínicas, não restrita a estudos randomizados e controlados por placebo, tal como previamente apreciado por esta mesma Comissão, acredita-se que esta decisão prévia deva ser revista. Por último, a BioMarin, reforça seu posicionamento frente à necessidade de previsibilidade de abastecimento dos pacientes, bem como interesse de previsibilidade de orçamento por parte do ministério da saúde e se coloca aberto à negociação com a CONITEC, como feito em outros países e regiões, de forma a minimizar custos que hoje oneram o sistema e dificultam a otimização do atendimento dos pacientes.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
26/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. os portadores dessa doença necessitam de atecão e cuidados rigorosos principalmente em nao falatr a medicação</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/10/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Porque as crianças com essa necessidade dependem deste 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
26/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Melhora a parte motora, respiratória e psicológica. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. melhora parte motora respiratoria e psicologica 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. melhora parte motora fisica respiratoria e psicologica 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
27/10/2018	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
27/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trata-se de uma terapêutica segura, com melhora na qualidade de vida do paciente</p> <p>2ª - Sim, Acompanho um paciente com este quadro e observo sua melhora clínica, com melhora significativa na qualidade de vida (melhora na deambulação, melhora nas dores, diminuição dos processos infecciosos).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
27/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O TRATAMENTO É UM DIREITO DOS PACIENTES COM ESTA SÍNDROME</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Alentuzumabe é um dos medicamentos mais potentes para o tratamento de EM com um conceito novo de mecanismo de ação, de imunoresconstituição imunológica e que faz, portanto toda a diferença para a qualidade de vida e com efeitos duradouros. Mais de 70% dos pacientes permanecem por mais de 4 anos sem evidência da doença.</p> <p>2ª - Sim, Trabalhos mostram que o Alemtuzumabe é um dos medicamentos mais potentes, com eficácia de 72% livre de surto, 90 % de novas lesões em T2 e Gadolínio positivas e NEDA em 2 anos próximo de 50%.</p> <p>3ª - Sim, Apesar do alto custo do medicamento, a longo prazo, ficando o paciente livre da doença e sem necessidade de novos medicamentos, este custo será menor: menor internação, menor hospitalização, menor uso de outros medicamentos, funcionalmente melhor com condições de empregabilidade.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
27/10/2018	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>	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>Descrição da contribuição</b>	<b>Referência</b>
28/10/2018	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
28/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O protocolo técnico científico para Alfaelosulfase infelizmente apresenta um conteúdo técnico introdutório de baixíssima qualidade. A descrição inicial sobre a doença (pagina 1) a ser considerada para tratamento com a medicação contem erros conceituais graves, que podem caracterizar outros tipos de MPS, exceto a MPS IV-A. Como um exemplo pode ser citado o termo “contraturas articulares”. O acúmulo do queratan-sulfato causa alterações na estrutura do colágeno levando a frouxidão ligamentar, e não a contraturas. Este é apenas um exemplo da falta de conhecimento sobre a condição rara descrita neste PTC, o que já desmerece a sua consideração técnico-científica. Gostaríamos que fosse citada a referencia do estudo clinico onde houve o teste da caminhada de 12 minutos, uma vez que ate onde temos conhecimento o estudo clinico de fase III envolveu caminhada de 6 minutos. No que diz respeito ao estudo clinico citado consideramos que a interpretação dos resultados é equivocada pelo relatório, uma vez que ao contrario do citado, se o grupo do tratamento tinha resultados inferiores no teste da caminhada, seria muito difícil que em 6 meses conseguisse ultrapassar o grupo placebo, fato que ocorreu. A aprovação do tratamento para esta doença foi mundialmente posterior a todas as demais mucopolissacaridoses ate o momento, portanto a documentação científica sobre desfechos que envolvem sobrevida necessitam de avaliação mais longa. Além disso, do ponto de vista clinico, observa-se características distintas das demais mucopolissacaridoses, com padrão de apresentação mais displasico e articular, com consequências respiratórias obvias e provável sobrevida mais longa pelo menor comprometimento valvar cardíaco. Por outro lado, a dor é uma manifestação comum que reduz a qualidade de vida e a mobilidade. Considerando esta historia natural, os desfechos escolhidos para os estudos certamente subestimam a gravidade da doença no longo prazo. Em alguns países a aprovação da medicação tem sofrido restrições pelos desfechos rápidos menos evidentes. Em contraposição, muitas decisões governamentais no exterior foram revertidas para aprovação condicional, mediante seguimento sistemático e demonstração do beneficio periodicamente nos pacientes incluídos no protocolo. Consideramos que esta deveria ser uma pratica a ser adotada no Brasil em todos os casos da doença. Acreditamos que a não aprovação da incorporação do medicamento neste momento irá restringir demasiadamente o tratamento para um grupo significativo de pacientes que poderiam ter real beneficio com seu uso.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O impacto ´pe baixo visto que o numero de pacientes beneficiado é baixo (menos de 100 pacientes)</p> <p>5ª - Sim, O protocolo técnico científico para Alfaelosulfase infelizmente apresenta um conteúdo técnico introdutório de baixíssima qualidade. A descrição inicial sobre a doença (pagina 1) a ser considerada para tratamento com a medicação contem erros conceituais graves, que podem caracterizar outros tipos de MPS, exceto a MPS IV-A. Como um exemplo pode ser citado o termo “contraturas articulares”. O acúmulo do queratan-sulfato causa alterações na estrutura do colágeno levando a frouxidão ligamentar, e não a contraturas. Este é apenas um exemplo da falta de conhecimento sobre a condição rara descrita neste PTC, o que já desmerece a sua consideração técnico-científica. Gostaríamos que fosse citada a referencia do estudo clinico onde houve o teste da caminhada de 12 minutos, uma vez que ate onde temos conhecimento o</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>estudo clinico de fase III envolveu caminhada de 6 minutos. No que diz respeito ao estudo clinico citado consideramos que a interpretação dos resultados é equivocada pelo relatório, uma vez que ao contrario do citado, se o grupo do tratamento tinha resultados inferiores no teste da caminhada, seria muito difícil que em 6 meses conseguisse ultrapassar o grupo placebo, fato que ocorreu. A aprovação do tratamento para esta doença foi mundialmente posterior a todas as demais mucopolissacaridoses ate o momento, portanto a documentação científica sobre desfechos que envolvem sobrevida necessitam de avaliação mais longa. Além disso, do ponto de vista clinico, observa-se características distintas das demais mucopolissacaridoses, com padrão de apresentação mais displasico e articular, com consequências respiratórias obvias e provável sobrevida mais longa pelo menor comprometimento valvar cardíaco. Por outro lado, a dor é uma manifestação comum que reduz a qualidade de vida e a mobilidade. Considerando esta historia natural, os desfechos escolhidos para os estudos certamente subestimam a gravidade da doença no longo prazo. Em alguns países a aprovação da medicação tem sofrido restrições pelos desfechos rápidos menos evidentes. Em contraposição, muitas decisões governamentais no exterior foram revertidas para aprovação condicional, mediante seguimento sistemático e demonstração do beneficio periodicamente nos pacientes incluídos no protocolo. Consideramos que esta deveria ser uma pratica a ser adotada no Brasil em todos os casos da doença. Acreditamos que a não aprovação da incorporação do medicamento neste momento irá restringir demasiadamente o tratamento para um grupo significativo de pacientes que poderiam ter real beneficio com seu uso.</p>	
28/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esta medicação é importante para nossa vida</p> <p>2ª - Sim, Depois dessa medicação me sinto bem melhor</p> <p>3ª - Sim, O número de minhas internações diminuíram bastante</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Eu, como paciente relato que minha qualidade de vida melhorou bastante</p>	
28/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é muito importante para nossas vidas</p> <p>2ª - Sim, Depois da medicação me sinto bem melhor</p> <p>3ª - Sim, O meu número de internações diminuíram bastante</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Eu como paciente relato que minha qualidade de vida está bem melhor</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa medicação é muito importante para nossa vida  2ª - Sim, Com essa medicação minhas internações diminuíram bastante  3ª - Sim,  4ª - Sim, Outras contribuições  5ª - Sim, Relato que com essa medicação minha qualidade de vida está bem melhor	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Alfaelossulfase para pacientes com mucopolissacaridose tipo IVA (MPS IVA; síndrome de Morquio A). A MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA Doença rara, com prevalência estimada entre 0,33 e 0,5 por 100.000 nascidos vivos. Números precisos de incidência não estão disponíveis em nosso país, a Sociedade de MPS estima 153 pacientes com esse diagnóstico no Brasil. Não há uma rotina de screening populacional, ou seja, essa doença não está incluída no Programa Nacional de Triagem Neonatal (Portaria MS/GM nº 822, de 06/06/2001). Fonte: <a href="http://www.ufrgs.br/redempbrasil/A">http://www.ufrgs.br/redempbrasil/A</a> Resolução Conselho Nacional de Saúde Nº563, de 10 de novembro de 2017, definiu como doença ultrarrara a doença crônica e debilitante ou que ameace a vida, com incidência menor ou igual a 1 (um) caso para cada 50.000 (cinquenta mil) habitantes. Por tanto, MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA é uma doença ultrarrara. A padronização da definição de Doença Rara é importante para o alinhamento de todas as ações/linguagens, a serem desenvolvidas no SUS. Pergunto: Porque a CONITEC não pode recomendar para doenças ultrarraras, da natureza da MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA, que a farmacêutica solicitante do PCDT, faça a inclusão do medicamento autorizado pela ANVISA, pela RDC Nº 38 da ANVISA; Registro em Circunstância Excepcional RESOLUÇÃO - RDC Nº 38, DE 12 DE AGOSTO DE 2013. Aprova o regulamento para os programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. Art. 1º Fica aprovado o regulamento para condução dos programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. Art. 2º Para os efeitos desta Resolução, além das definições estabelecidas no art. 4º da Lei nº 5.991, de 17 de dezembro de 1973, e no artigo 3º da Lei nº 6.360 de 23 de setembro de 1976, são adotadas as seguintes definições: - comunicado especial específico para acesso expandido e uso compassivo: documento de caráter autorizador, emitido pela ANVISA, necessário para a execução de um determinado programa assistencial no Brasil de medicamento novo, promissor, ainda sem registro na Anvisa e quando aplicável, para a solicitação de licenciamento de importação do(s) medicamento(s) necessário(s) para a condução do programa assistencial; - doença debilitante grave: aquela que prejudica substancialmente os seus portadores no desempenho das tarefas da vida diária e doença crônica que, se não tratada, progredirá na maioria dos casos, levando a perdas cumulativas de autonomia, a sequelas ou à morte; Alfaelossulfase é uma terapia de reposição enzimática de longo prazo, em pacientes com diagnóstico confirmado de mucopolissacaridose Tipo IVA, preenchendo plenamente o pré-requisito para ser classificado: como doença ultrarrara e medicamento órfão, tipo chave x fechadura. Avaliação de Impacto Orçamentário 1º) Países como o Canadá, como estratégia de redução de custo pelo fabricante, praticam a compra de medicamento do perfil do Gasulfase, no modelo de CONTRATO DE RISCO COMPARTILHADO (risk sharing); O modelo pioneiro no Brasil foi aplicado pela Saúde Suplementar - Unimed de São José do Rio Preto – SP com GSK Oncologia. Atualmente, ele é utilizado para pacientes com câncer de mama HER2+, metastático, em segunda linha de tratamento. Os pacientes têm acesso ao Tykerb® (lapatinibe), medicamento da GSK aprovado pela ANVISA no Brasil (não avaliado pela CONITEC e não incorporado ao RENAME). O Risco Compartilhado (risk sharing) é um acordo entre uma fonte financiadora da saúde – neste caso, os planos de saúde – e um produtor de insumos, materiais ou medicamentos – neste caso, a indústria farmacêutica. O pagamento pelo produto é vinculado ao desempenho (Eficácia e segurança). O risco compartilhado é uma forma de a indústria poder injetar recursos</p>	

no sistema de saúde. A matemática é simples. Baseados nos desfechos clínicos esperados, o governo paga 100% do tratamento, caso o desfecho clínico seja alcançado. Caso não seja, a indústria reembolsa 100% do custeio do medicamento para o governo. Outro benefício é a criação de registro de patologia, com análise de desempenho de tecnologias no mundo real e a geração de novas evidências, assim como, fãrmaco vigilância ativa, para avaliação dos efeitos adversos, da eficácia, eficiência e efetividade de cada medicamento. 2º) Discutir o impacto orçamentário de medicamentos órfãos de alto – custo, não levando em conta, que a via alternativa de acesso/garantia a esses medicamentos é a via judicial, é esquecer que a sustentabilidade do SUS, estará comprometida de todo modo, a CONITEC recomendando ou não a inclusão dessa tecnologia. A lista é bem ampla de tratamentos obtidos por via judicial e movidos contra os três entes federativos, da gestão do SUS. O preocupante é que a via judicial se tornou, a via comprometedora da sustentabilidade econômica do SUS e a via atraente para as indústrias farmacêuticas, já que a compra governamental por via judicial, se dá com o preço cheio (40% a mais, do preço negociado com o MS), fora dos processos licitatórios e em tempo recorde de 48 a 72 horas. “Segundo pesquisa realizada pelo demandante da tecnologia com base em unidades comercializadas, estima-se que no Brasil há 183 pacientes”. A farmacêutica sabe o número de doentes da área pública e da saúde suplementar, que têm a doença confirmada, onde eles são domiciliados, quais são e onde estão os serviços da Saúde, nos quais há médicos especialistas que fazem o seguimento, acompanhamento e tratamento, dessa doença. Além de ter acesso às ONGs/Doenças – Doentes - Familiares e a nova especialidade do Direito – ADVOCACY em Saúde. Deveríamos entender que a solicitação do PCDT é uma ferramenta para abrir negociação, não conflituosa de preço e compra, pelo MS. Caso contrário, a compra acontecerá de todo modo, via judicial, ao preço e compra supracitado. Experiência dos outros países 1º) Nos Estados Unidos foi criada em 1982, uma entidade para lidar especificamente com essa modalidade de medicamentos, o Office of Orphan Products Development (OOPD), vinculado à Food and Drug Administration. Esse órgão se baseou inicialmente em critérios econômicos para o desenvolvimento de medicamentos órfãos, quando instituiu o Orphan Drug Act (ODA), em 1983. No entanto em 2004, quando esse órgão, revisou a legislação, ele adotou o critério epidemiológico, para o desenvolvimento desse trabalho; a) Ser mais efetivo que o medicamento disponível e mais seguro que o aprovado anteriormente (registro de patologia x análise da série histórica registrada); b) No caso de ser um novo medicamento órfão, este novo produto, apesar de não garantir efetividade ou segurança, deve demonstrar que contribuirá significativamente para o tratamento do paciente/doença; O OOPD analisa produtos médicos que são promissores para o tratamento de doenças raras, trabalhando em conjunto com médicos, academia, centros de pesquisa, entidades profissionais, agências governamentais, indústria e grupos de pacientes com doenças raras. 2º) Na Europa quem trata de medicamentos órfãos é o Committee for Orphan Medicinal Products (COMP), da European Medicines Agency (EMA), desde 1999. No início, esse comitê adotou critérios epidemiológicos para suas avaliações, por considerá-los mais vantajosos do que os econômicos, conforme o Regulamento 141/199976. A EMA parte do princípio de que a indústria farmacêutica não tem interesse em desenvolver um medicamento órfão, nas condições normais de mercado e oferece incentivos para o desenvolvimento desses produtos. O COMP avalia os pedidos de designação de um determinado medicamento, como órfão. O diferencial, no caso de deferimento do pedido, é que essa droga já adquire o

status de órfão, havendo incentivos nesse caso, para seu desenvolvimento, como: reduções de taxas de comercialização, autorizações e proteção no mercado quando ele estiver autorizado. O COMP possui três cadeiras para representantes de organizações de pacientes, que são nomeados pela Comissão Europeia. 3º) Austrália - O serviço de saúde público australiano, também conhecido como Medicare, é universal, garantindo cobertura para todos os cidadãos australianos. O programa Life Saving Drugs Program fornece acesso totalmente subsidiado para pacientes elegíveis a medicamentos caros e salvadores de vidas para doenças potencialmente fatais e raras. Fonte: <http://www.health.gov.au/lstdp>

3ª - Sim, Alfaelossulfase para pacientes com mucopolissacaridose tipo IVA (MPS IVA; síndrome de Morquio A). A MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA Doença rara, com prevalência estimada entre 0,33 e 0,5 por 100.000 nascidos vivos. Números precisos de incidência não estão disponíveis em nosso país, a Sociedade de MPS estima 153 pacientes com esse diagnóstico no Brasil. Não há uma rotina de screening populacional, ou seja, essa doença não está incluída no Programa Nacional de Triagem Neonatal (Portaria MS/GM nº 822, de 06/06/2001). Fonte: [http://www.ufrgs.br/redempsbrasil/A Resolução Conselho Nacional de Saúde Nº563, de 10 de novembro de 2017](http://www.ufrgs.br/redempsbrasil/A%20Resolu%C3%A7%C3%A3o%20do%20Conselho%20Nacional%20de%20Sa%C3%BAde%20N%C3%BA563,%20de%2010%20de%20novembro%20de%202017), definiu como doença ultrarrara a doença crônica e debilitante ou que ameace a vida, com incidência menor ou igual a 1 (um) caso para cada 50.000 (cinquenta mil) habitantes. Por tanto, MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA é uma doença ultrarrara. A padronização da definição de Doença Rara é importante para o alinhamento de todas as ações/linguagens, a serem desenvolvidas no SUS. Pergunto: Porque a CONITEC não pode recomendar para doenças ultrarraras, da natureza da MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA, que a farmacêutica solicitante do PCDT, faça a inclusão do medicamento autorizado pela ANVISA, pela RDC Nº 38 da ANVISA; Registro em Circunstância Excepcional RESOLUÇÃO - RDC Nº 38, DE 12 DE AGOSTO DE 2013. Aprova o regulamento para os programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. Art. 1º Fica aprovado o regulamento para condução dos programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. Art. 2º Para os efeitos desta Resolução, além das definições estabelecidas no art. 4º da Lei nº 5.991, de 17 de dezembro de 1973, e no artigo 3º da Lei nº 6.360 de 23 de setembro de 1976, são adotadas as seguintes definições: Comunicado especial específico para acesso expandido e uso compassivo: documento de caráter autorizador, emitido pela ANVISA, necessário para a execução de um determinado programa assistencial no Brasil de medicamento novo, promissor, ainda sem registro na Anvisa e quando aplicável, para a solicitação de licenciamento de importação do(s) medicamento(s) necessário(s) para a condução do programa assistencial; Doença debilitante grave: aquela que prejudica substancialmente os seus portadores no desempenho das tarefas da vida diária e doença crônica que, se não tratada, progredirá na maioria dos casos, levando a perdas cumulativas de autonomia, a sequelas ou à morte; Alfaelossulfase é uma terapia de reposição enzimática de longo prazo, em pacientes com diagnóstico confirmado de mucopolissacaridose Tipo IVa, preenchendo plenamente o pré-requisito para ser classificado: como doença ultrarrara e medicamento órfão, tipo chave x fechadura. Avaliação de Impacto Orçamentário 1º) Países como o Canadá, como estratégia de redução de custo pelo fabricante, praticam a compra de medicamento do perfil do Gasulfase, no modelo de CONTRATO DE RISCO COMPARTILHADO (risk sharing); O modelo pioneiro no Brasil foi aplicado pela Saúde Suplementar - Unimed de São José do Rio Preto – SP com GSK Oncologia. Atualmente, ele é

utilizado para pacientes com câncer de mama HER2+, metastático, em segunda linha de tratamento. Os pacientes têm acesso ao Tykerb® (lapatinibe), medicamento da GSK aprovado pela ANVISA no Brasil (não avaliado pela CONITEC e não incorporado ao RENAME). O Risco Compartilhado (risk sharing) é um acordo entre uma fonte financiadora da saúde – neste caso, os planos de saúde – e um produtor de insumos, materiais ou medicamentos – neste caso, a indústria farmacêutica. O pagamento pelo produto é vinculado ao desempenho (Eficácia e segurança). O risco compartilhado é uma forma de a indústria poder injetar recursos no sistema de saúde. A matemática é simples. Baseados nos desfechos clínicos esperados, o governo paga 100% do tratamento, caso o desfecho clínico seja alcançado. Caso não seja, a indústria reembolsa 100% do custeio do medicamento para o governo. Outro benefício é a criação de registro de patologia, com análise de desempenho de tecnologias no mundo real e a geração de novas evidências, assim como, fármaco vigilância ativa, para avaliação dos efeitos adversos, da eficácia, eficiência e efetividade de cada medicamento. 2º) Discutir o impacto orçamentário de medicamentos órfãos de alto – custo, não levando em conta, que a via alternativa de acesso/garantia a esses medicamentos é a via judicial, é esquecer que a sustentabilidade do SUS, estará comprometida de todo modo, a CONITEC recomendando ou não a inclusão dessa tecnologia. A lista é bem ampla de tratamentos obtidos por via judicial e movidos contra os três entes federativos, da gestão do SUS. O preocupante é que a via judicial se tornou, a via comprometedora da sustentabilidade econômica do SUS e a via atraente para as indústrias farmacêuticas, já que a compra governamental por via judicial, se dá com o preço cheio (40% a mais, do preço negociado com o MS), fora dos processos licitatórios e em tempo recorde de 48 a 72 horas. “Segundo pesquisa realizada pelo demandante da tecnologia com base em unidades comercializadas, estima-se que no Brasil há 183 pacientes”. A farmacêutica sabe o número de doentes da área pública e da saúde suplementar, que têm a doença confirmada, onde eles são domiciliados, quais são e onde estão os serviços da Saúde, nos quais há médicos especialistas que fazem o seguimento, acompanhamento e tratamento, dessa doença. Além de ter acesso às ONGs/Doenças – Doentes - Familiares e a nova especialidade do Direito – ADVOCACY em Saúde. Deveríamos entender que a solicitação do PCDT é uma ferramenta para abrir negociação, não conflituosa de preço e compra, pelo MS. Caso contrário, a compra acontecerá de todo modo, via judicial, ao preço e compra supracitado. Experiência dos outros países 1º) Nos Estados Unidos foi criada em 1982, uma entidade para lidar especificamente com essa modalidade de medicamentos, o Office of Orphan Products Development (OOPD), vinculado à Food and Drug Administration. Esse órgão se baseou inicialmente em critérios econômicos para o desenvolvimento de medicamentos órfãos, quando instituiu o Orphan Drug Act (ODA), em 1983. No entanto em 2004, quando esse órgão, revisou a legislação, ele adotou o critério epidemiológico, para o desenvolvimento desse trabalho; a) Ser mais efetivo que o medicamento disponível e mais seguro que o aprovado anteriormente (registro de patologia x análise da série histórica registrada); b) No caso de ser um novo medicamento órfão, este novo produto, apesar de não garantir efetividade ou segurança, deve demonstrar que contribuirá significativamente para o tratamento do paciente/doença; O OOPD analisa produtos médicos que são promissores para o tratamento de doenças raras, trabalhando em conjunto com médicos, academia, centros de pesquisa, entidades profissionais, agências governamentais, indústria e grupos de pacientes com doenças raras. 2º) Na Europa quem trata de medicamentos órfãos é o Committee for Orphan Medicinal Products

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>(COMP), da European Medicines Agency (EMA), desde 1999. No início, esse comitê adotou critérios epidemiológicos para suas avaliações, por considerá-los mais vantajosos do que os econômicos, conforme o Regulamento 141/199976. A EMA parte do princípio de que a indústria farmacêutica não tem interesse em desenvolver um medicamento órfão, nas condições normais de mercado e oferece incentivos para o desenvolvimento desses produtos. O COMP avalia os pedidos de designação de um determinado medicamento, como órfão. O diferencial, no caso de deferimento do pedido, é que essa droga já adquire o status de órfão, havendo incentivos nesse caso, para seu desenvolvimento, como: reduções de taxas de comercialização, autorizações e proteção no mercado quando ele estiver autorizado. O COMP possui três cadeiras para representantes de organizações de pacientes, que são nomeados pela Comissão Europeia. 3º) Austrália - O serviço de saúde público australiano, também conhecido como Medicare, é universal, garantindo cobertura para todos os cidadãos australianos. O programa Life Saving Drugs Program fornece acesso totalmente subsidiado para pacientes elegíveis a medicamentos caros e salvadores de vidas para doenças potencialmente fatais e raras. Fonte: <a href="http://www.health.gov.au/lscp">http://www.health.gov.au/lscp</a></p> <p>4ª - Sim, Alfaelosulfase para pacientes com mucopolissacaridose tipo IVA (MPS IVA; síndrome de Morquio A). A MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA Doença rara, com prevalência estimada entre 0,33 e 0,5 por 100.000 nascidos vivos. Números precisos de incidência não estão disponíveis em nosso país, a Sociedade de MPS estima 153 pacientes com esse diagnóstico no Brasil. Não há uma rotina de screening populacional, ou seja, essa doença não está incluída no Programa Nacional de Triagem Neonatal (Portaria MS/GM nº 822, de 06/06/2001). Fonte: <a href="http://www.ufrgs.br/redempsbrasil/A">http://www.ufrgs.br/redempsbrasil/A</a> Resolução Conselho Nacional de Saúde Nº563, de 10 de novembro de 2017, definiu como doença ultrarrara a doença crônica e debilitante ou que ameaça a vida, com incidência menor ou igual a 1 (um) caso para cada 50.000 (cinquenta mil) habitantes. Por tanto, MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA é uma doença ultrarrara. A padronização da definição de Doença Rara é importante para o alinhamento de todas as ações/linguagens, a serem desenvolvidas no SUS. Pergunto: Porque a CONITEC não pode recomendar para doenças ultrarraras, da natureza da MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA, que a farmacêutica solicitante do PCDT, faça a inclusão do medicamento autorizado pela ANVISA, pela RDC Nº 38 da ANVISA; Registro em Circunstância Excepcional RESOLUÇÃO - RDC Nº 38, DE 12 DE AGOSTO DE 2013. Aprova o regulamento para os programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. Art. 1º Fica aprovado o regulamento para condução dos programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. Art. 2º Para os efeitos desta Resolução, além das definições estabelecidas no art. 4º da Lei nº 5.991, de 17 de dezembro de 1973, e no artigo 3º da Lei nº 6.360 de 23 de setembro de 1976, são adotadas as seguintes definições: - comunicado especial específico para acesso expandido e uso compassivo: documento de caráter autorizador, emitido pela ANVISA, necessário para a execução de um determinado programa assistencial no Brasil de medicamento novo, promissor, ainda sem registro na Anvisa e quando aplicável, para a solicitação de licenciamento de importação do(s) medicamento(s) necessário(s) para a condução do programa assistencial; - doença debilitante grave: aquela que prejudica substancialmente os seus portadores no desempenho das tarefas da vida diária e doença crônica que, se não tratada, progredirá na maioria dos casos, levando a perdas cumulativas de autonomia, a sequelas ou à morte; A Alfaelosulfase é uma terapia de</p>	

reposição enzimática de longo prazo, em pacientes com diagnóstico confirmado de mucopolissacaridose Tipo IVa, preenchendo plenamente o pré-requisito para ser classificado: como doença ultrarrara e medicamento órfão, tipo chave x fechadura. Avaliação de Impacto Orçamentário<sup>1º</sup>) Países como o Canadá, como estratégia de redução de custo pelo fabricante, praticam a compra de medicamento do perfil do Gasulfase, no modelo de CONTRATO DE RISCO COMPARTILHADO (risk sharing); O modelo pioneiro no Brasil foi aplicado pela Saúde Suplementar - Unimed de São José do Rio Preto – SP com GSK Oncologia. Atualmente, ele é utilizado para pacientes com câncer de mama HER2+, metastático, em segunda linha de tratamento. Os pacientes têm acesso ao Tykerb® (lapatinibe), medicamento da GSK aprovado pela ANVISA no Brasil (não avaliado pela CONITEC e não incorporado ao RENAME). O Risco Compartilhado (risk sharing) é um acordo entre uma fonte financiadora da saúde – neste caso, os planos de saúde – e um produtor de insumos, materiais ou medicamentos – neste caso, a indústria farmacêutica. O pagamento pelo produto é vinculado ao desempenho (Eficácia e segurança). O risco compartilhado é uma forma de a indústria poder injetar recursos no sistema de saúde. A matemática é simples. Baseados nos desfechos clínicos esperados, o governo paga 100% do tratamento, caso o desfecho clínico seja alcançado. Caso não seja, a indústria reembolsa 100% do custeio do medicamento para o governo. Outro benefício é a criação de registro de patologia, com análise de desempenho de tecnologias no mundo real e a geração de novas evidências, assim como, fãrmaco vigilância ativa, para avaliação dos efeitos adversos, da eficácia, eficiência e efetividade de cada medicamento. 2º) Discutir o impacto orçamentário de medicamentos órfãos de alto – custo, não levando em conta, que a via alternativa de acesso/garantia a esses medicamentos é a via judicial, é esquecer que a sustentabilidade do SUS, estará comprometida de todo modo, a CONITEC recomendando ou não a inclusão dessa tecnologia. A lista é bem ampla de tratamentos obtidos por via judicial e movidos contra os três entes federativos, da gestão do SUS. O preocupante é que a via judicial se tornou, a via comprometedor da sustentabilidade econômica do SUS e a via atraente para as indústrias farmacêuticas, já que a compra governamental por via judicial, se dá com o preço cheio (40% a mais, do preço negociado com o MS), fora dos processos licitatórios e em tempo recorde de 48 a 72 horas. “Segundo pesquisa realizada pelo demandante da tecnologia com base em unidades comercializadas, estima-se que no Brasil há 183 pacientes”. A farmacêutica sabe o número de doentes da área pública e da saúde suplementar, que têm a doença confirmada, onde eles são domiciliados, quais são e onde estão os serviços da Saúde, nos quais há médicos especialistas que fazem o seguimento, acompanhamento e tratamento, dessa doença. Além de ter acesso às ONGs/Doenças – Doentes - Familiares e a nova especialidade do Direito – ADVOCACY em Saúde. Deveríamos entender que a solicitação do PCDT é uma ferramenta para abrir negociação, não conflituosa de preço e compra, pelo MS. Caso contrário, a compra acontecerá de todo modo, via judicial, ao preço e compra supracitado. Experiência dos outros países<sup>1º</sup>) Nos Estados Unidos foi criada em 1982, uma entidade para lidar especificamente com essa modalidade de medicamentos, o Office of Orphan Products Development (OOPD), vinculado à Food and Drug Administration. Esse órgão se baseou inicialmente em critérios econômicos para o desenvolvimento de medicamentos órfãos, quando instituiu o Orphan Drug Act (ODA), em 1983. No entanto em 2004, quando esse órgão, revisou a legislação, ele adotou o critério epidemiológico, para o desenvolvimento desse trabalho; a) Ser mais efetivo que o medicamento disponível e mais seguro que o aprovado anteriormente

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>(registro de patologia x análise da série histórica registrada);b) No caso de ser um novo medicamento órfão, este novo produto, apesar de não garantir efetividade ou segurança, deve demonstrar que contribuirá significativamente para o tratamento do paciente/doença; O OOPD analisa produtos médicos que são promissores para o tratamento de doenças raras, trabalhando em conjunto com médicos, academia, centros de pesquisa, entidades profissionais, agências governamentais, indústria e grupos de pacientes com doenças raras. 2º) Na Europa quem trata de medicamentos órfãos é o Committee for Orphan Medicinal Products (COMP), da European Medicines Agency (EMA), desde 1999. No início, esse comitê adotou critérios epidemiológicos para suas avaliações, por considerá-los mais vantajosos do que os econômicos, conforme o Regulamento 141/199976. A EMA parte do princípio de que a indústria farmacêutica não tem interesse em desenvolver um medicamento órfão, nas condições normais de mercado e oferece incentivos para o desenvolvimento desses produtos. O COMP avalia os pedidos de designação de um determinado medicamento, como órfão. O diferencial, no caso de deferimento do pedido, é que essa droga já adquire o status de órfão, havendo incentivos nesse caso, para seu desenvolvimento, como: reduções de taxas de comercialização, autorizações e proteção no mercado quando ele estiver autorizado. O COMP possui três cadeiras para representantes de organizações de pacientes, que são nomeados pela Comissão Europeia. 3º) Austrália - O serviço de saúde público australiano, também conhecido como Medicare, é universal, garantindo cobertura para todos os cidadãos australianos. O programa Life Saving Drugs Program fornece acesso totalmente subsidiado para pacientes elegíveis a medicamentos caros e salvadores de vidas para doenças potencialmente fatais e raras. Fonte: <a href="http://www.health.gov.au/lspd">http://www.health.gov.au/lspd</a></p> <p>5ª - Sim, Alfaelosulfase para pacientes com mucopolissacaridose tipo IVA (MPS IVA; síndrome de Morquio A).A MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA Doença rara, com prevalência estimada entre 0,33 e 0,5 por 100.000 nascidos vivos. Números precisos de incidência não estão disponíveis em nosso país, a Sociedade de MPS estima 153 pacientes com esse diagnóstico no Brasil. Não há uma rotina de screening populacional, ou seja, essa doença não está incluída no Programa Nacional de Triagem Neonatal (Portaria MS/GM nº 822, de 06/06/2001). Fonte: <a href="http://www.ufrgs.br/redempsbrasil/A">http://www.ufrgs.br/redempsbrasil/A</a> Resolução Conselho Nacional de Saúde Nº563, de 10 de novembro de 2017, definiu como doença ultrarrara a doença crônica e debilitante ou que ameace a vida, com incidência menor ou igual a 1 (um) caso para cada 50.000 (cinquenta mil) habitantes. Por tanto, MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA é uma doença ultrarrara. A padronização da definição de Doença Rara é importante para o alinhamento de todas as ações/linguagens, a serem desenvolvidas no SUS. Pergunto: Porque a CONITEC não pode recomendar para doenças ultrarraras, da natureza da MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA, que a farmacêutica solicitante do PCDT, faça a inclusão do medicamento autorizado pela ANVISA, pela RDC Nº 38 da ANVISA; Registro em Circunstância Excepcional RESOLUÇÃO - RDC Nº 38, DE 12 DE AGOSTO DE 2013. Aprova o regulamento para os programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. Art. 1º Fica aprovado o regulamento para condução dos programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo. Art. 2º Para os efeitos desta Resolução, além das definições estabelecidas no art. 4º da Lei nº 5.991, de 17 de dezembro de 1973, e no artigo 3º da Lei nº 6.360 de 23 de setembro de 1976, são adotadas as seguintes definições: Art. 3º comunicado especial específico para acesso expandido e uso compassivo: documento de caráter autorizador,</p>	

emitido pela ANVISA, necessário para a execução de um determinado programa assistencial no Brasil de medicamento novo, promissor, ainda sem registro na Anvisa e quando aplicável, para a solicitação de licenciamento de importação do(s) medicamento(s) necessário(s) para a condução do programa assistencial; • - doença debilitante grave: aquela que prejudica substancialmente os seus portadores no desempenho das tarefas da vida diária e doença crônica que, se não tratada, progredirá na maioria dos casos, levando a perdas cumulativas de autonomia, a sequelas ou à morte; A Alfaelossulfase é uma terapia de reposição enzimática de longo prazo, em pacientes com diagnóstico confirmado de mucopolissacaridose Tipo IVa, preenchendo plenamente o pré-requisito para ser classificado: como doença ultrarrara e medicamento órfão, tipo chave x fechadura. Avaliação de Impacto Orçamentário<sup>1º</sup>) Países como o Canadá, como estratégia de redução de custo pelo fabricante, praticam a compra de medicamento do perfil do Gasulfase, no modelo de CONTRATO DE RISCO COMPARTILHADO (risk sharing); O modelo pioneiro no Brasil foi aplicado pela Saúde Suplementar - Unimed de São José do Rio Preto – SP com GSK Oncologia. Atualmente, ele é utilizado para pacientes com câncer de mama HER2+, metastático, em segunda linha de tratamento. Os pacientes têm acesso ao Tykerb® (lapatinibe), medicamento da GSK aprovado pela ANVISA no Brasil (não avaliado pela CONITEC e não incorporado ao RENAME). O Risco Compartilhado (risk sharing) é um acordo entre uma fonte financiadora da saúde – neste caso, os planos de saúde – e um produtor de insumos, materiais ou medicamentos – neste caso, a indústria farmacêutica. O pagamento pelo produto é vinculado ao desempenho (Eficácia e segurança). O risco compartilhado é uma forma de a indústria poder injetar recursos no sistema de saúde. A matemática é simples. Baseados nos desfechos clínicos esperados, o governo paga 100% do tratamento, caso o desfecho clínico seja alcançado. Caso não seja, a indústria reembolsa 100% do custeio do medicamento para o governo. Outro benefício é a criação de registro de patologia, com análise de desempenho de tecnologias no mundo real e a geração de novas evidências, assim como, fãrmaco vigilância ativa, para avaliação dos efeitos adversos, da eficácia, eficiência e efetividade de cada medicamento. 2º) Discutir o impacto orçamentário de medicamentos órfãos de alto – custo, não levando em conta, que a via alternativa de acesso/garantia a esses medicamentos é a via judicial, é esquecer que a sustentabilidade do SUS, estará comprometida de todo modo, a CONITEC recomendando ou não a inclusão dessa tecnologia. A lista é bem ampla de tratamentos obtidos por via judicial e movidos contra os três entes federativos, da gestão do SUS. O preocupante é que a via judicial se tornou, a via comprometedora da sustentabilidade econômica do SUS e a via atraente para as indústrias farmacêuticas, já que a compra governamental por via judicial, se dá com o preço cheio (40% a mais, do preço negociado com o MS), fora dos processos licitatórios e em tempo recorde de 48 a 72 horas. “Segundo pesquisa realizada pelo demandante da tecnologia com base em unidades comercializadas, estima-se que no Brasil há 183 pacientes”. A farmacêutica sabe o número de doentes da área pública e da saúde suplementar, que têm a doença confirmada, onde eles são domiciliados, quais são e onde estão os serviços da Saúde, nos quais há médicos especialistas que fazem o seguimento, acompanhamento e tratamento, dessa doença. Além de ter acesso às ONGs/Doenças – Doentes - Familiares e a nova especialidade do Direito – ADVOCACY em Saúde. Deveríamos entender que a solicitação do PCDT é uma ferramenta para abrir negociação, não conflituosa de preço e compra, pelo MS. Caso contrário, a compra acontecerá de todo modo, via judicial, ao preço e compra supracitado. Experiência dos outros

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>países<sup>1º</sup>) Nos Estados Unidos foi criada em 1982, uma entidade para lidar especificamente com essa modalidade de medicamentos, o Office of Orphan Products Development (OOPD), vinculado à Food and Drug Administration. Esse órgão se baseou inicialmente em critérios econômicos para o desenvolvimento de medicamentos órfãos, quando instituiu o Orphan Drug Act (ODA), em 1983. No entanto em 2004, quando esse órgão, revisou a legislação, ele adotou o critério epidemiológico, para o desenvolvimento desse trabalho; a) Ser mais efetivo que o medicamento disponível e mais seguro que o aprovado anteriormente (registro de patologia x análise da série histórica registrada);b) No caso de ser um novo medicamento órfão, este novo produto, apesar de não garantir efetividade ou segurança, deve demonstrar que contribuirá significativamente para o tratamento do paciente/doença; O OOPD analisa produtos médicos que são promissores para o tratamento de doenças raras, trabalhando em conjunto com médicos, academia, centros de pesquisa, entidades profissionais, agências governamentais, indústria e grupos de pacientes com doenças raras. 2º) Na Europa quem trata de medicamentos órfãos é o Committee for Orphan Medicinal Products (COMP), da European Medicines Agency (EMA), desde 1999. No início, esse comitê adotou critérios epidemiológicos para suas avaliações, por considerá-los mais vantajosos do que os econômicos, conforme o Regulamento 141/199976. A EMA parte do princípio de que a indústria farmacêutica não tem interesse em desenvolver um medicamento órfão, nas condições normais de mercado e oferece incentivos para o desenvolvimento desses produtos. O COMP avalia os pedidos de designação de um determinado medicamento, como órfão. O diferencial, no caso de deferimento do pedido, é que essa droga já adquire o status de órfão, havendo incentivos nesse caso, para seu desenvolvimento, como: reduções de taxas de comercialização, autorizações e proteção no mercado quando ele estiver autorizado. O COMP possui três cadeiras para representantes de organizações de pacientes, que são nomeados pela Comissão Europeia. 3º) Austrália - O serviço de saúde público australiano, também conhecido como Medicare, é universal, garantindo cobertura para todos os cidadãos australianos. O programa Life Saving Drugs Program fornece acesso totalmente subsidiado para pacientes elegíveis a medicamentos caros e salvadores de vidas para doenças potencialmente fatais e raras. Fonte: <a href="http://www.health.gov.au/lmdp">http://www.health.gov.au/lmdp</a></p>	
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Na unidade em que trabalho, atendo um jovem com a Morquio A, doença degenerativa, que devido ao diagnóstico tardio, comprometeu em muito o tratamento e estabilização da doença.</p> <p>2ª - Sim, Melhora significativa no padrão respiratório do paciente</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho uma criança que quando iniciou o tratamento apresentava muitas dores ósseas e musculares com injeção de MMII após início das drogas esses sintomas foram sanados e apresentando melhora do quadro.</p> <p>2ª - Sim, melhora das dores musculares</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. pois foi visto a evolução dos pacientes desde o início do tratamento até os dias atuais .</p> <p>2ª - Sim, melhora das dores musculares .</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim,</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A CONITEC cria um viés de análise, ao basear seu posicionamento apenas no trabalho de fase 3 de criação do medicamento, deixando de considerar alguns outros trabalhos realizados, inclusive no Brasil, que mostram resultados ainda mais satisfatórios, quanto mais cedo o tratamento com a Elosulfase alfa é estabelecido. Outro dado importante é o número estimado de indivíduos a serem tratados. Esse número, embora teoricamente realista inicialmente, torna-se irreal quando sabemos que os governos em todos os seus níveis não presam por políticas públicas de prevenção das doenças a partir de uma triagem populacional melhor sistematizada e da orientação à população através de práticas médicas, como o aconselhamento genético.</p> <p>2ª - Sim, Outros estudos multicêntricos são categóricos ao mostrar que, a despeito do número de indivíduos acompanhados, a disparidade entre a efetividade na qualidade de vida dos pacientes e a morbimortalidade promovida pela doença cresce de forma significativa, quanto mais precocemente o tratamento é iniciado e mesmo em indivíduos com a terapêutica iniciada com eles já adultos. Esses dados reforçam os questionamentos das sociedades médicas que apontem no questionamento do impacto orçamentário.</p> <p>3ª - Sim, Só uma pergunta, qual o valor da qualidade de vida?</p> <p>4ª - Sim, Outros dois pontos importantíssimos que a CONITEC deixa de salientar e que são questionados pelas Sociedades Brasileiras de Genética Médica e de Triagem Neonatal a cada governo federal eleito são a falta de uma política nacional de triagem neonatal ampliada e personalizada a cada unidade da federação e a falta de uma política pública de formação profissional na área da saúde voltada para a prevenção das doenças, especialmente as genéticas, a partir da disseminação do ensino de genética médica nos cursos dessa área. A falta dessas duas políticas públicas possui impacto no orçamento nacional e na qualidade de vida da população infinitamente maior que o simples questionamento de uma terapia de reposição enzimática, pois vai muito mais além, interferindo nas dinâmicas populacionais e na estruturação e organização das famílias, todas penalizadas pelo simples desconhecimento de suas realidades.</p> <p>5ª - Sim, Sugiro à CONITEC que busque identificar e valorizar os trabalhos realizados no país à cerca de cada quadro a ser avaliado. Se possível, que sugira aos órgãos responsáveis a ampliação desses estudos nacionais para que busquem reproduzir o mais próximo possível os estudos estrangeiros que propõem as terapias em questão. Isso, não só ampliaria e reforçaria a ciência nacional, mas também a poria em destaque no cenário internacional, podendo trazer mais investimentos nessas áreas para o país.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/10/2018	Secretaria Estadual de Saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A CONITEC cria um viés de análise, ao basear seu posicionamento apenas no trabalho de fase 3 de criação do medicamento, deixando de considerar alguns outros trabalhos realizados, inclusive no Brasil, que mostram resultados ainda mais satisfatórios, quanto mais cedo o tratamento com a Elosulfase alfa é estabelecido. Outro dado importante é o número estimado de indivíduos a serem tratados. Esse número, embora teoricamente realista inicialmente, torna-se irreal quando sabemos que os governos em todos os seus níveis não presam por políticas públicas de prevenção das doenças a partir de uma triagem populacional melhor sistematizada e da orientação à população através de práticas médicas, como o aconselhamento genético.</p> <p>2ª - Sim, Alguns estudos multicêntricos são categóricos ao mostrar que, a despeito do número de indivíduos acompanhados, a disparidade entre a efetividade na qualidade de vida dos pacientes e a morbimortalidade promovida pela doença cresce de forma significativa, quanto mais precocemente o tratamento é iniciado e mesmo em indivíduos com a terapêutica iniciada com eles já adultos. Esses dados reforçam os questionamentos das sociedades médicas que apontarem no questionamento do impacto orçamentário.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Outros dois pontos importantíssimos que a CONITEC deixa de salientar e que são questionados pelas Sociedades Brasileiras de Genética Médica e de Triagem Neonatal a cada governo federal eleito são a falta de uma política nacional de triagem neonatal ampliada e personalizada a cada unidade da federação e a falta de uma política pública de formação profissional na área da saúde voltada para a prevenção das doenças, especialmente as genéticas, a partir da disseminação do ensino de genética médica nos cursos dessa área. A falta dessas duas políticas públicas possui impacto no orçamento nacional e na qualidade de vida da população infinitamente maior que o simples questionamento de uma terapia de reposição enzimática, pois vai muito mais além, interferindo nas dinâmicas populacionais e na estruturação e organização das famílias, todas penalizadas pelo simples desconhecimento de suas realidades.</p> <p>5ª - Sim, Sugiro à CONITEC que busque identificar e valorizar os trabalhos realizados no país à cerca de cada quadro a ser avaliado. Se possível, que sugira aos órgãos responsáveis a ampliação desses estudos nacionais para que busquem reproduzir o mais próximo possível os estudos estrangeiros que propõem as terapias em questão. Isso, não só ampliaria e reforçaria a ciência nacional, mas também a poria em destaque no cenário internacional, podendo trazer mais investimentos nessas áreas para o país.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tem uma criança de quando iniciou o tratamento ,hj esta bem melhor.</p> <p>2ª - Sim, sim melhora das dores musculares</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. PACIENTES TEM EVOLUÇÃO DURANTE O TRATAMENTO. 2ª - Sim, MELHORA DAS DORES MUSCULARES 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. pelas experiencias que tenho com MPS, ops paclENTES melhoram muito com a terapia de reposição enzimatica 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/10/2018	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/10/2018	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
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. SOU FAVORÁVEL À INCORPORAÇÃO DA ALFAELOSULFASE PARA PACIENTES COM MPS IV A OLIGOSSINTOMÁTICOS, EM FASE INICIAL DA DOENÇA, DEAMBULANTES, SEM COMPRESSÃO MEDULAR... ENFIM, COM CRITÉRIOS CLÍNICOS A SEREM DEFINIDOS POR GRUPO DE ESPECIALISTA</p> <p>2ª - Sim, A LITERATURA MOSTRA QUE A LONGO PRAZO A MEDICAÇÃO É SEGURA E EFICAZ, PODENDO EVITAR DESFECHOS CLÍNICOS DESFAVORÁVEIS JÁ CONHECIDOS PELA HISTÓRIA NATURAL DA DOENÇA.</p> <p>3ª - Sim, TRES PARA DOENÇAS RARAS NORMALMENTE NÃO SÃO CUSTO-EFETIVAS. NO ENTANTO, O MINISTÉRIO DA SAÚDE DEVE CENTRALIZAR AS COMPRAS, NEGOCIAR VALORES COM A INDÚSTRIA FARMACÊUTICA E UTILIZAR PROTOCOLOS CLÍNICOS BEM DEFINIDOS DA INDICAÇÃO, COM CRITÉRIOS DE INCLUSÃO, DE EXCLUSÃO E DE INTERRUPTÃO DO TRATAMENTO.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, O MINISTÉRIO DA SAÚDE PODERIA GARANTIR O ACESSO A TODOS AS CRIANÇAS COM MENOS DE 05 ANOS E OS COM MAIS IDADE SERIAM AVALIADOS POR EQUIPE DE ESPECIALISTA QUANTO AOS BENEFÍCIOS REAIS DO INÍCIO DA TRE EM FASE AVANÇADA DA DOENÇA. OUTRA QUESTÃO É OFERTAR ACONSELHAMENTO GENÉTICO A TODAS AS FAMÍLIAS DOS AFETADOS, BEM COMO TÉCNICAS DE REPRODUÇÃO ASSISTIDA COM O DIAGNÓSTICO GENÉTICO PRÉ-IMPLANTACIONAL AOS CASOS COM UM FILHO AFETADO QUE DESEJAM TER UM SEGUNDO FILHO, SEM CORRER O RISCO DE RECORRÊNCIA DE 25% ... GASTARIA-SE DE 30 A 40 MIL REAIS NA PREVENÇÃO DE UM NOVO CASO</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A nossa experiência clínica é menor do que a que temos com Galsulfase, mas o impressionante para mim desse medicamento, alfaelosulfase, é a melhora importante da dor que acompanha quase a vida toda dos pacientes. A única opção para o tratamento de MPS IVA é a alfaelosulfase e acho um desrespeito imenso com esses cidadãos afetados por essa grave doença genética rara que ficarão sem a única esperança que possuem.</p> <p>2ª - Sim, Como a dose é o dobro da utilizada em outras MPSs acredito que penetre na articulação diminuindo a inflamação, o que já havia sido demonstrado em cães. Dor crônica é uma das piores causas para comprometer a qualidade de vida de qualquer pessoa, é a primeira vez que vemos em pacientes com MPS uma melhora tão significativa da dor.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente pois os pacientes tem apenas esta opção para ter melhor qualidade de vida</p> <p>2ª - Sim, No estudo de 5 anos demonstra eficacia a longo prazo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não concordo. Vejo a visão do CONITEC para medicamentos órfãos muito restritiva</p> <p>2ª - Sim, Atendo 2 pacientes que com o uso fo medicamento apresentou melhora clínica substancial. Um deles evoluiu vom comprometimento esquelético coincidindo com o não recebimento do medicamento.</p> <p>3ª - Sim, Vejo a necessidade de uma verdadeira negociação com a indústria farmacêutica.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Estão pensando só no ponto de vista financeiro,pense se fosse seu filho!</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
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O terapia de reposição enzimática com elosulfase alfa é o único tratamento disponível para a doença de Morquio tipo A, uma condição ultra-rara, progressiva e debilitante que afeta múltiplos órgãos. Fui o investigador que mais incluiu paciente no estudo internacional multicêntrico fase III, e pude testemunhar os benefícios trazidos pela terapia, especialmente quando comparado aos dados do estudo de história natural, no qual nosso grupo também participou de forma expressiva.</p> <p>2ª - Sim, Embora as manifestações ósseas da doença sejam difíceis de ser revertidas pela terapia de reposição enzimática com elosulfase alfa, melhorias evidentes traduzidas pela redução de complicações e melhor qualidade de vida são observadas nos pacientes tratados, conforme demonstrado nos trabalhos em que tive a oportunidade de participar como co-autor (em anexo)</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Quero adicionar que desde 1973, ainda enquanto estudante de medicina, venho avaliando pacientes com a doença de Morquio, e pude acompanhar durante muito tempo a evolução trágica dessa doença. O panorama só começou a mudar com a terapia da reposição enzimática com elosulfase alfa, com benefícios evidentes em relação ao aparelho cardio-pulmonar, bem como em relação à disposição dos pacientes de uma maneira geral. Tenho a convicção de que esse tratamento irá se refletir em melhorias a longo prazo, mas para isso ficar demonstrado será necessário algum tempo, uma vez que a terapia só se tornou disponível 3 anos atrás. E os pacientes não podem esperar, pois não há outro tratamento e a doença é grave e progressiva.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há resultados positivos da qualidade de vida dos pacientes em tratamento com a referida medicação. Portanto, necessário as pessoas portadoras dessa síndrome.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	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
30/10/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pessoas que necessitam do tratamento já possuem muitos problemas com a doença, e esse tratamento contribui para uma evolução de melhora primordial para vida dos pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente pois os pacientes tem apenas esta opção para ter melhor qualidade de vida</p> <p>2ª - Sim, No estudo de 5 anos demonstra eficacia a longo prazo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. pois o uso de tecnologias voltadas a melhora de vida dos pacientes sempre são bem vindas, pois as mesmas são resultado de muito estudo e avaliações.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	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>	
30/10/2018	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
30/10/2018	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>	
30/10/2018	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>	
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo, pois a medicação é de suma importância para o tratamento dos nossos pacientes e na melhora na qualidade de vida dos mesmos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou medico responsável pelo acompanhamento de 03 pacientes portadores de MPS aqui no hospital em Unai, Hospital Municipal Joaquim Brochado e apesar de serem pacientes de MPS VI acompanho também em outros centros o tratamento de pacientes de MPS IV A com a alfaelofsulfase podendo perceber na vida dos pacientes os beneficios.descordando da decisão da Conitec e sendo a favor da Incorporação devido aos beneficios da terapia e maior garantias da sequencia ao tratamento sem interrupções.</p> <p>2ª - Sim, São mais de 200 artigos sendo que alguns com uma evidencia fortíssima inclusive dos beneficios da terapia de reposição enzimatica a longo prazo...follow up de 5 anos de terapia.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, acredito que temos total condição de incluir esta terapia realizando o planejamento necessario uma vez que é possível estimar o numero de portadores da doença no pais.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/10/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da comitê é a única medicação que existe para melhorar a qualidade de vida desses pacientes que é muito cara</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da conitec essa é a única medicação que existe para melhorar a qualidade de vida desses pacientes que é muito cara</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da conitec essa é a única medicação que existe para melhorar a qualidade de vida desses pacientes que é muito cara</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da conitec essa é a única medicação que existe para melhorar a qualidade de vida desses pacientes que é muito cara</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	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
30/10/2018	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
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trata-se da unica medicacao disponivel para a doença em questao e foi demonstrado beneficio comprovado em estudos clinicos. Como muitos resultados sao esperados no longo prazo é fundamental o seguimento rigoroso dos pacientes.</p> <p>2ª - Sim, A introdução ao protocolo é tecnicamente de baixa qualidade, com descrição inicial contendo erros conceituais graves, citando características de outros tipos de MPS, mas não da MPS IV-A. Como um exemplo pode ser citado o termo “contraturas articulares”. O acúmulo do queratan-sulfato causa alterações na estrutura do colágeno levando a frouxidão ligamentar, e não a contraturas. Isso já leva a questionamento da qualidade deste protocolo, uma vez que denota falta de conhecimento sobre a condição. Além disso, a referencia ao estudo clinico onde houve o teste da caminhada de 12 minutos não foi citada. Tenho conhecimento do estudo clinico de fase III que envolveu caminhada de 6 minutos. A interpretação dos resultados parece equivocada, uma vez que ao contrario do citado, se o grupo do tratamento tinha resultados inferiores no teste da caminhada, seria muito difícil que em 6 meses conseguisse ultrapassar o grupo placebo, fato que ocorreu. A aprovação do tratamento para esta doença foi mundialmente posterior a todas as demais mucopolissacaridoses ate o momento, portanto a documentação científica sobre desfechos que envolvem sobrevida necessitam de avaliação mais longa. Além disso, do ponto de vista clinico, observa-se características distintas das demais mucopolissacaridoses, com padrão de apresentação mais ósseo e articular, com consequências respiratórias obvias e provável sobrevida mais longa pelo menor comprometimento valvar cardíaco. Por outro lado, a dor é uma manifestação comum que reduz a qualidade de vida e a mobilidade. Considerando esta historia natural, os desfechos escolhidos para os estudos certamente subestimam a gravidade da doença no longo prazo. Em alguns países a aprovação da medicação tem sofrido restrições pelos desfechos rápidos menos evidentes. Por outro lado, muitas decisões governamentais no exterior foram revertidas para aprovação condicional, mediante seguimento sistemático e demonstração do beneficio periodicamente nos pacientes incluídos no protocolo. Considero que esta deveria ser uma pratica a ser adotada no Brasil em todos os casos da doença. A não aprovação da incorporação do medicamento neste momento irá restringir o tratamento para um grupo significativo de pacientes que poderiam ter real beneficio com seu uso.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Como medica geneticista e especialista em doenças raras, membro de serviço de referencia em doenças raras e sendo funcionaria de órgão do Ministerio da Saude (Instituto Fernandes Figueira / Fiocruz), coloco-me a disposição para atuar como consultora relacionada a politicas / protocolos para a doença em questão. Sugiro também que seja organizado grupo de peritos para avaliar inserção / continuidade / seguimento periódico dos pacientes nos protocolos de tratamento das mucopolissacaridoses, como já ocorre em outros países.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação essencial para o paciente e por seu alto valor. As famílias são de baixa renda.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	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>	
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A melhora dos pacientes é evidente tanto do ponto de vista científico, quanto na vivência no dia a dia dos profissionais da saúde, pacientes e cuidadores.</p> <p>2ª - Sim, Obviamente que existem poucos estudos referentes a eficácia do trabalho e muitos deles são patrocinados pela empresa farmacêutica. A doença é rara, o tratamento é relativamente novo e nem todos centros tem acesso ao mesmo. No entanto centros especializados e pessoas com experiência no manejo da Doença (como eu) observam a melhora na qualidade de vida dos pacientes, na sua mobilidade, e função cardiopulmonar, sem contar no crescimento, dores articulares e complicações clínicas que necessitam tratamento extra (reabilitações, infecções de repetição, etc).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, É claro que o impacto orçamentário será grande visto que a medicação tem seu custo no entanto do ponto de vista humano e médico não tem como comparar o valor orçamentário de um tratamento de reposição enzimática com tratamento paliativo. Não acredito também que os gastos com medicações para infecções recorrentes, reabilitação, internamentos por complicações diversas (todos evitáveis com um tratamento adequado, na idade correta) seja levado em conta precisamente nos dados.</p> <p>5ª - Sim, Esses pacientes por terem uma doença rara já são marginalizados e necessitam demais de melhora da qualidade de vida, e a reposição enzimática com certeza é a principal solução. Todos pacientes, familiares e tratadores da saúde que são envolvidos com esses pacientes entendem como é importante esse tratamento e como ele tem grande impacto na vida do paciente e todos a sua volta.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A enzima tem mostrado eficácia no tratamento. As deformidades ósseas compromete muito a qualidade de vida dos pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. como médica de mais de duas dezenas de pacientes com MPS IVA, a maioria deles em tratamento com alfaelosulfase há quase 4 anos, entendo que o Não Favorável da CONITEC não se baseia em falta de evidência clínica da eficácia e segurança do tratamento, mas sim no seu impacto financeiro.</p> <p>2ª - Sim, Relatório da CONITEC: 1-A evidência apresentada é composta por apenas um ensaio clínico. A MPSIVA é uma doença muito rara e como tal, seria utópico esperar que houvesse outros ensaios clínicos ! Em anexo , estudos após aprovação da alfaelosulfase em que pode ser comprovada sua eficácia e segurança2-principal desfecho de eficácia, o teste de caminhada, apresenta limitação quanto ao valor clínico do ganho evidenciado. O teste de caminhada foi com propriedade escolhido como principal endpoint, pois aumentar em média 22, 5m a distância que o paciente consegue percorrer após tratamento com elosulfase representa um ganho de resistência, onde estão envolvidos sistema músculo-esquelético e cárdiorrespiratorio 3--Não houve diferença significativa em relação ao placebo nos testes de função pulmonar,Em artigo anexo Impact of long-term elosulfase alfa treatment on respiratory function in patients with Morquio A syndrome pode ser observado que a longo prazo(120 semanas) houve melhora significativa na função respiratório em pacientes tratados com alfaelosulfasealfa</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A MPSIVA é uma doença progressiva e com vida média reduzida. As evidências científicas e a experiência com reposição enzimática para MPSVI, reforçam que a alfaelosulfase é eficaz na manutenção da vida.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Foi demonstrada uma diferença estatisticamente significativa a favor da intervenção quando comparada ao placebo em relação ao teste de caminhada de 12 minutos, e um aumento médio na capacidade de subir degraus. Há uma importante limitação neste ensaio, os grupos eram diferentes, sendo o grupo placebo mais jovem, mais baixo, de menor peso e com maior capacidade basal para a caminhada de 12 minutos, ou seja o grupo controle com capacidade física bem superior e mesmo assim a medicação mostrou efeito significativo nesses parâmetros por determinado tempo, o que demonstra alto potencial da medicação no que se refere à qualidade de vida, proporcionando a possibilidade de uma maior independência na realização das suas atividades físicas cotidianas.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa medicação e a unica especifica para a patologia de base.</p> <p>2ª - Sim, No documento de Morquio a Pergunta esta com MPS VI? : Em portadores da síndrome de Maroteaux-Lamy, a alfaelosulfase em relação ao placebo é mais eficaz e segura? O numero de paciente esta o mesmo do tipoVI 183?As evidencias estao com o mesmo resultado da MPS VI? Evidências científicas: Galsulfase é o único tratamento aprovado havendo apenas um único ensaio clínico randomizado de baixa qualidade metodológica. Foi demonstrada uma diferença estatisticamente significativa a favor da intervenção quando comparada ao placebo em relação ao teste de caminhada de 12 minutos, um acréscimo médio de 92±40 metros (11 a 172 metros) com valor p 0,025 e um aumento médio na capacidade de subir degraus de 5,7±2,9 degraus por minuto (p = 0,053). Há uma importante limitação neste ensaio, uma vez que a randomização não foi descrita e os grupos eram diferentes, sendo o grupo placebo mais jovem, mais baixo, de menor peso e com maior capacidade basal para a caminhada de 12 minutos (381±202 metros versus 227±170 metros p = 0,014). Evidências científicas: Alfaelosulfase é o único tratamento aprovado havendo apenas um único ensaio clínico randomizado de baixa qualidade metodológica. Foi demonstrada uma diferença estatisticamente significativa a favor da intervenção quando comparada ao placebo em relação ao teste de caminhada de 12 minutos, um acréscimo médio de 92±40 metros (11 a 172 metros) p valor 0,025 e um aumento médio na capacidade de subir degraus de 5,7±2,9 degraus por minuto (p = 0,053). Há uma importante limitação neste ensaio, a randomização não foi descrita e os grupos eram diferentes, sendo o grupo placebo mais jovem, mais baixo, de menor peso e com maior capacidade basal para a caminhada de 12 minutos (381±202 metros versus 227±170 metros p = 0,014).</p> <p>3ª - Sim, Para doenças rars tendo em vista o numero de paciente e o custo da medicação essa analise fica prejudicada</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Sugiro que sejam incluidos outros aritgos devido a raridade da condição. Estudos mais atuais sugerem que a TRE precoce pode alterar a historia natural da doença. Sugiro a revisao dos estudos e incorporacao da medicçao com criterios como tem para MPS I e II e como ocorre nos outros paises</p>	