

## Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Eculizumabe para Hemoglobinúria Paroxística Noturna - HPN - CONITEC

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É comprovado que o uso dessa medicação tem controlado a doença satisfatoriamente. Dando uma melhor condição de vida, principalmente em pacientes com idade menor de 18 anos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não existe outra forma eficaz para o tratamento da hpn. Por se tratar de uma medicação extremamente cara e vital para o portador da doença, é uma obrigação CONSTITUCIONAL do estado comprar e fornecer o medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, É uma obrigação CONSTITUCIONAL do estado fornecer a medicação.</p> <p>4ª - Sim, É uma obrigação CONSTITUCIONAL do estado fornecer a medicação</p> <p>5ª - Não</p>	
17/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou médico e pai de uma paciente com HPN. Entendo como positiva a consulta pública embora desnecessária e discordo frontalmente do parecer da AGU - PARECER REFERENCIAL n. 00014/2017/CONJUR-MS/CGU/AGU, que não tem o embasamento técnico para as conclusões que aponta.</p> <p>2ª - Sim, O resultado do tratamento com Soliris para a Hemoglobinúria paroxística noturna é excepcional e este foi o motivo do sucesso do medicamento e ainda do seu elevado preço no momento</p> <p>3ª - Sim, A avaliação econômica de novos medicamentos é extremamente difícil e grande parte deles tem um custo muito elevado, entretanto com o tempo eles baixam e penso que com uma negociação bem conduzida poderíamos reduzir em muito o preço do soliris</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, As evidências científicas e clínicas já estão demasiadamente comprovadas em milhares de publicações científicas e basta consultar o PubMed para se conferir, o endereço é: <a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/</a>.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/10/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo plenamente,pois sou portadora de Hpn e não tenho como fazer a medição.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, A vida não tem preço,o governo tem obrigação de fornecer a medição.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como é uma doença rara, poucos pacientes precisarão. Podemos solicitar e tentar aumento de sobrevida dos pacientes. Quanto vale uma vida?</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
18/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é de uso essencial para pacientes com HPN,minha mãe por exemplo leva uma vida normal com a medicação mas sem ela em dias pode ir a óbito.</p> <p>2ª - Sim, A medicação Soliris e de uso extremamente importante para pacientes com HPN e deveria ser sim incorporado ao SUS pois se tornou uma doença adquirida muito comum em nosso país e pessoas estão morrendo sem medicação com o não repasse do ministério da saúde.</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. O Ecolizumabe é uma medicação já comprovadamente benéfica para os pacientes com diagnóstico de HPN.</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	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. é o único medicamento que melhora a qualidade de vida dos pacientes com HPN.</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>	
19/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O eculizumabe reduz hemólise intravascular, necessidade transfusional e melhora a qualidade de vida em pacientes com HPN, doença grave e ultra rara. As complicações agudas e crônicas da HPN são graves e causam custos ao sistema, além de limitar a vida destes pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Guideline Canadense para manejo da HPN</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
19/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Diversos estudos científicos demonstram a eficiência do tratamento com eculizumab para HPN</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 parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
19/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É o unico tto eficaz pra doençaMenor morbidade que a realização de um tmo alogenico 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
19/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, 5ª - Não	
19/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
20/10/2018	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
20/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Está medicação é fundamental no tratamento do paciente com HPN. Pela nossa constituição a saúde é um direito do paciente e um dever do Estado. Apesar do alto custo da medicação que poderia ser diminuído com a ausência de impostos, falta regulação e controle.</p> <p>2ª - Não</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. O Eculizumabe é a única medicação disponível para HPN. Embora o custo seja elevado, reduz significativamente o nível do DHL, e portanto, o risco de trombose e óbito. Acompanho pacientes com HPN em uso do Eculizumabe e é impressionante a melhora clínica. Infelizmente presenciei a suspensão da droga em uma paciente que, em consequência, sofreu novo evento trombótico em SNC e quase foi a óbito. Ela tem aproximadamente 30 anos e atualmente precisa cuidar e sustentar um filho, apesar das sequelas motoras graves.</p> <p>2ª - Sim, Os estudos clínicos avaliados sofreram críticas por incluírem autores que manifestaram conflito de interesses com a indústria farmacêutica. Porém entre eles estão os principais médicos no mundo que lidam com a doença (como o grupo de Leeds, Inglaterra). Quem poderia ser melhor indicado para estudar e publicar sobre o assunto?</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</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 - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A HPN é uma doença grave, clonal, com elevada morbimortalidade. O único tratamento disponível na atualidade com capacidade de reduzir morbimortalidade é o exulizumabe. Os demais tratamentos propostos são baseados em palição e não reduzem mortalidade. As múltiplas transfusões aumentam o risco de reações transfusionais, sobrecarga de ferro com hemocromatose e o paciente evolui com manutenção das crises de hemólise, alto risco de tromboembólicas com elevada mortalidade, disfunção orgânica múltipla. A heparinização não reduz risco de novos eventos tromboembólicos. A única medicação atualmente disponível, aprovada para uso, é o anticorpo monoclonal eculizumabe. A justificativa de relação custo benefício desfavorável, no meu ponto de vista, não se aplica por tratar-se de uma doença gravíssima, rara, com elevada mortalidade é que não dispõe de outros tratamentos eficazes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Como médica hematologista não podemos nos basear em experiência pessoal e sim em evidências científicas. Todas as evidências atuais apontam para o eculizumabe como único tratamento eficaz no tratamento da HPN. Mesmo não podendo -se limitar a análises isoladas, desejo expor minha experiência clínica com HPN. Desde o início de minhas atividades tive a oportunidade de diagnosticar cinco pacientes com HPN. É um universo pequeno, no entanto considerando a raridade da doença e meu universo de trabalho, considero um número expressivo de pacientes. Uma dos cinco pacientes foi a óbito cerca de um ano e meio após o início do meu acompanhamento. Foi mantida em terapia transfusional por toda a vida, tinha os sintomas da doença mas não dispunha de recursos até então para o diagnóstico. Ao ser diagnosticado tinha complicações severas da doença, com disfunção cardíaca, renal, hipertensão pulmonar e citopenias graves com elevada necessidade transfusional. As transfusões pioraram sua função cardíaca pelo depósito cardíaco de ferro. A quelação não foi possível de ferro em virtude de disfunção renal associada. A paciente iniciou tratamento, de forma irregular, após processo de judicialização. Foi irregular pelo constante desabastecimento e interrupção por falta da medicação. Evoluiu pra o óbito por insuficiência cardiopulmonar. Perdeu a chance de um diagnóstico precoce e adequado tratamento. Dois dos cinco pacientes atualmente estão em tratamento com eculizumabe, ambos após processo de judicialização. Seguem o tratamento de maneira irregular por descontinuidades no fornecimento. Uma delas trata-se de uma jovem de 24 anos, com crises de hemólise incapacitantes quando é interrompida medicação. Ambos os pacientes controlam as crises ao longo do uso e reativam com crises graves de hemólise quando o tratamento é interrompido. Um dos pacientes com sintomas que o incapacitam para as atividades laborativas. Tenho dois outros casos que aguardam decisão judicial. Uma adolescente com citopenias graves, diagnosticada a cerca de dez meses, colocada em terapia transfusional e tentado tratamento com corticoide e imunossupressão, sem o menor sucesso. Pelas citopenias apresenta sangramento diário, faltas à escola. Necessita transfusão semanal. Tem restrições de suas atividades de maneira importante. Outro paciente uma criança de doze anos. Com crises graves de hemólise, alta necessidade transfusional, portador de anemia</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>aplástica. Não tolerou tratamento com ciclosporina, não respondeu à timoglobulina, não tem doador compatível de medula. Está com sobrecarga hepática de ferro em decorrência das transfusões. Necessitou sair da escola pela gravidade da doença. Em resumo. Nenhum dos cinco pacientes fica bem em terapia transfusional e imunossupressão. Observo, como relatado na literatura, que a cada período sem tratamento a doença progride e as disfunções orgânicas se instalam. Por esse motivo, além dos encontrados nos guidelines, sugiro reconsiderar a recomendação do conitec. Sei que se trata de medicação de alto custo mas qual o valor de uma vida? Nós encontramos de crianças a idosos com a patologia e vejo diariamente o sofrimento de cada um dos quatro que acompanho atualmente na ânsia pela vida e pelo controle da doença. Os recursos que o conitec afirmam ser hoje recomendados no tratamento como transfusão, imunossupressão, terapia hormonal, anticoagulação, NÃO são capazes de frear a progressão da doença e sua mortalidade.</p>	
20/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Atualmente tenho pacientes com diagnóstico de HPN em tratamento com Eculizumabe e é absolutamente evidente a melhora clínica e de parâmetros laboratoriais destes pacientes, com importante impacto na qualidade de vida, dos mesmos.</p> <p>2ª - Sim, Experiência clínica no tratamento destes pacientes.</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. Pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna tem melhora da qualidade de vida e diminuição da taxa de mortalidade e morbidade com o uso de Eculizumabe</p> <p>2ª - Sim, Artigo Brodsky RA. Blood Rev. 2008;22:65-74</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
21/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
21/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. esse é o unico medicamento disponivel no mundo que controla os sintomas da doença e reduz significativamente o risco de morte desses pacientes portadores de HPN</p> <p>2ª - Sim, literatura internacional pertinente e experiência clinica com o medicamento</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
21/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Acredito que a incorporação deveria acontecer mas para alguns pacientes selecionados. alguns casos realmente precisam usar e melhoram. a judicialização vai continuar acontecendo. alguns pacientes nao tem outra opção de tratamento e respondem ao medicamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes com HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNA na forma hemolítica se beneficiam intensamente do tratamento com ECULIZUMAB, uma vez que as crises hemolíticas nesta doença são constantes e causam intensa morbidade e mortalidade nesses pacientes (a hemólise causa dependência transfusional, dores intensas e risco alto de trombozes com risco de morte - trombozes abdominais e cerebrais). Com a introdução do Eculizumabe na primeira década deste século, tivemos pela primeira vez um medicamento específico para HPN. Para muitos pacientes na Europa e EUA isso significou a melhora tanto da hemoglobinúria, de sintomas incapacitantes como dor abdominal e crises de hemólise, da diminuição da dependência de transfusão de sangue semanal, e da redução do risco de trombose venosa e suas consequências incapacitantes. Para o resto dos pacientes (forma não hemolítica), o tratamento imunossupressor e eventualmente o transplante de medula óssea continuam a ter seu papel bem estabelecido.</p> <p>2ª - Sim, Hemoglobinúria paroxística noturna (PNH) é uma doença clonal hematopoética adquirida com aumento da mortalidade e morbidade resultante da hemólise intravascular. Eculizumab, um anticorpo monoclonal contra a proteína do complemento 5, interrompe a hemólise intravascular na HPN e altera drasticamente o curso natural da doença, reduzindo os sintomas e complicações, bem como aumenta a sobrevida a um nível semelhante ao da população geral. Anexo um report do grupo de Leeds na Inglaterra que mostra a diminuição das trombozes e recuperação da sobrevida em uma avaliação de longo tempo.</p> <p>3ª - Sim, Fiz meu trabalho de mestrado em Hemoglobinúria Paroxística Noturna com a orientação do dr Ricardo Pasquini na Universidade Federal do Paraná, artigo em anexo. Neste trabalho encontramos 103 pacientes em 10 anos de acompanhamento na hematologia deste grande hospital, ou seja, a incidência foi semelhante à da literatura mundial (menos de 10 pacientes ao ano). Destes pacientes, apenas 10% tinham a forma hemolítica (com clínica de hemólise e trombozes), que é a forma que se beneficia do Eculizumab. Numa revisão recente este número chega a no máximo 20% dos pacientes diagnosticados. De qualquer modo, o número absoluto de pacientes que se beneficiariam da medicação em uma cidade como Curitiba com quase 2.000.000 de habitantes não passaria de 2 por ano.</p> <p>4ª - Sim, A INCIDÊNCIA DA HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNA É BAIXÍSSIMA (1,3 casos por milhão de habitantes). Entre os pacientes com esta doença apenas um décimo (10 a 20%) irá efetivamente se beneficiar da terapia, que são os pacientes com hemólise estabelecida. Ou seja, menos de 0,13 casos por milhão de pessoas se beneficiam dessa terapia, o que daria menos de 5000 pessoas no país inteiro. Com a judicialização essas pessoas tem um atraso no tratamento e um custo muito maior para o Estado pois evoluem com trombozes e necessidade de internação e morte precoce. Além disso, com a implementação do remédio no SUS com REGRAS CLARAS para a indicação clínica (comprovação de hemólise ou trombose) selecionaria locais de tratamento especializados com equipes médicas especializadas que poderiam contribuir muito mais para o efetivo tratamento destes pacientes (decisão de transplante de medula óssea nos pacientes com pouca hemólise e muita citopenia, por exemplo).</p> <p>5ª - Sim, Como médica do sistema público de saúde nunca prescrevi o Eculizumab para nenhum paciente, sei o quanto nossos pacientes estão sofrendo as consequências de não ter a medicação que os faria ter uma</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>muito melhor qualidade de vida e diminuição de morbi-mortalidade. Os pacientes com HPN hemolítica são poucos em número, mas a medicação tem um custo alto, até proibitivo se incorporado indevidamente, isso é claro. Por outro lado, hoje no Brasil, o uso desta medicação não incorporado ao SUS traz como consequências o alto número de processos judiciais com solicitação por clínicas privadas e custo ao erário maior que o que seria se os pacientes estivessem sendo tratados por hospitais especializados. Trago como sugestão de uma pessoa que estuda o assunto há 5 anos que ESTA MEDICAÇÃO SEJA INCORPORADA AO SUS COM RESTRIÇÕES, ou seja, QUE APENAS PACIENTES COM HEMÓLISE OU TROMBOSE COMPROVADAS sejam liberados para receber a medicação. E que os pacientes com maior componente de citopenias e sem hemólise sejam devidamente encaminhados aos serviços de transplante de medula óssea. Outra sugestão é que os serviços especializados em hematologia como hospitais universitários sejam os locais de liberação deste medicamento, onde equipes especializadas poderão selecionar melhor os pacientes e triar aqueles que efetivamente se beneficiam do tratamento. PS- em anexo um editorial do Dr Luzzato, antigo hematologista italiano que mostra a grande mudança de paradigma que foi a introdução desta medicação na Europa.</p>	
22/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O ECULIZUMAB É UMA MEDICAÇÃO FUNDAMENTAL PARA PACIENTES COM HPN SINTOMÁTICA. MELHORA A ANEMIA E SEUS CONSEQUENTES SINTOMAS E MAIS IMPORTANTE REDUZ O RISCO DE TROMBOSE. A QUALIDADE DE VIDA DO PACIENTE MELHORA MUITO ALÉM DE PROLONGAR A SOBREVIVÊNCIA. ESTUDOS SÃO PRECISOS NO BENEFÍCIO DESTA MEDICAÇÃO NA HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNA E NÓS MÉDICOS SEGUIREMOS PRESCRIVENDO PARA PACIENTE COM INDICAÇÃO. NÃO HÁ SUBSTITUTO NO MERCADO PARA ESTA DROGA ATUALMENTE</p> <p>2ª - Sim, TENHO UMA PACIENTE QUE ACOMPANHA DE LONGA DATA QUE TINHA CRISES RECORRENTES DE HEMÓLISE E INFECÇÕES DE REPETIÇÃO QUE VEM EM USO DA MEDICAÇÃO COM ESTABILIZAÇÃO DA HEMOGLOBINA E SEM NOVOS PROCESSOS INFECCIOSOS</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
22/10/2018	Paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Sou portadora de HPN, e este é o único tratamento que tenho para continuar viva.</p> <p>2ª - Sim, Como portadora de HPN.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Estou a disposição para ser examinada.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trata-se de doença grave, incapacitante, com nenhuma alternativa terapêutica disponível que leve a resultados semelhantes aos obtidos com o uso da medicação em questão.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
22/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. única opção de tratamento para portadores de HPN</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
22/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação eculizumab tem ampla e bem definida literatura medica demonstrando seu beneficio nas formas mais graves de hemoglobinuria paroxística noturna. Os criterios de tratamento estao bem definidos na literatura medica, lembrando que nas formas não graves da doença esta droga não esta indicada, mas nas formas graves é a melhor opção para o paciente.</p> <p>2ª - Sim, Ha diversos trabalhos na literatura mundial e ampla experiencia para uso de eculizumab, com protocolos para selecionar os pacientes com indicação de uso e as doses adequadas</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
22/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Doença ultra rara, com alta mortalidade, grave que antes o único tratamento transplante de medula óssea alogênico. Com o conhecimento da fisiopatologia da doença, com a importancia que se tem a ativação do complemento a m</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	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pesquisei e é uma doença grave com risco de morte. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
23/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. De acordo com as experiências, eculizumabe tem grande impacto na doença quando há indicação de tratamento 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
23/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
23/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existe benefício comprovado cientificamente em relação a qualidade de vida e a sobrevida dos pacientes portadores de hemoglobinuria paroxística noturna COM INDICAÇÃO DE TRATAMENTO com Eculizumabe. 2ª - Sim, Referencias de evidencias clinicas:1. Hillmen P, Lewis SM, Bessler M, Luzzatto L, Dacie JV. Natural history of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. N Engl J Med. 19952. Kelly RJ, Hill A, Arnold LM, Brooksbank GL, Richards SJ, Cullen M, Mitchell LD, Cohen DR, Gregory WM, Hillmen P. Long-term treatment with eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: sustained efficacy and improved survival. Blood. 2011 3. Lee JW, Jang JH, Kim JS, Yoon SS, Lee JH, Kim YK, Jo DY, Chung J, Sohn SK. Clinical signs and symptoms associated with increased risk for thrombosis in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria from a Korean Registry. Int J Hematol. 2013 4. Hill A, Kelly RJ, Hillmen P. Thrombosis in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Blood. 2013 3ª - Sim, A doença é rara e além disso, apenas menos de 30% dos pacientes com HPN tem indicação de tratamento 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
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	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação melhora muito a qualidade de vida dos pacientes que vivem com essa doença rara, tenho um conhecido que sofreu anos até receber o diagnóstico e teve a sorte de ser diagnosticado por um especialista em sangue que ofereceu a possibilidade de tratar essa terrível e devastadora doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Considere a importância de incorporação dessa tecnologia principalmente por se tratar de uma doença rara. Direito universal ao acesso no medicamento.</p>	
23/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Recentemente um paciente de 25 anos que acompanha no hemocentro devido aplasia de medula óssea, teve trombose de sistema nervoso central relacionada a HPN. Devido a demora em receber o eculizumabe, o mesmo teve nova trombose em SNC causando deficit motor focal ao mesmo e risco iminente de morte.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A hemoglobinúria paroxística noturna é uma doença rara, grave e potencialmente fatal. O diagnóstico laboratorial, pelo menos em Santa Catarina, é facilmente realizado. Nem todo paciente com HPN tem indicação do uso de eculizumabe, porém quando tem indicação e não recebe ou demora para receber pode causar o óbito.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
23/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. hoje e o unico remedio que existe em nosso eio para tratarmos esta donçauuma doenca d alta mortalidade em crianas e adultos</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
23/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trato pacientes com HPN neste Estado, são relativamente adultos jovens e respondem bem a esta medicação. Quando houve falta temporária do Eculizumabe (falta de fornecimento) do MS aos pacientes foi evidenciada a piora clínica da doença.</p> <p>2ª - Sim, Pacientes sofreram de hemólise devido a falta da medicação. Aumento de reticulócitos; DHL e Billirrubina indireta, e ainda impacto sobre os efeitos colaterais do corticóide.</p> <p>3ª - Sim, AVALIAÇÃO ECONÔMICA - paciente jovem de 30 anos, vale quanto?</p> <p>4ª - Sim, Destinar orçamento para as doenças raras e comprovadamente traz benefícios de vida para o paciente. Há desvios de recursos para outros fins.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
23/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O eculizumabe é uma opção promissora aos pacientes com HPN.</p> <p>2ª - Sim, Por ser uma condição rara, não há amostras com grande número de pacientes, porém com resultados favoráveis ao uso do eculizumabe para tratamento dos pacientes com HPN.</p> <p>3ª - Sim, Apesar de ser um medicamento caro, é a oportunidade de qualidade de vida para os pacientes acometidos com o HPN.</p> <p>4ª - Sim, Considerando que este é um medicamento oneroso, porém a ser dispensado para poucos pacientes, não haverá impacto significativo ao orçamento do Ministério da Saúde, levando em consideração ainda os menores custos com internação durante o tratamento com o eculizumabe.</p> <p>5ª - Sim, Não podemos desconsiderar os pacientes acometidos com doenças raras. Assim, deve haver investimento para o tratamento destas doenças e possibilitar a estes pacientes menos morbimortalidade associada a doença de base e maior qualidade de vida.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes com Hemoglobinuria paroxística noturna não tem outra alternativa para tratamento dos seus sintomas e diminuição do risco de morte por evento trombotico. O eculizumab é o unico tratamento medicamento capaz de ajudar esses pacientes.</p> <p>2ª - Sim, A Hemoglobinuria paroxística noturna ;e uma doença clonal das celulas tronco hematopoeticas que se apresenta com anemia hemolitica, trombose e distonias dos musculos lisos assim como insuficiencia de medula ossea em alguns casos. A historia naturak da doença ;e altamente variavel, indo de um estado silencioso ao de ameaça á vida. As estrategias terapeuticas incluem bloqueio do cimplemento terminal quando a manifestação é de anemia hemolitica e trombose e transplante de medula ossea quando a manifestação é de aplsia de medula. O eculizumab é um anticorpo monoclonal inibidor do complemento e é altamente eficaz e o unico aprovado para terapia da hemoglobinuria paroxística noturna.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
24/10/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O embasamento no relatório é deficiente, faltando pontos importantes como causas de mobi-mortalidade e desfechos críticos</p> <p>2ª - Sim, O embasamento no relatório é deficiente, faltando pontos importantes como causas de mobi-mortalidade e desfechos críticos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Hillmen P, Muus P, Röth A, Elebute MO, Risitano AM, Schrezenmeier H, Szer J, Browne P, Maciejewski JP, Schubert J, Urbano-Ispizua A, de Castro C, Socié G, Brodsky RA. Long-term safety and efficacy of sustained eculizumab treatment in patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. Br J Haematol. 2013Hill A, DeZern AE, Kinoshita T, Brodsky RA. Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. Nat Rev Dis Primers. 2017Loschi M, Porcher R, Barraco F, Terriou L, Mohty M, de Guibert S, Mahe B, Lemal R, Dumas PY, Etienne G, Jardin F, Royer B, Bordessoule D, Rohrllich PS, Fornecker LM, Salanoubat C, Maury S, Cahn JY, Vincent L, Sene T, Rigaudeau S, Nguyen S, Lepretre AC, Mary JY, Corront B, Socie G, Peffault de Latour R. Impact of eculizumab treatment on paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: a treatment versus no-treatment study. Am J Hematol. 2016</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, considerar o retorno ao trabalho e contribuição econômica quando do uso da medicação e retorno às ABVD's.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Estamos vivendo a era dos extremos. Não acredito que todo paciente com HPN tenha que ser tratado com eculizumabe, mas não incorporar impede que nos casos mais graves vidas sejam salvas. Acredito que toda proposta de incorporação deva identificar quando e como o tratamento representa a única opção do paciente. A recomendação preliminar em não incorporar é pueril, quase um comportamento de negação, como se tudo fosse uma grande conspiração do fabricante. Como médico, que presencio diariamente o viver e morrer, gostaria que a recomendação fosse favorável, mas extremamente criteriosa em definir as situações em que o tratamento poderia ser realizado com eculizumabe.</p> <p>2ª - Sim, Como médico, especializado no tratamento de trombozes, posso afirmar que a trombose do paciente com HPN não é igual a trombose que observamos em outras situações. Ela mata muito mais que em outras situações, e muitas vezes não responde ao tratamento com heparinas ou outros anticoagulantes, em uma porcentagem extremamente maior que o observado em trombozes por outras doenças. Seu mecanismo de formação é complexo, envolve ativação plaquetária, micropartículas plaquetárias, efeitos da hemólise, neutrófilos (NETs), ativação de trombina por complemento, depleção de óxido nítrico, alterações estruturais no coágulo e redução da fibrinólise. Não são todos os pacientes que conseguimos tratar apenas com os inibidores tradicionais da coagulação; casos graves, trombozes catastróficas, precisam de tratamento com múltiplas terapias, e esses paciente podem beneficiar-se do uso bem aplicado de novas tecnologias, com o eculizumabe.</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
24/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. HPN no cenário de Aplasia é uma situação totalmente diferente da HPN clássica, onde predomina a Hemólise. Na primeira situação acredito que o Tratamento Imunossupressor e Transplante de células tronco hematopoéticas é a melhor situação, desde que o grau de hemólise seja &lt; 1,5 o LSN. Já na HPN clássica, não há o que fazer - PRECISAMOS BLOQUEAR O COMPLEMENTO. Transplantar um paciente com HPN clássico é crime, pois podemos matá-lo. É necessário que haja briga junto à Indústria Farmacêutica por preço, principalmente pela realidade brasileira. Vale lembrar da curva de sobrevida destes pacientes: 40% estarão mortos em 5 anos e 80% em 20 anos.</p> <p>2ª - Sim, importante lacuna na compreensão da doença = total desconhecimento da doença, ou seja, quem escreveu tal atrocidade não é um estudioso da área. A evolução clonal está sendo cada dia mais compreendida pelas novas técnicas de biologia molecular que infelizmente não é uma realidade brasileira, a ponto de se pensar que quem escreveu desconhece totalmente o tema, as técnicas que avaliam evolução clonal e a biologia da doença. Existem pessoas no Brasil que gostam do assunto, entendem da doença e provavelmente não foram consultadas. O desaparecimento de um clone é possível, porém na GRANDE MAIORIA DOS CASOS o que ocorre é um AUMENTO do clone com o tempo, piorando a hemólise e aumentando a velocidade de deterioração dos diferentes órgãos e sistemas. Após introdução do tratamento, é necessário acompanhar a evolução do clone e caso este venha para valores baixos com normalização do DHL, poderia-se propor a retirada da medicação e observação, mas nunca deixar de tratar quem precisa por uma análise superficial e totalmente cega da doença. É vergonhosa tal colocação num relatório técnico. Outro ponto importante: desfechos substitutos com o uso do eculizumab. Há centenas de trabalhos publicados nos últimos 15 anos pelo mundo todo mostrando segurança, eficácia, bloqueio da doença, redução de perda de função renal, redução de perda de progressão de hipertensão arterial pulmonar e principalmente, ganho de sobrevida - a tal ponto de um paciente que estava fadado à morte volta a ter esperança de viver com a mesma expectativa de vida de pessoas da mesma idade. Pergunto se foram lidos os principais estudos pivotais e suas atualizações (Lee, Anita Hill, Richard Kelly e tantos outros pesquisadores do sistema complemento no mundo).</p> <p>3ª - Sim, Temos no Brasil um número estimado de 250 pacientes com HPN e 100 pacientes com SHUa. Muitos morreram devido à falta de tratamento, alguns sem acesso ao diagnóstico, inclusive. O custo destes pacientes com a medicação gira em torno de R\$ 300 milhões / ano. Nos últimos 15 anos, estima-se que se roubou no país entre R\$ 3,3 trilhões e R\$ 30 trilhões. Este dinheiro daria para tratar todos os pacientes com doenças raras por mais de 1 década, além de melhorar a estrutura de saúde (falta de leitos, hospitais, UTI's). A questão econômica não é tão simples quando se lida com vida. A falta da medicação significa uma sentença de morte à grande parte dos pacientes.</p> <p>4ª - Sim, O que falta no SUS é gestão, enxugar o número de funcionários que não trabalham, os inúmeros cargos comissionados que não tem nenhuma formação técnica pra atuar nas áreas que estão lotados. O que falta no SUS é gente técnica competente em indicar corretamente um tratamento e acompanhar tal tratamento - porque não há condições favoráveis à permanência de bons profissionais no sistema, principalmente o descaso do sistema com os pacientes, o que é algo extremamente frustrante. E o que falta</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>enfim é ética de toda a cadeia para que a vida seja preservada. É importante a sociedade ter atendimento bom na saúde primária, mas também precisamos de cuidar dos pacientes com câncer e com doenças raras. O Brasil está fazendo com seus doentes um tremendo genocídio. Espero que um dia tais pessoas sejam julgadas por órgãos internacionais e olhando pra trás vejam as atrocidades que estão sendo cometidas.</p> <p>5ª - Não</p>	
24/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna tem uma sobrevida encurtada, e diversos problemas relacionados à doença que impactam em sua qualidade de vida, deixando-os inclusive menos produtivos para a nossa sociedade. Um exemplo é a insuficiência renal crônica com necessidade de diálise. Além disso, os episódios agudos de trombose podem ser graves, e levá-los à morte precocemente. Para alguns pacientes, a única alternativa de tratamento para tratar ou evitar essas complicações é o eculizumab. Não haver essa medicação disponível é condenar o paciente à morte.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/10/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho conhecimento do acompanhamento clínico de pacientes que obtiveram melhora considerável na qualidade de vida com a administração do medicamento.</p> <p>2ª - Sim, Evidente melhora na qualidade de vida de pacientes que tiveram acesso ao medicamento.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Pacientes medicados corretamente diminuem o custo de atendimento médico/ hospitalar ao longo da vida.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Acredito que a elaboração por parte da Conitec de um protocolo restrito a apenas os pacientes com HPN clássica (e portanto com elevada morbi/mortalidade) teria impacto direto no prognóstico destes pacientes especificamente, e evitaria a judicialização do tratamento e sua liberação indiscriminada para pacientes que não se beneficiariam com a medicação.</p> <p>2ª - Sim, Em relação ao diagnóstico de HPN, os protocolos atuais, que incorporam o FLAER e o CD157 à citometria de fluxo têm alta sensibilidade e especificidade na detecção de clones HPN, com sensibilidades de até 0,01%.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. única forma eficaz para tratamento desses pacientes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Doença rara potencialmente fatal devido às trombozes e aplasia. Esse medicamento é o único disponível no país que pode salvar essas vidas. Não há outras opções. A anticoagulação não é eficaz nesses pacientes por serem causada pela via do complemento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Deve ser analisado antes de decidir pela não inclusão o número de internações que esses pacientes realizam por trombose, dor abdominal, transfusão sanguínea. São pacientes recorrentes em internações e procura de pronto socorro.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/10/2018	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
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou hematologista e a evolução de HPN são catastrófica, a medicação é super importante para esses pacientes.</p> <p>2ª - Sim, blood 2011, Richard Kelly, tratamento de longo prazo com eculizumabe: eficácia sustentada e sobrevida prolongada. BJH 2013, Peter Hillmen, segurança e eficácia em longo prazo do tratamento sustentado do eculizumabe.</p> <p>3ª - Sim, Deve se considerar as indicações e relevar os custos com internação, transfusões e infecções de repetição.</p> <p>4ª - Sim, considerar prevalência de 15/1.000.000, sendo doença rara.</p> <p>5ª - Não</p>	
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existe um grupo de pacientes que se beneficia no uso da medicação. Melhora da qualidade de vida, menor número de transfusões, controle da doença</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Venho através deste manifestar-me sobre a minha participação na CONITEC no dia 04/10/18.O que assisti me causou preocupação, pela maneira como a reunião foi conduzida.Um primeiro lugar, foi marcada uma reunião para iniciar às 9h e a mesma começou efetivamente para a discussão da incorporação do Eculizumab às 14:00h. Embora seja ultrajante a espera por mais de 5 horas, este não é o fato pelo qual escrevo.Escrevo pois assinei um termo de confidencialidade e participei da reunião em nome da SBTMO (assim como tinha representante da ABHH, nas mesmas condições). Assistimos a uma apresentação de uma pessoa de MG, que discorreu sobre a doença HPN, manifestações clínicas, terapias de suporte e uso de Eculizumab, fazendo uma análise dos diversos estudos clínicos conduzidos com Soliris nesta população, apontando os pontos fortes e fracos destes estudos, etc. Até este momento, tudo OK.Porém posteriormente, ela abordou possíveis impactos financeiros da incorporação da droga no SUS (com uma metodologia que não conheço), apontando 3 cenários de impacto financeiro para o Governo. Desde o pessimista (onde o custo é calculado em cima do preço pago pelo MS nas decisões judiciais favoráveis) até com custo um pouco menor (calculado em cima de 2 preços que a Alexion ofereceu ao MS para a comercialização do produto). O fato é que foi calculado um custo de R\$ 900.000.000,00 (novecentos milhões) a R\$ 10.000.000.000,00 (dez bilhões) de reais pelos próximos 3 anos com Soliris. Neste momento, houve um burburinho de indignação entre os presentes na sala... só estando lá para ver.Mas o cálculo utilizado leva em conta que cerca de 3800 pacientes precisem da droga no país, o que eu e o representante da ABHH achamos absolutamente irreal. E nem todos os pacientes com HPN precisam da droga. Uns vão pra TMO, outros são oligossintomáticos, etc. Eu mesmo, em meu consultório, tenho 4 pacientes com HPN e somente 1 utiliza Eculizumabe. Fui anotando e estava certo que iríamos discutir depois do término da mesma. Mas ao final da sua apresentação, eu e o representante da ABHH fomos convidados a nos retirar da sala e estávamos dispensados. Surreal!!!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Nem todos os pacientes precisam de tratamento. Número calculado foi superestimado.Refazer os cálculos de impacto financeiro se quiserem ter um relatório decente...</p> <p>4ª - Sim, Nem todos os pacientes precisam de tratamento. Número calculado foi superestimado.Refazer os cálculos de impacto financeiro se quiserem ter um relatório decente...</p> <p>5ª - Sim, Infelizmente, com a recomendação esdrúxula da CONITEC, o que acontecerá (de novo e sempre) é a distinção entre ricos e pobres (a evidência funciona para a ANVISA, mas não para o SUS). E o custo do MS com compras judicializadas continuará gigantesco (poderia ser MUITO menor se calculassem diferentemente)</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Apesar do N por se tratar de uma condição rara, durante a prática clínica evidenciamos de forma prática os benefícios ao paciente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. existem inúmeros dados na literatura mundial e nacional a respeito da eficácia do eculizumabe no tratamento de pacientes com HPN</p> <p>2ª - Sim, Acompanho muitos pacientes com HPN em uso de soliris que demonstraram melhora considerável com o uso.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/10/2018	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>	
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Evidências científicas comprovadas do benefício do uso de inibidor do complemento para pacientes com HPN, o que antes não havia outra terapia específica eficaz para estes casos.</p> <p>2ª - Sim, Redução do grau de hemólise para os pacientes que fazem uso da medicação e com isso, redução do risco de complicações da doença (experiência clínica e evidência científica)</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Em se tratando de uma doença rara, e com graves complicações para o paciente relacionados à sua atividade, acredito o impacto orçamentário não ser o mais relevante nesta situação, considerando o número de casos diagnosticados E COM INDICAÇÃO DE TRATAMENTO (não são todos)</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou hematologista e tenho pacientes com HPN. O eculizumabe é a única droga disponível que pode alterar o curso da doença, pois os pacientes podem diminuir o grau de hemólise e portanto melhorar o grau de anemia, além do risco de trombose.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou hematologista atuante e testemunha do que esse medicamento contribuiu para a melhora e qualidade de vida dos pacientes portadores de hemoglobinúria paroxística noturna. Para pacientes que recebiam transfusões quase que semanalmente, após a utilização do medicamento não mais necessitaram delas, nem apresentaram fenômenos trombóticos.</p> <p>2ª - Sim, Sim. O uso desse medicamento transformou a vida dos pacientes com HPN. Apesar de seu elevado custo, vi muitas vidas serem salvas após a introdução do mesmo, observação pessoal e de colegas de especialidade.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Sabemos das dificuldades econômicas do país, mas levando em conta as dificuldades por quais passam esses pacientes, inclusive indo a óbito, creio que, apesar do elevado custo do medicamento, com esse uso, poupamos a vida de muitas pessoas. Suponho que o custo do tratamento das complicações também é muito elevado, o que talvez seja um argumento para a aprovação do medicamento.</p>	
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A HPN não tem cura, é uma doença rara, de origem genética, caracterizada por alteração na membrana das hemácias, levando à sua destruição e eliminação de componentes dos glóbulos vermelhos na urina, sendo assim considerada uma anemia hemolítica crônica. O tratamento pode ser feito por meio de transplante de medula, muito difícil devido a compatibilidade, ou ao uso do Eculizumab, que é único medicamento específico para o tratamento dessa doença. O custo é muito elevado, portanto, a incorporação e a negociação federal seria a única forma de tornar o medicamento mais acessível para o governo e salvar mais vidas.</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
25/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo pois esse é o único tratamento disponível para esta doença. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
25/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É a única medicação que demonstrou aumento de sobrevida global e melhora dos sintomas em pacientes com HPN 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
25/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
25/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
25/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculizumab mostra benefícios clínicos aos paciente com HPN e não dispomos de outras opções terapêuticas para a doença 2ª - Sim, Melhora na hemólise, necessidade transfusional e qualidade de vida 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
25/10/2018	Empresa	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O BENEFICIO PARA O TRATAMENTO DESTES TIPO DE TRATAMENTO É EXTREMAMENTE GRANDE. HOJE ELES NÃO ESTÃO RECEBENDO O TRATAMENTO CONFORME DEVERIAM, DEVIDO AOS PROBLEMAS BUROCRÁTICOS QUE ENFRENTAM PARA TEREM ACESSO A DROGA.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, O NUMERO DE PACIENTE QUE POSSUEM A DOENÇA É PEQUENO E O IMPACTO FINANCEIRO POR SI SÓ NÃO PODE DETERMINAR A POSSIBILIDADE DE TRATAMENTO DESTES PACIENTES. NOSSO PAIS, COM CERTEZA, POSSUI RECURSOS SUFICIENTES PARA TRATAR NÃO SÓ ESTA DOENÇA, MAS TODAS AS DEMAIS.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/10/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O tratamento para HPN com outros medicações não foram eficaz na doença e o paciente vindo a óbito por necessidade da medicação aqui em ênfase.</p> <p>2ª - Sim, Artigo de revisão anita hill, 2017 discorre sobre a epidemiologia fisiopatologia, manifestações clínicas, diagnóstico e tratamento da HPN Artigo dr Almeida, 2017, refere o benefício do eculizumabe em pacientes sem história de transfusão no registro internacional de HPN. Avalia o efeito do eculizumabe em pacientes com HPN hemolitica Artigo dr Peter Hillmen 2011, refere segurança e eficácia em longo prazo do tratamento sustentado com eculizumabe em pacientes com HPN</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim, De acordo com avaliação preliminar discordo pois os estudos mostram que a prevalencia da doença são 15:1000000 e os estufos mostram que 30% dos pacitnes tem indicação de tratamento e não 100% como descrito no relatório. Existem critérios de tratamento como evidência de hemolise e clone HPN e alta atividade da doença (acometimento e sinal e sintoma)</p>	
25/10/2018	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
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O eculizumabe é e única medicação que existe no momento para o tratamento da HPN, as outras terapias são apenas de suporte, não alterando o curso da doença</p> <p>2ª - Sim, O eculizumbe é eficaz e seguro no tratamento da HPN, diversos estudos mostram que a medicação melhora a sobrevida do doente, pois diminui de forma significativa eventos trombóticos, insuficiência renal, hipertensão pulmonar e melhora muito a qualidade de vida, reduzindo a anemia e com isso a necessidade de transfusão, e melhora a fadiga relacionada a hemólise</p> <p>3ª - Sim, O custo da medicação é alto, mas não foi levado em consideração que não são todos os doentes com HPN que necessitam de tratamento. O tratamento está indicado apenas para os pacientes com alta atividade da doença (bula Soliris). A avaliação econômica foi feita levando em consideração a incidência de casos novos por ano, porém este dado não existe, pois não temos nenhum estudo ou registro nacional de HPN. A prevaência da doença é de 15,9/milhão segundo Hill et al. Blood 2006:108(11):290a.</p> <p>4ª - Sim, Acredito que se a medicação for liberada apenas para os casos que realmente precisam (pacientes com alta atividade da doença), com monitoramento contínuo da evolução e da resposta de cada paciente, o impacto orçamentário seria menor, além disso deve-se levar em consideração os custos da judicialização, tendo em vista que a saúde é um direito constitucional de todo cidadão brasileiro.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
25/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os resultados do uso da medicação são bastante favoráveis</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não temos outras alternativas de tratamento para a patologia referida com os resultados do eculizumab.</p> <p>2ª - Sim, Não há outra medicação disponível para a HPN com os níveis de resposta, melhoria das manifestações clínicas e qualidade de vida. Pela ausência de terapias com o grau de resultados semelhantes, na prática médica, há grande necessidade de disponibilidade do eculizumab</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 - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. MEDICAÇÃO DE ALTO CUSTO, USO PROLONGADO E AÇÃO PALIATIVA NA DOENÇA</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. os pacientes precisam muito dessa medicação, pois sem ela apresentam sangramento na urina , a hemoglobina cai e o paciente acaba precisando de transfusões sanguíneas</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A literatura atual tem mostrado a melhora dos desfechos com o uso da medicação, evitando procedimentos custosos e com efeitos adversos. Além disso, melhora a evolução como por exemplo para comprometimento renal</p> <p>2ª - Sim, Nos estudos incluídos para avaliação de evidências deixaram de ser incluídos estudos importantes e recentes. Além do fato, que para avaliação de evidências raras deve-se levar em consideração que a população será pequena e não cabem estudos randomizados controlados.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes com Eculizumabe tem altas taxas de resposta completa e boa qualidade de vida. Não existe terapia alternativa válida para subgrupo hemolítico. A mortalidade do TMO alogênico é muito alta no País.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/10/2018	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>	
26/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. HPN já é uma doença rara, especialmente no Brasil 0,4/100.000 e especificamente aqueles que tem doença de alto risco com necessidade do eculizumab são poucos, portanto o custo orçamentário não é o apresentado pela recomendação da conitec, diminuindo os custos para união. Além disso pensando no paciente de alto risco é de fundamental importancia para melhora dos sintomas e sobrevida que o paciente possa usar a droga em questão.</p> <p>2ª - Sim, 1. Loschi B et al. Impact of eculizumab treatment on paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: a treatment versus no&amp;#8208;treatment study. American Journal of Hematology, Vol. 91, No. 4, April 2016 2. Hill Anita et al. Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. Nature Reviews Disease Primers volume 3, Article number: 17029 (2017)</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
26/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Doença grave sem tratamento pelo SUS e desrespeita os artigos da CF 196 a 200 referente a universalidade e direito a saúde e tratamento, fundamentado também na lei 8080.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Se grandes lotes forem comprados pode-se negociar o preço e caso isso não ocorra podemos quebrar a patente como foi feito no caso do HIV com os TARV's</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. Os pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna não dispõe de outro medicamento para controlar sua doença, assim a aprovação do eculizumabe se torna imprescindível, até que tenhamos como curar tal enfermidade.</p> <p>2ª - Sim, Vários estudos de fase 3 comprovam a eficácia do eculizumabe na HPN.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
26/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Único tratamento disponível para hon e muito efetivo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não se baseou nos dados mundiais de literatura</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. Todos têm direito à vida e saúde é imprescindível. Justamente porque a estimativa de gastos para o SUS tenha sido avaliada em 10 bilhões, e devido a raridade dos casos, fica claro que muitas famílias menos favorecidas certamente encontram-se nesse momento desamparadas de recursos que podem significar a vida de seus entes afetados. Essas pessoas precisam contar com o apoio do Estado, incondicionalmente.</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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	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 2ª - Sim, Nem todo paciente com HPN necessita da medicação eculizumab , mas todos aqueles com clone e sintomáticos, melhoram a qualidade de vida pela redução da hemólise 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, Nem todo paciente com HPN necessita da medicação eculizumab , mas todos aqueles com clone e sintomáticos, melhoram a qualidade de vida pela redução da hemólise	
26/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. AO LONGO DE 35 ANOS DE FORMADA EM MEDICA E ESPECIALIZADA EM HEMATOLOGIA TIVE 5 PACIENTES COM HPN. DOENÇA GRAVISSIMA . OS ULTIMOS 3 PACIENTES SURGIRAM JÁ COM A EXISTENCIA DE SOLIRIS . DEPONHO QUE TEM SIDO DE GRANDE VALIA . NÃO VEJO PQ NÃO AUTORIZAR O FÁRMACO EM DOENÇA QUE É RARA , GRAVE E COM ALTA MORBO- MORTALIDADE. 2ª - Sim, COMO INFORMEI ANTERIORM/, MINHA CONTRIBUIÇÃO É INFORMAR TER TIDO PACIENTES QUE REALM/ SE BENFICIARAM COM O FARMACO 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A saúde da minha mãe depende desta medicação, impossível ser contrária à algo que com certeza traria melhoria a qualidade de vida dela 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/10/2018	Paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Dependo dessa medicação para continuar vivendo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. POR SER UM MEDICAMENTO ALTAMENTE NECESSÁRIO PARA PACIENTES COM HPN SOBREVIVEREM. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Nós Brasileiros contribuimos para essa nação com os impostos e elegemos canalhas para nós representar e defender nossos interesses, no entanto somos enganados, pois, eles representam e defendem apenas os interesses deles, aprovando os altos salários e benefícios, tirando tudo que é de direito nosso e que nos pertence conforme a constituição, garantir a saúde, educação, segurança e tudo mais, no entanto somos privados de tudo, e através deste questionário podemos clamar por nossos direitos e em nome de nosso Senhor JESUS seremos atendidos, AMÉM!</p> <p>2ª - Sim, Essas são comprovadas pelos exames e laudos médicos</p> <p>3ª - Sim, Enquanto os nossos representantes escolhidos através do voto são atendidos com tudo que tem direito nos melhores hospitais, nós somos massacrados pelo SUS, rede hospitalar que não funciona para os pobres que no caso de milhares nem um salário tem.</p> <p>4ª - Sim, Isso não chega nem a 0,001% da robalheira de nossos politicod</p> <p>5ª - Sim, Isso não chega nem a 0,001% da robalheira dos nossos representantes.</p>	
26/10/2018	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>	
27/10/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/10/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. pois a medicação é essencial para sobrevivência das pessoas que necessitam , pois sem ela não ha como permanecer vivo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O estudo "The complement inhibitor eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria" de Hillmen P e colaboradores mostrou benefícios significativos quanto ao aumento da hemoglobina e interrupção da necessidade transfusional.</p> <p>2ª - Sim, 1. Hillmen P, et al. The complement inhibitor eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. N Engl J Med. 2006 Sep 21;355(12):1233-43. PubMed PMID: 16990386.2. Martí-Carvajal AJ, Anand V, Cardona AF, Solà I. Eculizumab for treating patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Cochrane Database Syst Rev. 2014 Oct 30;(10):CD010340. doi: 10.1002/14651858.CD010340.pub2. Review. PubMed PMID: 25356860.</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. O eculizumabe demonstra uma eficácia clínica importante principalmente nos pacientes que cursa com pancitopenia na HPN</p> <p>2ª - Sim, Estudos de Peter Hillmen et al, Estudo de Michael Loshi et al, Estudo de Antonio M Almeida et al</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Paciente com HPN diariamente com consulta da Emergência para realização de hemoderivados devido a crise aplástica</p>	
27/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A resposta apresentada pelo paciente a este medicamento é muito boa com recuperação da sua qualidade de vida, redução de hemólise e queixas algícas. Reduz risco de complicações pela doença, bem como aumenta sobrevida global. Já se é visualizada uma marcante evolução desde a primeira aplicação, entretanto, transitória. Portanto, faz-se necessária a manutenção do tratamento por tempo indeterminado.</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
28/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. A medicação em questão impacta em melhora significativa da qualidade de vida pela redução da hemólise e, conseqüentemente, da anemia (meus pacientes levam vida absolutamente normal - são produtivos, não ficando incapacitados e afastados do trabalho por invalidez, o que também reduz custos ao governo), impacta em redução significativa do risco de trombose, que leva à óbito, hospitalização e invalidez. Pacientes que não recebem a medicação em questão, serão encaminhado a transplante alogênico de medula óssea, procedimento também oneroso e que, muitas vezes, incapacita o paciente, pois sua mortalidade e morbidade são elevadas. Em comparação a outros países, o Brasil tem menos casos que os reportados pela literatura, por dificuldades diagnósticas, impactando menos em custo ao governo que o estimado. Obviamente, cabe ter bom senso em sua indicação. Pacientes assintomáticos ou oligossintomáticos podem ser manejados sem o uso do eculizumab.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
29/10/2018	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>	
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Está previsto em constituição direito ao tratamento médico disponível a todos os brasileiros. Trata-se doença rara, extremamente grave, e que apresenta resposta impressionante ao tratamento com Eculizumabe, aumentando-se a sobrevida e a qualidade de vida dos pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Trabalho na área de saúde e tenho contato com pacientes portadores de HPB e SHU atípica, e pude observar os benefícios do tratamento, assim como estão descritos na literatura médica.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. CONSULTA PÚBLICA Nº 63 – Eculizumabe para tratamento de pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna. Essa área técnica tem as seguintes considerações a serem feitas, sobre esse relatório: 1ª) Após a revisão sistemática da literatura, segundo esse relatório: Os resultados de eficácia apresentaram redução: - hemólise intravascular crônica, estabilização dos níveis de hemoglobina acima do limite superior em 49% dos pacientes; - diminuição da necessidade de transfusão no grupo eculizumabe; - independência da transfusão foi alcançada em 50% dos pacientes tratados com eculizumabe; - notificados mais efeitos adversos graves no grupo placebo do que no eculizumabe; - resultados de efetividade foram meta-analisados, sendo observada maior redução no nível de LDH e de transfusões no grupo de pacientes tratados com eculizumabe em relação ao controle; - nível de hemoglobina, não foi possível observar diferença estatisticamente significativa no aumento desse parâmetro entre os dois grupos; - eculizumabe reduziu a ocorrência de eventos tromboembólicos nos pacientes tratados, em comparação ao grupo controle; A forma clássica dessa doença tem três manifestações clínicas distintas: 1ª) Hemólise intravascular; 2ª) Anemia crônica com reticulocitose, ferropenia e Teste de Coombs direto negativo, aumento do baço (esplenomegalia), icterícia (aumento da bilirrubina indireta), fadiga crônica, disfagia, odinofagia, dor abdominal de repetição e episódica, disfunção erétil (infertilidade Masculina), hemoglobinúria (coloração marrom-escura na primeira urina da manhã), hipertensão pulmonar e insuficiência renal crônica; 3ª) Trombose; em locais pouco usuais e com graus variados de obstrução vascular, comprometendo os vasos do sistema portal hepático (Fígado- Síndrome de Budd-Chiari), seio venoso (Coração), veias esplênicas (Baço) e mesentéricas (Fígado); 4ª) Falência da medula óssea; Aplasia Medular ou Síndrome Mielodisplásica representam as formas mais graves do comprometimento medular. Os sinais clínicos e sintomas são: plaquetopenia (trombocitopenia, sangramentos imotivados), neutropenia (infecção de repetição) e piora da anemia. O eculizumabe apresentou eficácia para a diminuição dos sinais e sintomas da forma clássica da HPN, em cerca de 50% segundo o relatório, em pauta. 3ª) A HPN afeta homens e mulheres na mesma proporção, a mediana de idade dos doentes é de cerca de 40 anos e a taxa de mortalidade atinge 35% deles, cinco anos após o diagnóstico. Fator que dimensiona a gravidade, morbidade e mortalidade dessa doença; Crianças e adolescentes perfazem 10% dos casos de HPN e se apresentam mais frequentemente com bicitopenia ou pancitopenia, enquanto as tromboembososes ocorrem com igual frequência das outras faixas etárias; O curso clínico da HPN é extraordinariamente variável: enquanto alguns pacientes mantêm um clone pequeno de hemácias HPN e são pouco sintomáticos, outros progridem rapidamente para falência medular ou sofrem episódios tromboembólicos, que geralmente são fatais. O eculizumabe é um medicamento salvador de vidas, para as formas mais graves da doença; No estado de São Paulo, identificamos nos bancos de dados DATA SUS, alcançáveis por nós via programa SIG TAB – APAC e AIH, que no período entre janeiro de 2017 a junho de 2018, temos no estado de São Paulo 410 pessoas vivas com HPN numa incidência de 1,2: 100.000 habitantes. 4ª) Esse é mais um medicamento para Doenças Raras, que deveria ter recebido um Registro em Circunstância Excepcional, para a aplicação da: 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-</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>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; 5º) A avaliação de Impacto Orçamentário: a) Países como o Canadá, como estratégia de redução de custo pelo fabricante, praticam a compra desses medicamentos, 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. b) 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, já está 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 comprometidora 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; c) 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, sem negociação do preço de aquisição. Mesmo que o Soliris® tenha tido sua patente quebrada no país, isso não muda nada na prática,</p>	

já que a via judicial será sempre a via de acesso a esse medicamento.6º) Ações desenvolvidas por outros países, para solucionar a demanda dos medicamentos- órfãos:a) 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. b) 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. c) Austrália - O serviço de saúde público australiano, também conhecido como Medicare, que é universal e garante a 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. O Soliris® faz parte desse programa.O Programa do Ministério da Saúde Australiano criou um Protocolo Clínico e de Diretrizes Terapêuticas, com critérios dos diagnósticos de inclusão e exclusão para os doentes com HPN elegíveis para tomar esse medicamento, com diretrizes claras para a prescrição do eculizumabe por médicos especialistas, assim como, estabeleceu critérios de interrupção desse medicamento, com critérios clínicos e laboratoriais bem definidos, tanto para quando ele manifestar efeitos adversos intoleráveis ou apresentar ineficácia terapêutica.Fonte: <http://www.health.gov.au/lstdp>

2ª - Sim, CONSULTA PÚBLICA Nº 63 – Eculizumabe para tratamento de pacientes com Hemoglobinúria Paroxística NoturnaEssa área técnicas tem as seguintes considerações a serem feitas, sobre esse relatório:1º) Após a revisão sistemática da literatura, segundo esse relatório:Os resultados de eficácia apresentaram redução:- hemólise intravascular crônica, estabilização dos níveis de hemoglobina acima do limite superior em 49% dos pacientes;- diminuição da necessidade de transfusão no grupo eculizumabe;- independência da transfusão foi alcançada em 50% dos pacientes tratados com eculizumabe; - notificados mais efeitos adversos

graves no grupo placebo do que no eculizumabe; - resultados de efetividade foram meta-analisados, sendo observada maior redução no nível de LDH e de transfusões no grupo de pacientes tratados com eculizumabe em relação ao controle;- nível de hemoglobina, não foi possível observar diferença estatisticamente significativa no aumento desse parâmetro entre os dois grupos;- eculizumabe reduziu a ocorrência de eventos tromboembólicos nos pacientes tratados, em comparação ao grupo controle;A forma clássica dessa doença têm três manifestações clínicas distintas:1ª) Hemólise intravascular &#8594; Anemia crônica com reticulocitose, ferropenia e Teste de Coombs direto negativo, aumento do baço (esplenomegalia), icterícia (aumento da bilirrubina indireta), fadiga crônica, disfagia, odinofagia, dor abdominal de repetição e episódica, disfunção erétil (infertilidade Masculina), hemoglobinúria (coloração marrom-escura na primeira urina da manhã), hipertensão pulmonar e insuficiência renal crônica;2ª) Trombose &#8594; em locais pouco usuais e com graus variados de obstrução vascular, comprometendo os vasos do sistema portal hepático (Fígado-Síndrome de Budd-Chiari), seio venoso (Coração), veias esplênicas(Baço) e mesentéricas(Fígado);3ª) Falência da medula óssea &#8594; Aplasia Medular ou Síndrome Mielodisplásica representam as formas mais graves do comprometimento medular. Os sinais clínicos e sintomas são: plaquetopenia (trombocitopenia, sangramentos imotivados), neutropenia (infecção de repetição) e piora da anemia.O eculizumabe apresentou eficácia para a diminuição dos sinais e sintomas da forma clássica da HPN, em cerca de 50% segundo o relatório, em pauta.3º) A HPN afeta homens e mulheres na mesma proporção, a mediana de idade dos doentes é de cerca de 40 anos e a taxa de mortalidade atinge 35% deles, cinco anos após o diagnóstico. Fator que dimensiona a gravidade, morbidade e mortalidade dessa doença; Crianças e adolescentes perfazem 10% dos casos de HPN e se apresentam mais frequentemente com bicitopenia ou pancitopenia, enquanto as trombooses ocorrem com igual frequência das outras faixas etárias;O curso clínico da HPN é extraordinariamente variável: enquanto alguns pacientes mantêm um clone pequeno de hemácias HPN e são pouco sintomáticos, outros progridem rapidamente para falência medular ou sofrem episódios tromboembólicos, que geralmente são fatais. O eculizumabe é um medicamento salvador de vidas, para as formas mais graves da doença;No estado de São Paulo, identificamos nos bancos de dados DATA SUS, alcançáveis por nós via programa SIG TAB – APAC e AIH, que no período entre janeiro de 2017 a junho de 2018, temos no estado de São Paulo 410 pessoas vivas com HPN numa incidência de 1,2: 100.000 habitantes. 4º) Esse é mais um medicamento para Doenças Raras, que deveria ter recebido um Registro em Circunstância Excepcional, para a aplicação da: 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, 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; •Art. 4º - 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;5º) A avaliação de Impacto Orçamentário:a) Países como o Canadá, como estratégia de redução de custo pelo fabricante, praticam a compra desses medicamentos, 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. b) 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, já está 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;c) 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, sem negociação do preço de aquisição. Mesmo que o Soliris® tenha tido sua patente quebrada no país, isso não muda nada na prática, já que a via a judicial será sempre a via de acesso a esse medicamento.6º) Ações desenvolvidas por outros países, para solucionar a demanda dos medicamentos- órfãos:a) 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

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>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. b) 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. c) Austrália - O serviço de saúde público australiano, também conhecido como Medicare, que é universal e garante a 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. O Soliris® faz parte desse programa.O Programa do Ministério da Saúde Australiano criou um Protocolo Clínico e de Diretrizes Terapêuticas, com critérios dos diagnósticos de inclusão e exclusão para os doentes com HPN elegíveis para tomar esse medicamento, com diretrizes claras para a prescrição do eculizumabe por médicos especialistas, assim como, estabeleceu critérios de interrupção desse medicamento, com critérios clínicos e laboratoriais bem definidos, tanto para quando ele manifestar efeitos adversos intoleráveis ou apresentar ineficácia terapêutica.Fonte: <a href="http://www.health.gov.au/lspd">http://www.health.gov.au/lspd</a></p> <p>3ª - Sim, CONSULTA PÚBLICA Nº 63 – Eculizumabe para tratamento de pacientes com Hemoglobinúria Paroxística NoturnaEssa área técnicas tem as seguintes considerações a serem feitas, sobre esse relatório:1º) Após a revisão sistemática da literatura, segundo esse relatório:Os resultados de eficácia apresentaram redução:- hemólise intravascular crônica, estabilização dos níveis de hemoglobina acima do limite superior em 49% dos pacientes;- diminuição da necessidade de transfusão no grupo eculizumabe;- independência da transfusão foi alcançada em 50% dos pacientes tratados com eculizumabe; - notificados mais efeitos adversos graves no grupo placebo do que no eculizumabe; - resultados de efetividade foram meta-analisados, sendo observada maior redução no nível de LDH e de transfusões no grupo de pacientes tratados com eculizumabe em relação ao controle;- nível de hemoglobina, não foi possível observar diferença estatisticamente significativa no aumento desse parâmetro entre os dois grupos;- eculizumabe reduziu a ocorrência de eventos tromboembólicos nos pacientes tratados, em comparação ao grupo controle;A forma clássica dessa doença têm três manifestações clínicas distintas:1ª) Hemólise intravascular &amp;#8594; Anemia crônica com reticulocitose, ferropenia e Teste de Coombs direto negativo, aumento do baço (esplenomegalia), icterícia</p>	

(aumento da bilirrubina indireta), fadiga crônica, disfagia, odinofagia, dor abdominal de repetição e episódica, disfunção erétil (infertilidade Masculina), hemoglobinúria (coloração marrom-escura na primeira urina da manhã), hipertensão pulmonar e insuficiência renal crônica;2ª) Trombose em locais pouco usuais e com graus variados de obstrução vascular, comprometendo os vasos do sistema portal hepático (Fígado-Síndrome de Budd-Chiari), seio venoso (Coração), veias esplênicas(Baço) e mesentéricas(Fígado);3ª) Falência da medula óssea; Aplasia Medular ou Síndrome Mielodisplásica representam as formas mais graves do comprometimento medular. Os sinais clínicos e sintomas são: plaquetopenia (trombocitopenia, sangramentos imotivados), neutropenia (infecção de repetição) e piora da anemia.O evolucumabe apresentou eficácia para a diminuição dos sinais e sintomas da forma clássica da HPN, em cerca de 50% segundo o relatório, em pauta.3º) A HPN afeta homens e mulheres na mesma proporção, a mediana de idade dos doentes é de cerca de 40 anos e a taxa de mortalidade atinge 35% deles, cinco anos após o diagnóstico. Fator que dimensiona a gravidade, morbidade e mortalidade dessa doença; Crianças e adolescentes perfazem 10% dos casos de HPN e se apresentam mais frequentemente com bicitopenia ou pancitopenia, enquanto as trombooses ocorrem com igual frequência das outras faixas etárias;O curso clínico da HPN é extraordinariamente variável: enquanto alguns pacientes mantêm um clone pequeno de hemácias HPN e são pouco sintomáticos, outros progridem rapidamente para falência medular ou sofrem episódios tromboembólicos, que geralmente são fatais. O eculizumabe é um medicamento salvador de vidas, para as formas mais graves da doença;No estado de São Paulo, identificamos nos bancos de dados DATA SUS, alcançáveis por nós via programa SIG TAB – APAC e AIH, que no período entre janeiro de 2017 a junho de 2018, temos no estado de São Paulo 410 pessoas vivas com HPN numa incidência de 1,2: 100.000 habitantes. 4º) Esse é mais um medicamento para Doenças Raras, que deveria ter recebido um Registro em Circunstância Excepcional, para a aplicação da: 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;5º) A avaliação de Impacto Orçamentário:a) Países como o Canadá, como estratégia de redução de custo pelo fabricante, praticam a compra desses medicamentos, 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

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>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. b) 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, já está 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; c) 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, sem negociação do preço de aquisição. Mesmo que o Soliris® tenha tido sua patente quebrada no país, isso não muda nada na prática, já que a via a judicial será sempre a via de acesso a esse medicamento. 6º) Ações desenvolvidas por outros países, para solucionar a demanda dos medicamentos- órfãos: a) 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. b) Na Europa quem trata de medicamentos órfãos é o Committee for Orphan Medicinal Products</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. c) Austrália - O serviço de saúde público australiano, também conhecido como Medicare, que é universal e garante a 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. O Soliris® faz parte desse programa. O Programa do Ministério da Saúde Australiano criou um Protocolo Clínico e de Diretrizes Terapêuticas, com critérios dos diagnósticos de inclusão e exclusão para os doentes com HPN elegíveis para tomar esse medicamento, com diretrizes claras para a prescrição do eculizumabe por médicos especialistas, assim como, estabeleceu critérios de interrupção desse medicamento, com critérios clínicos e laboratoriais bem definidos, tanto para quando ele manifestar efeitos adversos intoleráveis ou apresentar ineficácia terapêutica. Fonte: <http://www.health.gov.au/lstdp>

4ª - Sim, CONSULTA PÚBLICA Nº 63 – Eculizumabe para tratamento de pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna Essa área técnicas tem as seguintes considerações a serem feitas, sobre esse relatório:1ª) Após a revisão sistemática da literatura, segundo esse relatório: Os resultados de eficácia apresentaram redução:- hemólise intravascular crônica, estabilização dos níveis de hemoglobina acima do limite superior em 49% dos pacientes;- diminuição da necessidade de transfusão no grupo eculizumabe;- independência da transfusão foi alcançada em 50% dos pacientes tratados com eculizumabe; - notificados mais efeitos adversos graves no grupo placebo do que no eculizumabe; - resultados de efetividade foram meta-analisados, sendo observada maior redução no nível de LDH e de transfusões no grupo de pacientes tratados com eculizumabe em relação ao controle;- nível de hemoglobina, não foi possível observar diferença estatisticamente significativa no aumento desse parâmetro entre os dois grupos;- eculizumabe reduziu a ocorrência de eventos tromboembólicos nos pacientes tratados, em comparação ao grupo controle; A forma clássica dessa doença têm três manifestações clínicas distintas:1ª) Hemólise intravascular &#8594; Anemia crônica com reticulocitose, ferropenia e Teste de Coombs direto negativo, aumento do baço (esplenomegalia), icterícia (aumento da bilirrubina indireta), fadiga crônica, disfagia, odinofagia, dor abdominal de repetição e episódica, disfunção erétil (infertilidade Masculina), hemoglobinúria (coloração marrom-escura na primeira urina da manhã), hipertensão pulmonar e insuficiência renal crônica;2ª) Trombose &#8594; em locais pouco usuais e com graus variados de obstrução vascular, comprometendo os vasos do sistema portal hepático (Fígado-Síndrome de Budd-Chiari), seio venoso (Coração), veias esplênicas(Baço) e mesentéricas(Fígado);3ª) Falência da medula óssea &#8594; Aplasia Medular ou Síndrome Mielodisplásica representam as formas mais graves do comprometimento medular. Os sinais clínicos e sintomas são: plaquetopenia (trombocitopenia,

sangramentos imotivados), neutropenia (infecção de repetição) e piora da anemia. O evolucumabe apresentou eficácia para a diminuição dos sinais e sintomas da forma clássica da HPN, em cerca de 50% segundo o relatório, em pauta. 3º) A HPN afeta homens e mulheres na mesma proporção, a mediana de idade dos doentes é de cerca de 40 anos e a taxa de mortalidade atinge 35% deles, cinco anos após o diagnóstico. Fator que dimensiona a gravidade, morbidade e mortalidade dessa doença; Crianças e adolescentes perfazem 10% dos casos de HPN e se apresentam mais frequentemente com bicitopenia ou pancitopenia, enquanto as tromboembólicas ocorrem com igual frequência das outras faixas etárias; O curso clínico da HPN é extraordinariamente variável: enquanto alguns pacientes mantêm um clone pequeno de hemácias HPN e são pouco sintomáticos, outros progridem rapidamente para falência medular ou sofrem episódios tromboembólicos, que geralmente são fatais. O eculizumabe é um medicamento salvador de vidas, para as formas mais graves da doença; No estado de São Paulo, identificamos nos bancos de dados DATA SUS, alcançáveis por nós via programa SIG TAB – APAC e AIH, que no período entre janeiro de 2017 a junho de 2018, temos no estado de São Paulo 410 pessoas vivas com HPN numa incidência de 1,2: 100.000 habitantes. 4º) Esse é mais um medicamento para Doenças Raras, que deveria ter recebido um Registro em Circunstância Excepcional, para a aplicação da: 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; 5º) A avaliação de Impacto Orçamentário: a) Países como o Canadá, como estratégia de redução de custo pelo fabricante, praticam a compra desses medicamentos, 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. b) 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, já está 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; c) 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, sem negociação do preço de aquisição. Mesmo que o Soliris® tenha tido sua patente quebrada no país, isso não muda nada na prática, já que a via a judicial será sempre a via de acesso a esse medicamento.<sup>6º</sup>) Ações desenvolvidas por outros países, para solucionar a demanda dos medicamentos- órfãos: a) 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. b) 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. c) Austrália - O serviço de saúde público australiano, também conhecido como Medicare, que é universal e garante a 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. O Soliris® faz parte desse programa. O Programa do Ministério da Saúde Australiano criou um Protocolo Clínico e de Diretrizes Terapêuticas, com critérios dos diagnósticos de inclusão e exclusão para os doentes com HPN elegíveis para tomar esse medicamento, com diretrizes claras para a prescrição do eculizumabe por médicos especialistas, assim como, estabeleceu critérios de interrupção desse medicamento, com critérios clínicos e laboratoriais bem definidos, tanto para quando ele manifestar efeitos adversos intoleráveis ou apresentar ineficácia terapêutica. Fonte: <http://www.health.gov.au/lspd>

5ª - Sim, CONSULTA PÚBLICA Nº 63 – Eculizumabe para tratamento de pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna. Essa área técnicas tem as seguintes considerações a serem feitas, sobre esse relatório: 1ª) Após a revisão sistemática da literatura, segundo esse relatório: Os resultados de eficácia apresentaram redução: - hemólise intravascular crônica, estabilização dos níveis de hemoglobina acima do limite superior em 49% dos pacientes; - diminuição da necessidade de transfusão no grupo eculizumabe; - independência da transfusão foi alcançada em 50% dos pacientes tratados com eculizumabe; - notificados mais efeitos adversos graves no grupo placebo do que no eculizumabe; - resultados de efetividade foram meta-analisados, sendo observada maior redução no nível de LDH e de transfusões no grupo de pacientes tratados com eculizumabe em relação ao controle; - nível de hemoglobina, não foi possível observar diferença estatisticamente significativa no aumento desse parâmetro entre os dois grupos; - eculizumabe reduziu a ocorrência de eventos tromboembólicos nos pacientes tratados, em comparação ao grupo controle; A forma clássica dessa doença têm três manifestações clínicas distintas: 1ª) Hemólise intravascular &#8594; Anemia crônica com reticulocitose, ferropenia e Teste de Coombs direto negativo, aumento do baço (esplenomegalia), icterícia (aumento da bilirrubina indireta), fadiga crônica, disfagia, odinofagia, dor abdominal de repetição e episódica, disfunção erétil (infertilidade Masculina), hemoglobinúria (coloração marrom-escura na primeira urina da manhã), hipertensão pulmonar e insuficiência renal crônica; 2ª) Trombose &#8594; em locais pouco usuais e com graus variados de obstrução vascular, comprometendo os vasos do sistema portal hepático (Fígado-Síndrome de Budd-Chiari), seio venoso (Coração), veias esplênicas (Baço) e mesentéricas (Fígado); 3ª) Falência da medula óssea &#8594; Aplasia Medular ou Síndrome Mielodisplásica representam as formas mais graves do comprometimento medular. Os sinais clínicos e sintomas são: plaquetopenia (trombocitopenia, sangramentos imotivados), neutropenia (infecção de repetição) e piora da anemia. O eculizumabe apresentou eficácia para a diminuição dos sinais e sintomas da forma clássica da HPN, em cerca de 50% segundo o relatório, em pauta. 3ª) A HPN afeta homens e mulheres na mesma proporção, a mediana de idade dos doentes é de cerca de 40 anos e a taxa de mortalidade atinge 35% deles, cinco anos após o diagnóstico. Fator que dimensiona a gravidade, morbidade e mortalidade dessa doença; Crianças e adolescentes perfazem 10% dos casos de HPN e se apresentam mais frequentemente com bicitopenia ou pancitopenia, enquanto as tromboses ocorrem com igual frequência das outras faixas etárias; O curso clínico da HPN é

extraordinariamente variável: enquanto alguns pacientes mantêm um clone pequeno de hemácias HPN e são pouco sintomáticos, outros progridem rapidamente para falência medular ou sofrem episódios tromboembólicos, que geralmente são fatais. O eculizumabe é um medicamento salvador de vidas, para as formas mais graves da doença; No estado de São Paulo, identificamos nos bancos de dados DATA SUS, alcançáveis por nós via programa SIG TAB – APAC e AIH, que no período entre janeiro de 2017 a junho de 2018, temos no estado de São Paulo 410 pessoas vivas com HPN numa incidência de 1,2: 100.000 habitantes.

4º) Esse é mais um medicamento para Doenças Raras, que deveria ter recebido um Registro em Circunstância Excepcional, para a aplicação da: 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;

5º) A avaliação de Impacto Orçamentário: a) Países como o Canadá, como estratégia de redução de custo pelo fabricante, praticam a compra desses medicamentos, 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.

b) 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, já está 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;c) 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, sem negociação do preço de aquisição. Mesmo que o Soliris® tenha tido sua patente quebrada no país, isso não muda nada na prática, já que a via a judicial será sempre a via de acesso a esse medicamento.6º) Ações desenvolvidas por outros países, para solucionar a demanda dos medicamentos- órfãos:a) 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. b) 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. c) Austrália - O serviço de saúde público australiano, também conhecido como Medicare, que é universal e garante a 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. O Soliris® faz parte desse programa.O Programa do Ministério da Saúde Australiano criou um Protocolo Clínico e de Diretrizes Terapêuticas, com critérios dos diagnósticos de

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>inclusão e exclusão para os doentes com HPN elegíveis para tomar esse medicamento, com diretrizes claras para a prescrição do ecilizumabe por médicos especialistas, assim como, estabeleceu critérios de interrupção desse medicamento, com critérios clínicos e laboratoriais bem definidos, tanto para quando ele manifestar efeitos adversos intoleráveis ou apresentar ineficácia terapêutica.Fonte: <a href="http://www.health.gov.au/lscp">http://www.health.gov.au/lscp</a></p>	
29/10/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O CONITEC FOI DESFAVORÁVEL AO USO EM INDICAÇÃO COM EVIDÊNCIA CIENTÍFICA COM ESTUDOS RELEVANTES; NO ENTANTO, HÁ DIVERSOS ESTUDOS COM RELEVÂNCIA CLÍNICA QUE COMPROVAM O BENEFÍCIO DE SEU USO EM DIVERSAS POPULAÇÕES NÃO ABRANGIDAS.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, MELHORA DE QUALIDADE DE VIDA, MELHORA DE SOBREVIDA, MELHORA DE SINTOMAS CLÍNICOS</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
29/10/2018	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>	
29/10/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A droga é eficaz, mas deve ser utilizada em pacientes com hemólise e não para todos apenas com clone porém assintomáticos. Faltaram artigos importantes na bibliografia da incorporação.</p> <p>2ª - Sim, Tenho pacientes que utilizaram que mudaram de vida após o início do tratamento. Blood, 23/06/2011, volume 117, num 25, Richard J. Kelly NAture reviews, maio 2017, volume 3 - Anita Hill</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Utilizar critérios bem definidos para utilização da droga ( valor de clone, grau de hemólise) - pacientes com alta atividade de doença</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</p> <p>2ª - Não</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</p> <p>2ª - Não</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. Há anos o Eculizumabe faz parte do tratamento desses pacientes, evidenciando excelente controle da doença tanto em estudos clínicos quanto na prática clínica.</p> <p>2ª - Sim, Acompanho pacientes em consultório e estudos clínicos publicados que evidenciam o controle clínico da doença com o uso do Eculizumabe.</p> <p>3ª - Sim, A prevalência da doença foi exposta de maneira errônea, aumentando o custo econômico calculado.</p> <p>4ª - Sim, A prevalência da doença foi exposta de maneira errônea, aumentando o custo econômico calculado.</p> <p>5ª - Sim, O Eculizumabe é uma medicação, no caso da Hemoglobinúria Paroxística Noturna a única medicação, que comprovadamente melhora a qualidade de vida do paciente e aumenta a sua sobrevida, através do controle da hemólise que leva aos danos de órgãos alvos, aumentando a mortalidade desses pacientes.</p>	
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculizumab atualmente é um medicamento órfão no tratamento da HPN. Doença potencialmente gravíssima que tem seu curso natural modificado com o tratamento com Ecizumab.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/10/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Apesar de se tratar de uma doença rara, a possibilidade de tratamento e o acesso ao mesmo garante qualidade de vida aos pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Pacientes HPN tem sintomatologia intensa e limitadora de vida, o tratamento pode garantir melhoria dos mesmos e, possibilita a cura desses pacientes.</p> <p>3ª - Sim, Apesar do Alto Custo, nem todos os pacientes com HPN precisarão dessa medicação. Assim, hoje temos uma parcela de cerca de 20% dos pacientes com a necessidade desse tratamento. Garantir a medicação pode diminuir custos com internações prolongadas, além de diminuir risco de invalidez ou morte, ambos teriam impacto negativo tanto para economia do país quanto para suas famílias, lembrando que o diagnóstico é feito em pacientes economicamente ativos.</p> <p>4ª - Sim, Como há critérios para uso da medicação, apenas os pacientes com Perfil de Alta Atividade da doença receberam essa medicação</p> <p>5ª - Não</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 medicação é fundamental nos pacientes com indicação de tratamento da HPN. Segue referência bibliográfica para embasamento científico:1. Hill A. et al. Hemoglobinúria Paroxística Noturna. Maio de 2017, volume 3. www.nature.com/reviews. 2. Hilmen, P. et al. Segurança e eficácia em longo prazo do tratamento sustentado com eculizumabe em pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna. British Journal of Haematology, 2013, 162, 62-73. 3. Kelly, R. J. et al. Tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna a longo prazo com eculizumabe: eficácia persistente e melhora da sobrevida. Blood, 23 de junho de 2011. Vol 117, número 25.</p> <p>2ª - Sim, A medicação é fundamental nos pacientes com indicação de tratamento da HPN. Segue referência bibliográfica para embasamento científico:1. Hill A. et al. Hemoglobinúria Paroxística Noturna. Maio de 2017, volume 3. www.nature.com/reviews. 2. Hilmen, P. et al. Segurança e eficácia em longo prazo do tratamento sustentado com eculizumabe em pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna. British Journal of Haematology, 2013, 162, 62-73. 3. Kelly, R. J. et al. Tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna a longo prazo com eculizumabe: eficácia persistente e melhora da sobrevida. Blood, 23 de junho de 2011. Vol 117, número 25.</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. Unico tratamento disponível para pacientes que sofrem com hemolise cronica e risco iminente de trombose grave em vasos nobres com alto risco de morte.</p> <p>2ª - Não</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. HPN é uma doença fatal , principalmente devido a eventos tromboembólicosA droga eculizumab é eficiente para controlar estes episódios tromboembólicos , que naturalmente são resistentes a anticoagulação.estudos clínicos demonstram a eficácia.o que se deve fazer é indicar corretamente o uso desta medicação , evitando usar em falências medulares , que realmente não tem sentido , confeccionando um protocolo rígido de indicação</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, A vida de um paciente não pode ser baseada em custos , isto é crime,O que se deve fazer é um protocolo contemplando o uso correto da medicação</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. MEDICAÇÃO DE EXTREMA IMPORTANCIA PARA MELHORA DA QUALIDADE DE VIDA, EXPECTATIVA DE VIDA IDENTICA DA POPULAÇÃO GERAL, DIMINUI RISCO DE TROMBOSE</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como nefrologista pediátrico possuo paciente em uso da droga para tratamento de SHUa, o que me fez estudar profundamente a eficácia e o perfil de segurança do eculizumabe em pacientes com SHUa e HPN havendo, em minha opinião científica, ampla evidencia do beneficio e segurança da medicação; além de considerar o acesso por incorporação ao sus a melhor modalidade</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, a judicialização do acesso ao medicamento tem, além de onerado excessivamente o processo, tornado a distribuição irregular, causando danos por vezes letais ou irreversíveis</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O tratamento com eculizumabe é a única opção terapêutica para paciente com hemoglobinúria paroxística noturna, quando a apresentação é hemólise e trombose, alterando a qualidade de vida do paciente e diminuindo a mortalidade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. na prática clínica, há uma melhora importante na sobrevida livre de eventos naqueles pacientes que tem indicação de uso. Continua sendo a única medicação efetiva para a referida doença</p> <p>2ª - Sim, na prática clínica, há uma melhora importante na sobrevida livre de eventos naqueles pacientes que tem indicação de uso. Continua sendo a única medicação efetiva para a referida doença</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes com Deficiência adquirida de enzima que sintetiza proteínas relacionada as defesas das células contra o complemento necessitam de tratamento adequado. Muitos paciente chegam com quadro clínico inespecífico e necessitam de que o clínico ou hematologista pense no diagnóstico de HPN. Pode-se iniciar com incidiosa hemoglobinúria em homens em 4 ou 5ª década de vida, dor abdominal, pancitopenia, trombose. Muitos respondem pouco ao corticoide e por isso o Eculizumabe deveria ser incluído no hall de medicamento liberados por alto custo (LME).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Os pacientes com Deficiência adquirida de enzima que sintetiza proteínas relacionada as defesas das células contra o complemento necessitam de tratamento adequado. Muitos paciente chegam com quadro clínico inespecífico e necessitam de que o clínico ou hematologista pense no diagnóstico de HPN. Pode-se iniciar com incidiosa hemoglobinúria em homens em 4 ou 5ª década de vida, dor abdominal, pancitopenia, trombose. Muitos respondem pouco ao corticoide e por isso o Eculizumabe deveria ser incluído no hall de medicamento liberados por alto custo (LME).</p>	
29/10/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Na qualidade de advogado de um paciente portador de HPN, e que desde 2008 recebe o medicamento do Governo via judicial, informo que o medicamento é altamente eficiente. Em anexo, envio relatórios médicos e prescrições que apontam como é fundamental para a sobrevivência do paciente o uso do Eculizumabe de forma contínua. Atenciosamente, Luiz Henrique Magalhães Hosken OAB/MG 128.453</p> <p>2ª - Sim, Em anexo, envio relatórios médicos e prescrições que apontam como é fundamental para sobrevivência do paciente, o uso do Eculizumabe de forma contínua, e como o medicamento melhora muito o seu quadro clínico.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Precisamos ter opções de tratamento.</p> <p>2ª - Sim, Encaminhando pacientes para tratamento</p> <p>3ª - Sim, tratando pacientes</p> <p>4ª - Sim, avaliando pacientes</p> <p>5ª - Sim, participando de grupos de estudo</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. O levantamento bibliografico demonstra que funciona em poucos pacientes, devido ao custo elevado e incerteza de boa resposta nao sei se deve ser incorporado a todos</p> <p>2ª - Não</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. A hemoglobinúria é uma doença grave que aummeta a morbi mortalidade do paciente. O Eculizumab é um divisor de águas e melhora de forma significativa a qualidade de vida dos paciente</p> <p>2ª - Sim, Tenho alguns pacientes em uso da medicação e eles relatam melhora importante dos sintomas após uso da medicação: essa melhora vai desde melhora da sensação de cansaço, melhora da anemia, plaquetopenia, melhora da dor abdominal, da disfagia. Alguns pacientes são jovens e quando estão sem a medicação não conseguem fazer nenhuma atividade habitual</p> <p>3ª - Sim, Entendo que a medicação seja de alto custo, mas como se trata de doença rara, acho que vale a pena a introdução da medicação</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Tem sido muito difícil lidar com pacientes que usam a medicação e estão estáveis e devido a irregularidade do fornecimento, ficam sem a medicação e com anemia sintomática, hematúria franca</p>	
29/10/2018	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. Atualmente é a ÚNICA medicação que oferece controle da doença</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Alguns pacientes se beneficiam da medicação, principalmente aqueles que não possuem outras doenças associadas. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
30/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Será mais uma opção de tratamento Paraná HPN. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
30/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. nao concordo visto os bons resultados que temos com o medicamento para tal agravo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
30/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. TENHO PACIENTE COM DIAGNÓSTICO DE HPN QUE ESTÁ MUITO BEM COM O USO DO ECULIZUMAB 2ª - Sim, TENHO PACINENTE COM HPN QUE MELHOROU SIGNIFICATIVAMENTE APOS A INTRODUÇÃO DO ECULIZUMAB 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</p> <p>2ª - Sim, trabalho: Segurança e eficácia em longo prazo do tratamento sustentado com eculizumabe em pacientes con HPN publicado:bjh 2013, 162,62-73.American journal of hematology- impacto do tratamento com eculizumabe sobre a HPN :estudo comparativo entre grupos com ou sem tratamento.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, trabalho: Segurança e eficácia em longo prazo do tratamento sustentado com eculizumabe em pacientes con HPN publicado:bjh 2013, 162,62-73.American journal of hematology- impacto do tratamento com eculizumabe sobre a HPN :estudo comparativo entre grupos com ou sem tratamento.</p> <p>5ª - Sim, trabalho: Segurança e eficácia em longo prazo do tratamento sustentado com eculizumabe em pacientes con HPN publicado:bjh 2013, 162,62-73.American journal of hematology- impacto do tratamento com eculizumabe sobre a HPN :estudo comparativo entre grupos com ou sem tratamento.</p>	
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, O eculizumabe e o transplante alogênico de medula são os únicos tratamento disponíveis para HPN. Considerando o alto risco de morte, principalmente por eventos tromboticos, está indicado o uso desta medicação.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
30/10/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Numero reduzidos de pacientes que utilizam o medicamento 20 a 30 % dos pacientes diagnosticadosRedução de custos diretos e indiretos para insituiç]ao alem da qualidade de vida para o paciente que faz uso</p> <p>4ª - Sim, Importante ressaltar que os pacientes com alta atividade da doença ( LDH elevado e sintomas clinicos) utilizam o medicamento</p> <p>5ª - Sim, O hospital Municipal São Jose é de referencia no Estado e abrange Joinville e regioao, sendo tambem referencia para outras especialidades; Importante a aquisição do Eculizumabe no tratamento HPN que é doença rara. O Estado de SC possui Citometria de Fluxo de alta qualidade para diagnostico de HPN</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></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. Pacientes com HPN se beneficiam muito com o tratamento com eculizumabe, com melhora não só na qualidade de vida mas também na sobrevida destes doentes. É o único tratamento que temos hoje que possibilita controle dos sintomas e impede progressão e complicações da doença.</p> <p>2ª - Sim, Pacientes com HPN se beneficiam muito com o tratamento com eculizumabe, com melhora não só na qualidade de vida mas também na sobrevida destes doentes. É o único tratamento que temos hoje que possibilita controle dos sintomas e impede progressão e complicações da doença. Não são todos os pacientes que precisam do tratamento com eculizumabe, e os que realmente precisam ser tratados e conseguem ter acesso ao medicamento apresentam melhora muito significativa do quadro clínico, evitando complicações graves e fatais da doença.</p> <p>3ª - Sim, Apesar de ser um medicamento de alto custo não é indicado para todos os pacientes indiscriminadamente.</p> <p>4ª - Sim, Apesar de ser um medicamento de alto custo não é indicado para todos os pacientes indiscriminadamente.</p> <p>5ª - Sim, A liberação do medicamento pelo SUS trará melhora clínica muito importante aos nossos pacientes com HPN, doença grave e potencialmente fatal.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes que apresentam-se com trombose ou hemólise grave se beneficiam muito com o uso da droga</p> <p>2ª - Sim, Artigos recentes demonstram a superioridade clínica com o uso de eculizumab em relação as terapias disponíveis na atualidade</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Altíssimo índice de evidências dos benefícios do eculizumabe para o tratamento de pacientes com HPN forma hemolítica clássica não candidatos a transplante de medula óssea. Benefícios evidentes na prática clínica.</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 parcialmente da recomendação preliminar. O altíssimo preço deste medicamento não deve ser impedimento para sua utilização em casos graves, com risco de morte. Por este motivo a sua utilização só deverá ser realizada por hematologista habilitado em Centros de referência no tratamento desta doença. Um destes centros é o Hospital de Clínicas da Universidade Federal do Paraná.</p> <p>2ª - Sim, A eficácia do Eculizumab é comprovada nos pacientes com hemólise grave e trombose.</p> <p>3ª - Sim, A crítica a este medicamento é o seu altíssimo custo, tendo em vista provavelmente a baixa prevalência desta doença na população, ou seja, 1,3 por milhão. Porém, como afirmado acima, não deve haver impedimento de utilização nos casos graves e em Centros de referência.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A liberação deste medicamento deveria vir pautada pela, em contato com a empresa, possibilidade de diminuição de custo.</p>	
30/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Mesmo que HPN seja uma doença rara, só o tratamento específico com a droga , pode trazer esperança a essa paciente. Pelos resultados q ele propõe.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Durante o período de especialização profissional em hematologia acompanhei 2 pacientes, sendo um com diagnóstico de HPN e outra com diagnóstico de Shua, os quais obtiveram claramente benefícios após iniciar o tratamento com Soliris, não apenas passando de necessidades transfusionais diárias para necessidades transfusionais zero, mas também por terem tido a possibilidade de sair de alta hospitalar para uma vida normal. A paciente de Shua deixou de necessitar de hemodiálise e recuperou sua função renal. Ou seja, tenho convicção de que quando bem indicado a medicação traz benefícios, melhora a qualidade de vida e impede a morte precoce de pessoas com uma doença que não optaram por ter. Diante do que vivenciei se desenvolvesse uma dessas doenças gostaria de poder utilizar a medicação e descordo que uma vida salva tenha preço. São doenças raras e por essa razão é difícil realizar publicações que contemplem todos os critérios para um bom estudo logo, apesar de tudo o que foi considerado, meu parâmetro para entender que essa medicação de fato importa, é ter presenciado os resultados dela na vida de pacientes que possuíam doenças tratadas por esta medicação.</p> <p>2ª - Sim, No artigo: Impacto do tratamento com eculizumabe sobre a hemoglobinúria paroxística noturna: um estudo comparativo entre grupos com e sem tratamento ficou demonstrado melhora na sobrevida global e menor risco de eventos trombóticos no grupo que recebeu eculizumabe quando comparado a coorte histórica. Em outro estudo sobre segurança e eficácia em longo prazo do tratamento sustentado com eculizumabe em pacientes com HPN, foi demonstrado redução do DHL, refletindo diminuição de hemólise, reduziu eventos trombóticos, melhorou função renal, e melhora na dependência transfusional. Foi bem tolerado, sem evidências de toxicidade cumulativa e com redução da ocorrência de eventos adversos com o tempo melhorando a sobrevida global.</p> <p>3ª - Sim, Como expressado anteriormente o impacto econômico não pode ser o fator relevante para a não incorporação da medicação no tratamento do paciente com HPN. Estou convicta que pacientes com critérios para utilizarem a medicação se beneficiarão cursando com melhora da qualidade de vida, diminuição da dependência transfusional, menor risco de evoluir para necessidade de hemodiálise, menor risco de sequelas por eventos trombóticos, diminuição da necessidades de internações hospitalares inclusive em Unidades de terapia intensiva além de menor risco de óbito, e todos esses benefícios são expressivos quando falamos de um país em que a demanda de Concentrado de Hemácias é superior a disponibilidade, onde não vagas para hemodiálise suficientes, havendo filas de espera, onde leitos de terapia intensiva são insuficientes, onde pacientes não contam praticamente com serviços de reabilitação. Além disso o repasse do SUS para os serviços acima citados são inferiores ao que tabela de serviços privados pagam, o que provavelmente contribui muito para que a avaliação econômica entre custo benefício pareça considerável.</p> <p>4ª - Sim, 1. Como já declarado acima uma paciente com HPN que curse com: necessidade transfusional recorrente + anti-coagulação + internações recorrentes + necessidade de hemodiálise + necessidade de terapia intensiva (por complicações) + serviço de reabilitação em razão de sequelas vai também vai gerar impacto orçamentário no SUS. 2. Com doença em atividade deixa de ser alguém capaz de exercer atividades laborais ou seja, essa é uma doença cujo controle impacta na qualidade de vida daquele que é portador dela. 3. O orçamento investido nesse tratamento, conforme apontado no relatório técnico, considerando que</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>trata-se de doença rara, é insignificante quando comparado com todo dinheiro desviado pelos nossos governantes, prefiro meus impostos investidos na saúde de pessoas que precisem do que no bolso de governantes corruptos. 4. Em reportagem recente realizada pelo Globo Reporter foi possível ver pacientes descrever o quanto a medicação impactou de maneira positiva na vida deles.5. Também com diato anteriormente na minha opinião a vida não tem preço e eu também tive a oportunidade de ver pacientes que se beneficiaram com o uso da medicação.</p> <p>5ª - Sim, No Brasil nós médicos sempre cursamos com dificuldades como esta. Uma medicação que tem benefício claro, que melhora sim a qualidade de vida daqueles com uma indicação adequada de uso, tendo pela CONITEC uma recomendação contrária ao seu uso, talvez por que não há dentre os indivíduos responsáveis pela análise portadores dessa doença rara. Eu vi paciente jovem morrer esperando o tratamento, por eventos trombóticos suscetíveis, associado a progressão de insuficiência renal e vi paciente sair da beira da morte após introdução da medicação. Com certeza a minha chance de ver o impacto do tratamento na vida do paciente me faz considerar essa uma medicação muito importante e necessária quando bem estabelecidos quais serão os pacientes com indicação de recebe-la. Vida não pode ter preço. Embora concorde que os estudos não são exatamente os mais bem formulados, deve-se levar em conta a raridade dessa doença e portanto a dificuldade de obter número expressivo de pacientes para estudos. mas, temos no Brasil pacientes em uso da medicação e, sugiro que para uma justa avaliação sobre incorporar ou não está medicação no tratemanto dos pacientes com HPN, seja realizada uma avaliação de como a medicação impactou nesses nossos pacientes. Certamente não é algo impossível e demonstrará que no dia a dia de quem possui a doença, fazer a medicação de fato melhou sua qualidade de vida.</p>	
31/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes que por algum motivo não são candidatos a TMO como faria? Conheço pacientes com HPN que não possuem doador, evoluíram com trombose e piora de função renal e que com eculizumabe estavam sob controle e que agora com a interrupção de medicação estão novamente evoluindo com as mesmas intercorrencias do periodo pre Eculizumab. Acredito que deve-se ser feita a incorporação e seguir com um grupo para analise da indicação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Sugiro que as medicações de alto custo como Eculizumabe seja incorporado mas que para sua liberação efetiva passe por um grupo de analise verificando a existencia de outras possibilidades terapeuticas.Não existindo meios alteranativos, libera-se o seu uso!</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/10/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Na nossa instituição acompanhamos pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna, dentre eles 04 pacientes fazem uso regular de Eculizumabe e observamos um incremento importante na resposta clínica e principalmente na qualidade de vida desses pacientes. A resposta clínica determina que o paciente deixe de necessitar de transfusões sanguíneas crônicas que na nossa opinião tem impacto elevado tanto no custo para o tratamento como na morbidade desses pacientes, pelo risco de aloimunização, transmissão infecciosa, reações imunológicas ou adversas entre outras.Observamos uma excelente resposta clínica em todos os pacientes que fazem uso do medicamento no nosso serviço.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Na nossa prática clínica acompanhamos pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna, dentre eles 04 pacientes fazem uso regular de Eculizumabe e observamos um incremento importante na resposta clínica e principalmente na qualidade de vida desses pacientes. A resposta clínica determina que o paciente deixe de necessitar de transfusões sanguíneas crônicas que na nossa opinião tem impacto elevado tanto no custo para o tratamento como na morbidade desses pacientes, pelo risco de aloimunização, transmissão infecciosa, reações imunológicas ou adversas entre outras.Observamos uma excelente resposta clínica em todos os pacientes que fazem uso do medicamento no nosso serviço.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes com HPN necessitam dessa medicação para controle adequado de sua patologia.</p> <p>2ª - Sim, Acompanho uma paciente no Hospital Universitário que melhorou as intercorrências clínicas da doença com o uso do eculizumabe.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/10/2018	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Acredito que o fornecimento deva ser pelo ministério da saúde mas deve ter disponibilidade de compra por agências de saúde complementar também. 2ª - Não 3ª - Sim, O custo deve ser reduzido pois trata-se de tratamento por toda a vida. 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da recomendação preliminar, em virtude do exposto abaixo: <b>Hemoglobinúria Paroxística Noturna 1 (HPN, OMIM 300818, CID 10: D59.5)</b> é uma rara anemia hemolítica adquirida que cursa com hemoglobinúria, dor abdominal, distonias da musculatura lisa, disfagia, disfunção erétil, hipertensão pulmonar, trombose e má qualidade de vida. É causada pela expansão de células-tronco hematopoiéticas com mutação no gene Phosphatidylinositol Glycan Anchor Biosynthesis Class A Protein (PIGA, OMIM 311770, locus Xp22) que codifica uma proteína envolvida na biossíntese do glicosilfosfatidilinositol (GPI) que é uma lipoproteína que se fixa a dezenas de proteínas da superfície celular. Na HPN, as células são deficientes em proteínas ancoradas a GPI (como CD55 e CD59, que tem função regulatória do sistema de complemento) na superfície celular determinando hemólise intravascular. A hemólise determina anemia, com necessidade de transfusões sanguíneas frequentes. Eculizumabe (Soliris®) é um anticorpo monoclonal humano contra a proteína do complemento C5 utilizado no tratamento da HPN. Estudos clínicos evidenciaram redução da hemólise intravascular e a necessidade de transfusões sanguíneas, melhora da fadiga e melhor qualidade de vida. Eculizumabe tem registro na ANVISA: 0288241/15-8, DOU de 13/03/2017.</p> <p>2ª - Sim, Estudos clínicos com Eculizumabe evidenciaram redução da hemólise intravascular e a necessidade de transfusões sanguíneas, melhora da fadiga e melhor qualidade de vida.</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>) <b>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</b></p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

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

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>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 Eculizumabe aos pacientes devidamente diagnosticados com HPN determina atraso no início do seu tratamento, com agravação 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 aprobe com máxima celeridade a incorporação do Eculizumabe no rol de medicamentos do SUS.</p>	
31/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, TRABALHO COM PACIENTES QUE TEM HPN E VEJO COMO ELES MELHORARAM E VOLTARAM A TER UMA VIDA PRODUTIVA.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
31/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eculizumabe é a única opção terapêutica existente disponível até o momento para pacientes com HPN que não tenham indicação de TRansplante Alogênico de Medula Óssea. Na minha opinião, o parecer desfavorável foi baseado em dados incorretos. O fator custo - por exemplo - não corresponde à realidade prática, pois não são todos os paciente com HPN que precisam de tratamento com Eculizumab. De acordo com dados científicos, apenas cerca de 30% dos pacientes com clones HPN tem indicação de tratamento.</p> <p>2ª - Sim, A inciação de tratamento com Eculizumab é precisa, objetiva e baseada no estudo anexado a seguir, que classifica os paciente que necessitam e se beneficiam do Eculizumab como os com "Alta Atividade de Doença", que perfazem cerca de 30% do total de paciente com clones HPN detectados. O cálculo do custo total no qual foi baseado o parecer desfavorável da CONITEC foi feito considerando que 100% dos pacientes precisariam da terapia.</p> <p>3ª - Sim, Não são todos os pacientes com clones HPN que necessitam do tratamento.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. So quem trata os pacientes e vê os benefícios pode a avaliar como eles ficam melhor</p> <p>2ª - Sim, A qualidade de vida dos pacientes melhora muito. Se tornam pessoas normais que voltam para o mercado de trabalho</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/10/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicamento essencial para o tratamento/controla da doença HPN</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/10/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um remédio essencial para sobrevivência!!!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem evidências de alta qualidade que atestam a eficácia e mudança de prognóstico em pacientes tratados com HPN ou SHUa.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trata-se de doença grave, que leva a incapacidade laborarias e de vida, potencialmente fatal, e o eculizumabe eh o único medicamento disponível para uso. Caso o paciente tenha indicação de uso, acho que deve receber pela União.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
01/11/2018	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>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Evidências de qualidade. Doença grave e não há outra opção de tratamento . Demonstrou redução da mortalidade, dependência trabafusionale incidência de trombooses. Importante criar protocolos para definição de critérios de tratamento , prática já estabelecida em outros países. Almeida, Int Med Journal 2017</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	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
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A ÚNICA DROGA COMO TERAPIA ALVO E SERIA UMA BOA OPÇÃO DE TRATAMENTO DE PACIENTES COM HPN.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O CUSTO BENEFÍCIO IDEAL DO TRATAMENTO DE ACORDO COM OS CRITÉRIOS DEFINIDOS DE ALTA ATIVIDADE DA DOENÇA.</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. o RELATÓRIO Preliminar da conitec não reflete a realidade da doença, do diagnóstico e do tratamento</p> <p>2ª - Sim, A HPN é uma doença altamente fatal e que até hoje não possui nenhuma terapia disponível no SUS que seja comprovadamente eficaz e que devolva a condição de vida ao paciente acometido com a doença. Portanto ter o eculizumabe disponível, representa a única esperança para os pacientes em questão. Outro ponto que vale ressaltar é que se trata de uma terapia que possui mais de 10 anos de eficácia comprovada em diversos estudos clínicos e extensão de estudos de vida real a longo prazo, o que refuta totalmente as informações apresentadas no relatório preliminar. Acredito que eculizumabe DEVE SER INCORPORADO AO SUS EM CARATER DE URGÊNCIA E NECESSIDADE.</p> <p>3ª - Sim, POr fim, nem todos os pacientes acometidos com HPN terão indicação de tratamento o que invalidaria a análise econômica do produto conforme descrito no relatório.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. o RELATÓRIO Preliminar da conitec não reflete a realidade da doença, do diagnóstico e do tratamento</p> <p>2ª - Sim, A HPN é uma doença altamente fatal e que até hoje não possui nenhuma terapia disponível no SUS que seja comprovadamente eficaz e que devolva a condição de vida ao paciente acometido com a doença. Portanto ter o eculizumabe disponível, representa a única esperança para os pacientes em questão. Outro ponto que vale ressaltar é que se trata de uma terapia que possui mais de 10 anos de eficácia comprovada em diversos estudos clínicos e extensão de estudos de vida real a longo prazo, o que refuta totalmente as informações apresentadas no relatório preliminar. Acredito que eculizumabe DEVE SER INCORPORADO AO SUS EM CARATER DE URGÊNCIA E NECESSIDADE.</p> <p>3ª - Sim, POr fim, nem todos os pacientes acometidos com HPN terão indicação de tratamento o que invalidaria a análise econômica do produto conforme descrito no relatório.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. DOENÇA DE ALTO RISCO TROMBÓTICO COM AMEAÇA A VIDA E SEM OUTRO TRATAMENTO ATUAL DISPONÍVEL.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculizumabe representa a única opção terapeutica para tratamento de pacientes com HPN com manifestações clínicas</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Faltaram vários artigos científicos que comprovam a eficacia do medicamento ,existem vários artigos sobre a melhora clinica do paciente</p> <p>2ª - Sim, o meu paciente teve uma excelente melhora da anemia fraqueza , disfagia e voltando a vida normal com o uso do medicamento ,o medicamento eculizumabe reduz a dependência de transfusões e incidência de trombose,alem de melhorar a insuficiência renal provocada pela HPN</p> <p>3ª - Sim, somente alguns pacientes utilizaram do medicamento 20 a 30% que são diagnosticados iram ser beneficiados</p> <p>4ª - Sim, Haverá redução de custos de internamento ,UTI ,redução de custos diretos e indiretos alem de melhorar a qualidade de vida .</p> <p>5ª - Sim, O grupo de hematologistas do nosso centro de Hematologia e Oncologia de Joinvile possui conhecimento para diagnosticar e tratar os pacientes com HPN de maneira adequada .A citometria de fluxo no estado de SC e de alto padrão</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Antes do Eculizumab, mesmo com o suporte terapêutico disponível, os pacientes evoluíam para quadro graves de trombose e mesmo anemia hemolítica ( até pancito ). Os que atingiam a realização do TMO alogênico, tinham na sua maioria também, uma evolução nada favorável. Complicações agudas e internações complexas e prolongadas.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho pacientes que se beneficiaram grandemente com o uso da megicação em questão, tendo uma excelente melhora da qualidade de vida, diminuição de transfusões, internação e do risco de trombose e acometimento de órgão alvo, sendo indicado para casos com indicação precisa.</p> <p>2ª - Sim, Envio os artigos e biografyque embasam minha opinião: Peter-Hilmen, Eficácia a longo prazo, 2013, Dr.Almeida Alta atividade da doença 2017, Dr- Michael Loschi, Aumento da sobrevida global</p> <p>3ª - Sim, Uso restrito para pacientes com indicação</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Há evidências clínicas do benefício do uso do eculizumabe nos pacientes que acompanhamos em nosso serviço. Estudo: Natural history of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. N Engl J Med</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. tratamento de pacientes gravíssimos. retardo na aquisição ou ausência pode levar a óbito rapidamente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não incluídos artigos importantes para avaliação da efetividade e benefício com o uso de Eculizumab</p> <p>2ª - Sim, Melhora importante da fadiga e disposição, assim como anemia, mas principalmente quantidade de eventos trombo embólicos, que são de alta mortalidade e morbidade, trazendo por essas consequências alto custo social</p> <p>3ª - Sim, A incidência estimada de HPN é 1 a 1,5 por milhão, nobrasil é sub diagnosticado, e mesmo os diagnosticados somente cerca de 20% dos pacientes terão inciação de usar eculizumab</p> <p>4ª - Sim, Deve-se estabelecer critérios para uso e descontinuação da medicação, não sendo usado para todos os pacientes.Uma vez utilizando a medicação o paciente é capaz de uma qualidade de vida próxima do normal, reduzindo assim o custo social e financeiro relacionado as comorbidades da doença</p> <p>5ª - Sim, Necessário utilização adequada das técnicas de diagnostico da doença, e que estão disponíveis, inclusive para pacientes do SUS na alta complexidade.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação tem evidência científica e clinica de melhora, com mudança de qualidade de vida do paciente. A medicação é segura e a única droga disponível para o tratamento da HPN. A doença e grave e traz muita morbidade.</p> <p>2ª - Sim, Tenho paciente em uso da medicação. O pacientes dependente de Transfusao, usava corticoide, sem melhora nenhuma. Tinha muitos sintomas de cansaço e dores, com limitações da vida diária. Após a introdução do eculizumabe, o paciente apresentou melhora da anemia, melhora dos níveis de DHL, não usou nenhuma vez mais transfusao de sangue. Voltou a trabalhar.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O eculizumab é extremamente importante para o tratamento da H P N. Sem esse medicamento , certamente, muitos pacientes morrerão.</p> <p>2ª - Sim, Tenho paciente com hpn que quando fica sem o eculizumab piora muito e , frequentemente, e internada em ctis com exacerbação da doença.</p> <p>3ª - Sim, A vida não tem custo, não tem preço.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, As evidências clínicas são de que esse mediamento é essencial no trat da honra.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. os paciente com indicação para uso são beneficiados com melhora da qualidade de vida, redução do risco trombotico e independencia transfusionalartigoacientificossegrurança e eficacia a longo prazo do tratamento sustentado com eculizumabe em pacientes com HPN autor: peter hillmenrevista : british journal of hematology, 2011artigo: tratamento de longo prazo com eculizumabe na HPN: eficacia sustentada e sobrevida prolongadaautor: richard kellyrevista: blood, 2011</p> <p>2ª - Sim, a medicação é eficaz , melhora a quailidade de vida , retira o paciente do risco eminente de obito, redução dos eventos tromboticos e dependencia transfusional. unica medicação aprovada pelo FDA, e EMEA e Anvisa para o tratamento de HPN.</p> <p>3ª - Sim, de acordo com avaliação economica discordo do relatorio pois esta descrito o valor para 100% dos pacientes tratados e a literatura evidencia que apenas 30% dos pacientes tem indicação para tratamento.</p> <p>4ª - Sim, o paciente com HPN frequentemente tem internações, infecções , trombozes , transfusões e cirurgias com abdome agudo por tronbose em mesenterio, essas situações são fatores que deixam caro o tratamento; pois podem acontecer varias vezes no mesmo paciente</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes cronicos , com multiplas complicações sistemicas e de dificil diagnostico que levam a custos elevados até conseguirem o diagnostico correto. Apresentam riscos de trombose insuficiencia renal e falencia de medula ossea levando a necessidade transfusional com elevação de ciustos e tambem a necessidade de unidades de terapia intensiva .Pacientes jovens com vida produtiva e com doença cronica incapacitante. Artigos: Tartamento da HPN a longo prazo com eculizumabe: eficacia persistente e melhora da sobrevida.Autor : Richard Kelly, 2011- Revista BloodArtigo: Impacto do tratamento com eculizumabe sobre a HPN : um estudo comparativo entre ofgrupos com e sem tratamento Autor Michael Loschi American Journal of hematology 2015</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim, Pacientes ntes não tem acesso rapido ao diagnostico alem de jovens . Necessidade cuidados criticos nas complicações de trombose e insuficiencia renal bem como complicações serias quando submetidos ao transplante de medula óssea , este procedimento de TMO encarece e não traz a longo prazo bons resultados e tem custos elevados . Incapacitação do paciente por insuficiencia d emultiplos órgãos</p> <p>4ª - Sim, O custo da droga apesar de elevado , mas somente 30 % dos pacientes tem indicação de tratamento , então este custo não é alto aos cofres publicos</p> <p>5ª - Sim, pacientes jovens e em fase produtiva de vida perdem a capacidade laboartiva</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação com impacto na sobrevida do paciente além da morbidade</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Droga excelente para controle da doença HPN CUJA EVILUCAO É EXTREMAMENTE DESFAVORAVEL</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. NAÕ EXISTE OUTRO TRATAMENTO EFICAZ. COMO CITOMETRISTA VEJO A EFICACIA DO TRATAMENTO NOS PACIENTE HPN+, INCLUSIVE COM MELHORA DA QUALIDADE DE VIDA E AUMENTO DA SOBREVIDA.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Destaco a simplicidade e rapidez do método vigente, no caso a citometria de fluxo, destacando a marcação do FLAER. que faz para do painel de citometria de fluxo e não um exame alternativo.</p>	
01/11/2018	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
01/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho algumas considerações quanto à algumas colocações dentro do relatório técnico</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. POSSUO EXPERIENCIA COM O USO DA MEDICAÇÃO COM EXCELENTE RESPOSTA E MELHORA DA QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES</p> <p>2ª - Sim, Almeida Antonio M, et al. Clinical benefit of eculizumab in patients with no transfusion history in the International Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria Registry. Internal Medicine Journal. John Wiley &amp; Sons Australia, Ltd; 2017 Sep;47(9):1026-1034. Hill A, et al. Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. Nat Rev Dis Primers. 2017. Kelly RJ, Hill A et al. Long-term treatment with eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: sustained efficacy and improved survival. Blood. 2011 Jun 23;117(25):6786-92.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um medicamento com evidências científicas mais do que comprovadas que muda o curso clínico da HPN</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Op percentual de pacientes que realmente necessitam do tratamento não deverá implicar em tão grande impacto econômico</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A HPN é de alto risco para trombose e a medicação apresenta alto impacto no seu prognostico</p> <p>2ª - Sim, Referencias:Richard J Kelly: Tratamento de HPN a lono prazo...Michael Loschi: Impacto do tratamento com Eculizumab sobre a HPN....</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. MEDICAÇÃO COM ALTO GRAU DE EFICACIA PARA PACIENTES COM HPN. SEGUNDO ESTUDO DE RICHARD KELLY, PUBLICADO NA BLOOD DE 2011, 40% DOS PACIENTES COM HPN TEM RISCODE OBITO PROVOCADO POR TROMBOEMBOLISMO, PORTANTO SENDO NECESSARIO APROVAR ESTRATEGIAS CADA VEZ MAIS EFICAZES PARA SEU TRATAMENTO.</p> <p>2ª - Sim, MEDICAÇÃO COM ALTO GRAU DE EFICACIA PARA PACIENTES COM HPN. SEGUNDO ESTUDO DE RICHARD KELLY, PUBLICADO NA BLOOD DE 2011, 40% DOS PACIENTES COM HPN TEM RISCODE OBITO PROVOCADO POR TROMBOEMBOLISMO, PORTANTO SENDO NECESSARIO APROVAR ESTRATEGIAS CADA VEZ MAIS EFICAZES PARA SEU TRATAMENTO.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Doença grave. Pacientes apresentar muita morbidade (anemia severa, trombozes, dor, acometimento pulmonar e cardíaco) e mortalidade. Não há outro tratamento adequado, salvo o transplante de medula óssea alogênico, que também é de altíssimo custo e oferece alto risco de morbimortalidade.</p> <p>2ª - Sim, Rinchar, J.K. Tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna a longo prazo com eculizumabe: eficácia persistente e melhora da sobrevida</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Paciente se torna economicamente ativo novaste com o tratamento. Menos morbidade e portanto, menos internações e despesas médicas, farmacológicas.</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Muitos pacientes podem ser atendimentos, dentro dos protocolos de doenças raras que necessitam de medicamentos que melhoram a situação de vida destes pacientes e familiares</p> <p>2ª - Sim, medicamento reduz a anemia, problemas de trombose fadiga, diminui insuficiência renal, todos os sintomas clínicos do HPN são melhorados com o uso do medicamento, melhora fraqueza e dispnéia.</p> <p>3ª - Sim, Nem todos os pacientes os necessitar deste medicamento apenas uma pequena parte que apresentem os sintomas clínicos e LDH elevado e alta atividade da doença.</p> <p>4ª - Sim, Entorno de 20% são vão utilizar este medicamentos, sendo importante a reavaliação do governos para estes pacientes</p> <p>5ª - Sim, Com a condução e utilização adequada destas medicações, ocorrem melhora na qualidade de vida desta populações e seus familiares. Melhorando o adoecimento da comunidade pois muitas vezes a busca pela saúde causa muito sofrimento. A dor leva a ao surgimento de outros agravos a saúde como depressão e outras doenças primárias antes inexistentes. A Citometria de fluxo é o exame que diagnostica a HPN de maneira mais adequada.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. que é importante os relatórios da CONITEC incluir outros artigos científicos que mostram o benefícios do ECUZUMABE, no tratamento de HPN, houve boa resposta nos pacientes que acompanhei usando ECUZUMABE, durante o período de uso do medicamento esteve totalmente assintomático e realizando atividade normal, inclusive teve gestação, sem complicação a criança.</p> <p>2ª - Sim, houve diminuição da anemia , fraqueza, ganho de peso, desapareceu a hemoblobinuria, hemólise, conseguia realizar as atividades rotineira normais. voltando os sintomas e emagrecimento e anemia após parar o medicamento</p> <p>3ª - Sim, nem todos os pacientes com diagnóstico de HPN, necessita de tratamento com eculizumabe, somente aqueles com doenças alta atividades da doença, pois tem alto índice de mortalidade neste paciente com alta atividade de HPN, se não tratar com esta medicação</p> <p>4ª - Sim, quando bem tratado reduz as transfusões e falta atividade laborativas, e as trombozes e pancitopenia até aplasia medular, e óbitos altos se não tratados. O tratamento reduz os custos medicamentosos e hospitalares com esses doentes, e ainda mantendo vivos estes pacientes.</p> <p>5ª - Sim, como médico este pacientes necessita de tratamentos com eculizumabe, para ter vida normal e exercer suas atividades normalmente e nas mulher poder engravidar em uso do medicamento. o medicamento evta as trombozes, que é umas das principais complicações da doença HPN. Temos a citometria de fluxo que faz o diagnóstico de maneira correta de HPN. O estado de Santa Catarina possui citometria de fluxo de alta qualidade e gratuita (SUS)</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. TRATA-SE DE DOENÇA RARA, COM A GRANDE MAIORIA SENDO PACIENTES JOVENS, QUE PASSAM A TER VIDA PRODUTIVA QUANDO EM TRATAMENTO</p> <p>2ª - Sim, ESSE ESTUDO APRESENTA O RESUMO DO BENEFICIO DO GRUPO QUE SE BENEFICIA COM O TRATAMENTO</p> <p>3ª - Sim, DEVE SERANALISADO QUE NÃO SÃO TODOS OS PACIENTES QUE INICIARÃO E TERÃO INDICAÇÃO DE TRATAMENTO. ENTÃO O CUSTOLEVANTADO NÃOÉ REAL.</p> <p>4ª - Sim, LEVANDO EM CONSIDERAÇÃO O ESCRITO ACIMA, DEVE SER LEMBRADO QUE MENOS DE 50% INICIARÃO OU FARÃO O TRATAMENTO</p> <p>5ª - Sim, TENHO PACIENTES EM TRATAMENT, E O QUE SE VÊ NA PRÁTICA,É O RETORNO ÀS SUAS ATIVIDADES NORMAIS, COM QUALIDADE DE VIDA</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O relatório preliminar não reflete a realidade descrita na literatura e prática clínica.</p> <p>2ª - Sim, A sobrevida dos pacientes em tratamento com Eculizumabe é a mesma da população de mesma idade e sexo da comunidade. Esta é uma evidência incontestável dos benefícios da terapia. HPN é uma doença crônica, progressiva e potencialmente fatal. Cursa com trombose. hipertensão pulmonar e DRC como as principais causas de mortalidade, assim como, a sintomatologia resultante da hemólise crônica mediada pelo complemento. Não há nenhuma outra opção terapêutica que atue na causa subjacente da HPN.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O relatório da CONITEC, sugere que todos os pacientes com presença de clone HPN devem ser tratados com Eculizumabe. Segundo a própria bula do produto, registrado na ANVISA, apenas os pacientes com clone HPN, somados a hemólise (DHL acima de 1,5x o limite superior da normalidade) e sintomas clínicos, devem ser tratados com Eculizumabe. Sendo assim, segundo a literatura e experiência do serviço, corresponde apenas até 1/3 dos casos.Ref. Bibliográfica: Bula do produto (ANVISA), Almeida 2016.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
01/11/2018	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. importante nas doenças raras, o paciente ter acesso ao medicamento e poder utilizar de maneira correta para que os sintomas melhorem como fadiga, anemia, cansaço, disfagia e evitar trombooses que matam</p> <p>2ª - Sim, O Eculizumabe possui eficácia e evidências científicas que comprovam os benefícios aos pacientes com HPN. Melhora de qualidade de vida , vida normal durante o uso do tratamento</p> <p>3ª - Sim, Um numero de pacientes bem restritos ao tratamento, tanto que 20 a 30% dos pacientes com HPN que serao tratados com Eculizumabe, pacientes com alta atividade de doença LDH elevado e sintomas clinicos citados: disfagia , dispneia, dor abdominal, disfunção eretil e aqueles que podem morrer com ocorrencias de tromboembolismo</p> <p>4ª - Sim, O medicamento com restrições que deve ser utilizado, pois como citado somente um percentual de pacientes que serao tratados</p> <p>5ª - Sim, O medicamento pode trazer uma qualidade de vida, uma vida normal aos pacientes que sao diagnosticados com HPN.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É comprovado que o eculizumabe é o único tratamento que melhora qualidade de vida e sobreavisa. Pelas evidências científicas</p> <p>2ª - Sim, Evidências clínicas mostram melhora da qualidade de vida e sobrevida</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Até um 1/3 dos pacientes terão indicação de tratamento, não todos que tem presença de clone</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pelas evidencias científicas e experiencia clinica</p> <p>2ª - Sim, Melhora clinica do pacte e diminuicao das transfusoes e outras complicacoes</p> <p>3ª - Sim, Nem todos os pactes necessitam de iniciar tto e sim apenas aqueles com muita carga de doenca</p> <p>4ª - Sim, Apenas uma parte dos pactes cerca de 30 por cento necessitam de tto</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Secretaria Estadual de Saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Considerando que os pacientes com HPN podem apresentar manifestações clínicas relacionadas à hemólise intravascular como fadiga, dor abdominal, espasmo esofágico com dor à deglutição e dor torácica, disfunção erétil e possivelmente trombose, e também que este é a única alternativa terapêutica para tratamento dessa patologia, somos favoráveis à incorporação do medicamento Eculizumabe para tratamento de HPN.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. m eus pacientes quefazem uso do eculisumab passaram a nao ter necessidade transfusional e a ter melhor qualidade de vida. Quando atrasa a chegar a medicacao, fazem crise de hemolise severs com grande risco de vida.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Avaliar estudos de extensão que não foram verificados. Nem todos os pacientes com diagnóstico de HPN precisam de tratamento imediato, apenas em caso de alta atividade de doença.</p> <p>2ª - Sim, Estudos científicos comprovam redução de anemia, incidência de trombozes, diminuição do número de internações com diminuição de número de transfusões, gerando economia de recursos.</p> <p>3ª - Sim, Avaliar o gasto apenas com os pacientes que realizarão tratamento conforme critérios estabelecidos, que corresponde apenas de 20 a 30% do total.</p> <p>4ª - Sim, Os gastos realizados apenas nos pacientes que preenchem critérios definidos reduzirão custos com internações, transfusões e melhorarão a qualidade de vida dos acometidos.</p> <p>5ª - Sim, O diagnóstico de HPN é possível por exame de citometria de fluxo, portanto teremos acesso diferentemente do citado no relatório.</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
01/11/2018	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>	
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. os pacientes são beneficiados com o tratamento por diminuição do numero de internações e alta de procedimentos transfusionais.</p> <p>2ª - Sim, Não é o número total de pacientes com diagnóstico de HPN que serão tratados, apenas 20 a 30% desse numero precisará de tratamento, portanto os custos serão menores do que os descritos.</p> <p>3ª - Sim, Redução do numero de internações, transfusões e qualidade de vida.</p> <p>4ª - Sim, O impacto orçamentário não sera o indicado no relatório, pois apenas 20 a 30% dos pacientes serão tratados.</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a> <a href="#">Clique aqui</a> <a href="#">Clique aqui</a>
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trata-se de doença grave, que leva a incapacidade laborarias e de vida, potencialmente fatal, e o eculizumabe eh o único medicamento disponível para uso. Caso o paciente tenha indicação de uso, acho que deve receber pela União.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. pacientes estão beneficiados com medicação , mudança completa na qualidade de vida dos mesmos</p> <p>2ª - Sim, estudos demonstram que paciente apresentam melhora da sobrevida com o uso de Eculizumab</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Pacientes sem Eculizumab , retornaram com sintomas e evoluíram com trombose e risco de vida</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. pacientes estão beneficiados com medicação , mudança completa na qualidade de vida dos mesmos</p> <p>2ª - Sim, estudos demonstram que paciente apresentam melhora da sobrevida com o uso de Eculizumab</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Pacientes sem Eculizumab , retornaram com sintomas e evoluíram com trombose e risco de vida</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação tem evidência científica e clinica de melhora, com mudança de qualidade de vida do paciente. A medicação é segura e a única droga disponível para o tratamento da HPN. A doença e grave e traz muita morbidade.</p> <p>2ª - Sim, Tenho paciente em uso da medicação. O pacientes dependente de Transfusao, usava corticoide, sem melhora nenhuma. Tinha muitos sintomas de cansaço e dores, com limitações da vida diária. Após a introdução do eculizumabe, o paciente apresentou melhora da anemia, melhora dos níveis de DHL, não usou nenhuma vez mais transfusao de sangue. Voltou a trabalhar.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
01/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A FHEMOAM DISPÕE DE PACIENTES COM HPN EM TRATAMENTO. AQUI TEMOS CRITÉRIOS PARA INDICAR O ECULIZUMABE, NUNCA É A PRIMEIRA OPÇÃO, SALVO SE O PACIENTE TEM INDÍCIOS CLÍNICOS E LABORATORIAIS DE HEMÓLISE GRAVE E RISCO POTENCIAL DE TROMBOSES. ANEMIAS APLÁSTICAS FAZEM O TRATAMENTO COM O PROTOCOLO DO MINISTÉRIO DA SAÚDE E INDICAMOS TMO SE HOUVER DOADOR. OS PACIENTES QUE ESTÃO EM USO DA REFERIDA MEDICAÇÃO, ESTÃO COMPENSADOS DA DOENÇA, SEM SINAIS DE HEMÓLISE COM NORMALIZAÇÃO DA SÉRIE VERMELHA, DEIXANDO DE SER NECESSÁRIAS TRANSFUSÕES REGULARES ENTRE OUTRAS COMPLICAÇÕES. SOLICITAMOS QUE REVISEM ESTA DECISÃO POIS IMPLICARÁ EM AUMENTO DE MORTALIDADE NESTE GRUPO DE PACIENTES.</p> <p>2ª - Sim,  <a href="http://www.scielo.br/pdf/ramb/v56n2/a22v56n2.pdf">http://www.scielo.br/pdf/ramb/v56n2/a22v56n2.pdf</a><a href="https://repositorio.ufba.br/ri/bitstream/ri/20096/1/Larissa%20Maria%20Puridade%20Maciel%20-%20Vers%C3%A3o%20Final%20%28Monografia%29.pdf">https://repositorio.ufba.br/ri/bitstream/ri/20096/1/Larissa%20Maria%20Puridade%20Maciel%20-%20Vers%C3%A3o%20Final%20%28Monografia%29.pdf</a><a href="http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&amp;pid=S0104-42302010000200022">http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&amp;pid=S0104-42302010000200022</a><a href="http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&amp;pid=S1516-84842002000400006">http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&amp;pid=S1516-84842002000400006</a></p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, CONTROLE NOS CUSTOS E ORÇAMENTOS DA SAÚDE PARA COMPRAR ESSAS MEDICAÇÕES ESPECIAIS DE ALTO CUSTO. INCENTIVAR QUE A MEDICAÇÃO SEJA PRODUZIDA NO BRASIL, OU ENCONTRAR UMA FORMA DE ADQUIRIR A DROGA MAIS ACESSÍVEL.</p>	
02/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O parecer atual do conitec traz como justificativa a previsão de gastos com a incorporação do eculizumabe no sus. Não levou em consideração o fato de que nem todos os pacientes com clone HPN terão indicação de tratamento. O valor apresentado não corresponde à realidade de impacto. Outra observação é o fato de atualmente não existir outra terapia capaz de reduzir morbimortalidade e melhorar qualidade de vida dos pacientes. A terapia apresentada como alternativa no parecer do conitec não resolve o problema, não reduz risco de trombose, não diminui internações hospitalares, não reduz mortalidade. Ao contrário, o eculizumabe hoje é a única droga aprovada para tratamento com capacidade de melhorar qualidade de vida, internações, transfusões, risco de trombose, disfunções orgânicas e mortalidade</p> <p>2ª - Sim, As evidências atuais estão bem estabelecidas sobre redução de morbidade e mortalidade.</p> <p>3ª - Sim, A avaliação do conitec foi feita baseada no tratamento de todos os pacientes com clone de HPn. No entanto nem todos têm indicação de tratamento.</p> <p>4ª - Sim, Vide resposta anterior</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. melhora clinica e sem necessidade transfusional Ref bibliográficas: artigo do Richard Kelly, Blood 2011 e Michel Loschi, AJH, 2015 e Gerard Socie, IMJ, 2016</p> <p>2ª - Sim, melhora clinica importante após a introdução da medicação, evidenciando com diminuição da necessidade transfusional e de tromboes de repetição</p> <p>3ª - Sim, Dos pacientes a serem tratados segundo a literatura não tem indicação de tratamento em 100% dos casos conforme descrito no relatório</p> <p>4ª - Sim, discordo com o valor divulgado no relatório pois apenas trinta por cento dos pacientes têm indicação de tratamento e por se tratar de uma doença ultra rara, não chegaria ao valor informado no relatório</p> <p>5ª - Não</p>	
02/11/2018	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>	
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Melhora da sobrevisa e QDV comprovada.</p> <p>2ª - Sim, Estudo de sobrevida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Apenas os pacientes com hemólise e sintomas clínicos, são elegíveis ao tratamento da HPN com Eculizumabe.Almeida 2016</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. So quem trata os pacientes e vê os benefícios pode a avaliar como eles ficam melhor</p> <p>2ª - Sim, A qualidade de vida dos pacientes melhora muito. Se tornam pessoas normais que voltam para o mercado de trabalho</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O medicamento em questão apresenta através de estudos evidencias consistentemente favoráveis aos pacientes em tratamento após diagnóstico de HPN</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é essencial para os pacientes com HPN e não há justificativa plausível para a não inclusão do medicamento para paciente do SUS.</p> <p>2ª - Sim, A medicação é essencial na redução dos eventos trombóticos associados a HPN, uma das principais complicações associadas a óbito nos pacientes.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
02/11/2018	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>	
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Dados importantes de literatura</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Vemos por meio de estudos clínicos e na prática clínica remissão e ausência de eventos trombóticos</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	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>	
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não é a totalidade de pacientes com diagnóstico de HPN que serão ou receberão o tratamentos. Porem aqueles que tem indicação o medicamento tem forte impacto na sobrevida global e na redução de morbidades.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes com HPN compõe um grupo heterogêneos de pacientes. Alguns com indicação de tratamento devido a presença de hemólise, citopenia ou eventos trombo-hemolíticos catastróficos. Nesses pacientes o medicamento tem forte impacto na sobrevida e redução de morbidade.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Somos favoráveis que seja revisto tais colocações para que os artigos sejam revistos e os critérios de inclusão também.</p> <p>2ª - Sim, De acordo com o acompanhamento clínico dos pacientes tratados observamos que o impacto na qualidade de vida são visíveis a médio e longo prazo nos que receberão Eculizumab</p> <p>3ª - Sim, No que tange que para os pacientes com critérios para tratamento tratados devem-se configurar que a economia que ocorrerá a nível de menos riscos de hospitalizações, menos utilização de recursos financeiros a medio e longo prazo com impacto positivo na qualidade devida dos pacientese impedindo os mesmos de exercerem suas atividades laborais.</p> <p>4ª - Sim, Importante rever que os custos orçamentários para os pacientesque devem receber tratamento são previsíveis pois pelos motivos acima reduziram absentismo ao tarbalhao, aumento das diaria sdos hospitaisentre outros, para os que receberão o tratarmenrto</p> <p>5ª - Sim, Como hospital de referencia tem como conseguirmos realizaro diagnóstico destes pacientes e temos condições de oreintar as prescriçõespara os casos necessários</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O tratamento com eculizumabe é essencial para pacientes com HPN, pois esta associado a redução de risco de dano a órgãos decorrentes de hemólise, redução da necessidade de transfusão e redução do risco de trombose. Além disso, estudos demonstram redução de mortalidade.</p> <p>2ª - Sim, O tratamento com eculizumabe é essencial para pacientes com HPN, pois esta associado a redução de risco de dano a órgãos decorrentes de hemólise, redução da necessidade de transfusão e redução do risco de trombose. Além disso, estudos demonstram redução de mortalidade.</p> <p>3ª - Sim, A droga não está indicada para todos os pacientes portadores da doença, e sim para aqueles com eventos trombóticos prévios, LDH elevada, e outros sintomas indicativos de alta atividade da doença.</p> <p>4ª - Sim, A droga não está indicada para todos os pacientes portadores da doença, e sim para aqueles com eventos trombóticos prévios, LDH elevada, e outros sintomas indicativos de alta atividade da doença.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, RECONHECO O ECULIZUMABE COMO UNICA DROGA DISPONIVEL PARA TRATAMENTO DO HPN VISTO QUE A PATOLOGIA TRAZ SERIOS RISCOS TROMBÓTICOS E HEMOLITICOS PARA O PACINTE COM RISCO DE MORTE</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
02/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O impacto deste tratamento atingirá cerca de 10-20% dos pacientes com o diagnóstico de H.P.N.Droga amplamente utilizado a nível mundial e bem fundamentada por literatura médica de referência.</p> <p>2ª - Sim, Tal tratamento leva a melhora clínica evidente traduzida por menor necessidade transfusional, redução de riscos de complicações como trombose, insuficiência renal e hipertensão pulmonar. Proporciona aumento de sobrevida dos pacientes, com segurança e qualidade de vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, reconheço que a HPN, é a principal cause de trombose em sítios atípicos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, RECONHEÇO QUE A HPN É A PRINCIPAL CAUSA DE MORTE EM SÍTIO ATIPICO</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação fundamental para o tratamento dessa rara doença. Além disso, não serão todos os pacientes que farão uso de mesma.</p> <p>2ª - Sim, *Artigo: Segurança e eficácia em longo prazo do tratamento sustentado com Ecz em pactes com HPNAutor: Peter HillmenRevista: British Journal of Haematology, 2011Artigo: Tratamento de longo prazo com Ecz na HPN: Eficácia sustentará e sobrevida prolongada Autor: Richard KellyRevista: Blood, 2011*Artigo Dr. Lee,2013Revista: International Journal of HematologyTítulo: Sinais e sintomas clínicos associado ao risco com o aumento do risco trombótico em pactes com HPN Autor principal: Jong Lee</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Segundo is artigos( em anexo) está comprovada e eficácia e segurança do tratwmento. Com melhora da sobrevida .</p> <p>2ª - Sim, contraloo a hemólise , reduz o risco de trombose e melhora a qualidade de vida. Reduz transfusão e sintomas do pcte</p> <p>3ª - Sim, trata-se somente pctes com alta atividade da doença, de acordo com o artigo Almeida-2017, aproximandamente30% dos casos</p> <p>4ª - Sim, o impacto será relacionado a 30% dos diagnósticos</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Única medicação disponível para HPN e com impacto na sobrevida e qualidade de vida dos pacientes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, vide anexo</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação de uso indicado para patologia em questão</p> <p>2ª - Sim, A medicação eculizumabe demonstrou redução de dependência transfusional, da incidência de trombose, da insuficiência renal e da hipertensão pulmonar.</p> <p>3ª - Sim, A relação custo benefício da medicação é superior em relação à melhora da qualidade de vida e gastos do paciente com atividade da doença.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Faltou dados complementares para demonstrar a importância do uso de eculizumabe no tratamento do HPN, por se tratar de uma doença rara é importante focar no tratamento com esta medicação para evitar morbi-mortalidade, inatividade laboral, enfim um aumento da sobrevida.</p> <p>2ª - Sim, Todos os artigos evidenciam o benefício do medicamento para diminuir anemia, disfagia, dor abdominal, trombozes, enfim diversos sintomas clínicos que impossibilitam o paciente de ter uma vida normal. O Eculizumabe reduz a mortalidade e os pacientes passam a ter uma vida normal podendo desenvolver as atividades do dia-a dia de trabalho e vida pessoal, - qualidade de vida para o paciente.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, trata-se de uma doença rara mas nem todos os pacientes vão necessitar do medicamento pois haverá critérios específicos de utilização.</p> <p>5ª - Sim, Atualmente os profissionais de saúde sempre tentam buscar o melhor tratamento para seus pacientes, que aumentem não somente a sobrevida mas que mantenha a qualidade de vida também. Hoje, a possibilidade de diagnóstico através da citometria de fluxo possibilita acompanhar todos os pacientes na evolução da doença e haverá menos gastos de saúde para o sistema de saúde com a incorporação do medicamento.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
02/11/2018	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Seria necessário reavaliar a revisão de literatura sobre o estudo da doença e seu devido tratamento, acrescentando critérios de inclusão clínicos e laboratoriais para o uso correto do medicamento, estratificando desta forma o paciente que realmente tem a necessidade de utiliza-lo , avaliar os benefícios em relação a custo e benefícios com o uso da droga e estes pacientes também poderiam ser incluídos no registro internacional de HPN para um melhor controle doença.</p> <p>2ª - Sim, OS artigos evidenciam a eficácia do medicamento para redução da hemólise, anemias persistentes, fadiga , disfagia , evitar a insuficiência renal e diminuir os riscos de trombose.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Reavaliar os critérios clínicos e laboratoriais de inclusão dos pacientes para realmente triar os que realmente necessitam e serão beneficiados com o uso do medicamento, pois esses paciente terão um grande benefício e impacto na sua qualidade de vida.</p> <p>5ª - Sim, Nos dias de hoje já temos disponível o diagnostico laboratorial da doença, e estudos que comprovam a melhora de sobrevida destes pacientes.E hoje temos disponível atraves de educação continuada e encontro científíficos o diagnostico laboratorial tem sido melhorado e possibilita um diagnostico e acompanhamento preciso da doença e com isso também trazendo uma provável diminuição dos gastos publicos com a doença.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A lei 8080/90 que regulamenta o SUS, afirma que saúde é um direito de todos e um dever do Estado. Artigo científico demonstram que pacientes com HPN em uso de eculizumabe, tem a mesma sobrevida pessoas que não possuem a doenças. Porém a não incorporação da medicação, faz com que a espera peça medicação seja grande os portadores da doença fiquem meses sem o tratamento, o que afeta diretamente sua qualidade de vida e aumenta a mortalidade do 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O eculizumabe é um bloqueador do complemento fundamental no tratamento da HON conforme ampla divulgação em artigos científicos 2ª - Sim, Publicações de Anita Hill entre outros 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não é fácil depender de uma ação judicial para receber um medicamento, que a única forma de uma pessoa ter uma vida normal. Minha filha está na espera já tem um ano. Ela sente muita fraqueza e fica com a urina escura com frequência. E o pior corre riscos de trombose, AVC entre outros problemas de saúde. Seria de fundamental importância incluir o Solires no SUS.</p> <p>2ª - Sim, Não é fácil depender de uma ação judicial para receber um medicamento, que a única forma de uma pessoa ter uma vida normal. Minha filha está na espera já tem um ano. Ela sente muita fraqueza e fica com a urina escura com frequência. E o pior corre riscos de trombose, AVC entre outros problemas de saúde. Seria de fundamental importância incluir o Solires no SUS.</p> <p>3ª - Sim, Não é fácil depender de uma ação judicial para receber um medicamento, que a única forma de uma pessoa ter uma vida normal. Minha filha está na espera já tem um ano. Ela sente muita fraqueza e fica com a urina escura com frequência. E o pior corre riscos de trombose, AVC entre outros problemas de saúde. Seria de fundamental importância incluir o Solires no SUS.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes com a forma hemolítica grave da doença e eventos trombogênicos não tem outra opção possível de tratamento. O uso do ecolizumab melhora a sintomatologia, diminui a necessidade transfusional, reduz risco de trombose e coloca o indivíduo em condições produtivas novamente, podendo retornar ao trabalho.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes com a forma hemolítica grave da doença e eventos trombogênicos não tem outra opção possível de tratamento. O uso do ecolizumab melhora a sintomatologia, diminui a necessidade transfusional, reduz risco de trombose e coloca o indivíduo em condições produtivas novamente, podendo retornar ao trabalho.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	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>	
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A única opção terapêutica , droga já aprovada pela Anvisa e uso para um grupo específico de pacientes graves que se beneficiam enormemente com o seu uso</p> <p>2ª - Sim, Todos os estudos em fases 1,2 e três com objetivos atingidos, e uma vasta literatura mundial</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Uma pequena parte de pacientes com clone HPN necessitam de tratamento</p> <p>5ª - Não</p>	
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. nem todos os pacientes terão, obrigatoriamente, que ser tratados. Há critérios objetivos para utilização do medicamento. Há uma casuística grande a respeito do produto, com benefício comprovado.</p> <p>2ª - Sim, já existem estudos fase 3 demonstrando redução do dano a órgãos devido a hemólise, redução da dependência de transfusão, diminuição da insuficiência renal, trombozes e hipertensão pulmonar devido a doença. isso acarreta diminuição da morbimortalidade</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, EULIZUMABE DEMONSTROU REDUÇÃO DO RISCO DE TROMBOSE E MELHOROU A QUALIDADE DE VIDA E REDUÇÃO RISCO DE MORTALIDADE</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo do relatório pois ele não traduz os estudos diversos já publicados mostrando segurança e eficácia da droga, inclusive com aprovação recente da Anvisa e de longa data do FDA e EMEA para HPN e SHUa</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim, Nem todos os pacientes diagnosticados com presença de clone de HPN tem indicação de tratamento. Segundo o estudo de Almeida publicado em 2017, cerca de apenas 30% dos pacientes com diagnóstico de HPN tem indicação de tratamento com Eculizumabe, logo o impacto financeiro descrito no relatório está superestimado</p> <p>4ª - Sim, sim. Conforme descrito no item 12 o impacto está superestimado</p> <p>5ª - Sim, Sou médica hematologista do Hospital universitário Pedro Ernesto e tenho diversos pacientes em acompanhamento com HPN. Alguns deles fazem uso do eculizumabe e TODOS tiveram resposta brilhante mostrando melhora na qualidade de vida, diminuição da necessidade transfusional, melhora da fadiga, melhora de função renal e diminuição de eventos trombóticos. Alguns pacientes que ficaram desabastecidos da medicação por algum tempo voltaram a apresentar hemólise com internações frequentes e piora na qualidade de vida. Nos dias atuais onde temos apenas uma medicação segura e eficaz para tratamento de uma doença rara e potencialmente fatal, com alta morbidade com grande impacto na qualidade de vida, já aprovada pela ANVISA é INADMISSÍVEL não termos a possibilidade de oferecer o tratamento quando devidamente indicado.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Embora este tratamento não represente a cura para a patologia, observamos redução do quadro de hemólise e conseqüentemente melhora na qualidade de vida e redução de dependência transfusional</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. único tratamento aprovado pelo FDA, EMEA e ANVISA para o tratamento de HPN. Capaz de melhorar a qualidade de vida, por melhorar a hemólise e melhorar a anemia. Diminui risco de eventos tromboembólicos, inclusive com risco de morte. Melhora sobrevida dos pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Artigos: Prognostico diferenciado em subcategorias da HPN - autor Gerard Socié. IMJ, 2016. Tratamento da HPN a longo prazo com eculizumab: eficácia persistente e melhora da sobrevida. Autor Richard Kelly, BLOOD 2011. Impacto do tratamento com eculizumabe sobre a HPN: um estudo comparativa entre grupos com e sem tratamento. Auto: Michael Loschi. AJH, 2015.</p> <p>3ª - Sim, Não são tratados todos os pacientes portadores do Clone HPN. Apenas para os pacientes com alto risco de eventos trombóticos e risco de morte, com critérios bem estabelecidos por estudos científicos. Doença super rara.</p> <p>4ª - Sim, Discordo com o valor mencionado e a prevalência informada. Visto que doença ultra rara e não são todos os pacientes que necessitam de tratamento.</p> <p>5ª - Sim, Acho de extrema importância a liberação da medicação, uma vez que único tratamento efetivo para a doença que pode ter desfecho de morte.</p>	
02/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Melhora clinica do paciente com uso da medicação associado a melhora da qualidade de vida, redução do risco trombotico, aumento de sobrevida e controle da hemolise send está a unica aprovada pelo FDA, EMEA e ANVISA para o tratamento de HPN - Artigos: - Prognostico diferenciado em subcategorias da HPN Autor: Gerard Socie, IMJ, 2016- Tratamento da HPN a longo prazo com Eculizumabe: eficacia persistente e melhora da sobrevida Autor: Richard Kelly, Blood 2011- Impacto do tratamento com Eculizumabe sobre a HPN: um estudo comparativo entre grupos com e sem tratamento AUtor: Michael Loschi, AJH 2015</p> <p>2ª - Sim, - Prognostico diferenciado em subcategorias da HPN Autor: Gerard Socie, IMJ, 2016- Tratamento da HPN a longo prazo com Eculizumabe: eficacia persistente e melhora da sobrevida Autor: Richard Kelly, Blood 2011- Impacto do tratamento com Eculizumabe sobre a HPN: um estudo comparativo entre grupos com e sem tratamento AUtor: Michael Loschi, AJH 2015</p> <p>3ª - Sim, Por ser uma doença rara, com melhora importante na evolução da doença com o uso da medicação e ser utilizada em pequena parcela de pacientes de acordo com critérios estabelecidos por estudos científicos.</p> <p>4ª - Sim, Discordo com valor da medicação, visto que uma pequena porcentagem dos pacientes necessitam de tratamento e por ser uma doença ultra rara, a prevalencia é de 15: 1000000 o valor descrito no relatorio não condiz com a realidade</p> <p>5ª - Sim, Visto que o Eculizumabe é o unico tratamento efetivo para HPN é indispensavel a sua liberação para o tratamento dessa doença com curso clinico catastrofico. Afinal um dia podemos ser nós ou entes queridos a necessitar desta medicação</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, O estudo anexado, sugere Eculizumabe como tratamento de primeira linha em pacientes com HPN em atividade de doença(hemolise), mostrando diminuição significativa de sinais de hemolise com esta medicação 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
03/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A hemoglobinúria paroxística noturna, apesar de rara, é condição clínica de extrema gravidade, com alta morbidade e potencial mortalidade. O eculizumabe consiste em tratamento capaz de modificar a história natural da doença, e pode ser a única opção terapêutica em determinados casos 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
03/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, Com a liberação do produto poderíamos ter melhores evidências clinica/laboratorial. 3ª - Sim, Apesar de ser um medicamento que iria onerar o Estado, mas sendo a resposta Boa, poderia ter oportunidade de seu uso, viabilizando posteriormente um custo menor do produto. 4ª - Sim, Iria ter um impacto importante no orcamento. 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Vemos por meio de estudos clínicos e na prática clínica remissão e ausência de eventos tromboticos</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é de fundamental importância para pacientes que preencheram critérios para tratamento para HPN.p</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem varias publicações internacionais reforçando a eficácia do produto, além da aprovação na ANVISA. tenho experiência em casos tratados no SUS, com excelente resultado.</p> <p>2ª - Sim, Como citei anteriormente, a literatura internacional é robusta.</p> <p>3ª - Sim, O número de pacientes diagnosticados e que demandam tratamento é muito pequeno.</p> <p>4ª - Sim, Este artigo mostra que apenas 30% dos pacientes com HPN, que é uma doença rara, necessitam de tratamento com eculizumabe.</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>  <a href="#">Clique aqui</a>  <a href="#">Clique aqui</a>
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A única medicação disponível aos pacientes com HPN, que cursam com graves e repetidos episódios hemolíticos, com suas graves consequências, tais como trombozes potencialmente fatais, se resume ao ECULIZUMABE, que mostra, embasado em inúmeros estudos publicados em todo o mundo, ser a única opção capaz de prolongar a vida desses pacientes.E aí fica a pergunta:QUANTO VALE UMA VIDA?</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, LEMBRO QUE NEM TODOS OS PACIENTES PORTADORES DE HPN SERÃO PASSÍVEIS DE TRATAMENTO COM ECULIZUMABE E, SIM, APENAS OS QUE TÊM ATIVIDADE DE DOENÇA VIDE BULA DO PRODUTO APROVADA PELA ANVISA..</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Inúmero artigos os quais comprovam o benefício ficaram de fora da análise inicial, doença rara com poucos contingentes de pacientes, somam a importância de tratamento adequado em prol de melhor terapêutica para o paciente.</p> <p>2ª - Sim, Medicamento possui eficácia e segurança, reduz fadiga, hemoglobinúria, dor abdominal, dispneia, anemia, trombose, disfagia entre outros sintomas. Reduz morbi-mortalidade precoce ao diagnóstico. Aumento de sobrevida com melhor qualidade de vida.</p> <p>3ª - Sim, Deve ser avaliado caso a caso, nem todos os pacientes terá indicação de uso da medicação.</p> <p>4ª - Sim, Importante no impacto de morbidade envolvida, menor custo com demais equipe multidisciplinar e infra estrutura</p> <p>5ª - Sim, Instituição de referência com um grande população envolvida teria benefício, sempre buscamos diagnóstico correto com indicação precisa. Salientando o diagnóstico é feito por citometria de fluxo o qual possuímos uma excelente equipe no estado de SC facilitando o diagnóstico</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
03/11/2018	Empresa	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculizumabe demonstrou eficácia na redução de eventos trombóticos, além de melhora na qualidade de vida, e redução do risco de mortalidade.</p> <p>2ª - Sim, O Eculizumabe demonstrou eficácia na redução de eventos trombóticos, além de melhora na qualidade de vida, e redução do risco de mortalidade.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
03/11/2018	Sociedade médica	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculizumabe demonstrou eficácia na redução de eventos trombóticos, além de melhora na qualidade de vida, e redução do risco de mortalidade.</p> <p>2ª - Sim, O Eculizumabe demonstrou eficácia na redução de eventos trombóticos, além de melhora na qualidade de vida, e redução do risco de mortalidade.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O eculizumab é a medicação de escolha para o tratamento de pacientes com HPN, tendo grau de evidência 1A. A qualidade de vida e a sobrevida global desses pacientes melhorou bastante, inclusive a sobrevida global tornou-se igual à da população da mesma idade e sexo sem doenças. Portanto, discordo do parecer que afirma que os dados são frágeis e colocam que o número de pacientes é pequeno. Ora, a HPN, é uma doença ultra rara, atinge de 1 a 15 pessoas por milhão de habitantes deste modo, todos os trabalhos terão um número de pacientes limitado. A droga e seu mecanismo de ação inovador é o primeiro anticorpo anti complemento. O eculizumab age na causa base da doença, isto é, previne a hemólise intravascular pelo complemento. Esse fenômeno causado pela ação do complemento é a razão de todas as complicações e morte nos pacientes com HPN. Como isso ocorre? O mecanismo é simples, os pacientes com HPN, tem deficiência de proteínas na superfície celular que protegeriam as hemácias, leucócitos e plaquetas da ação do complemento. Quando o complemento ataca as células hematopoiéticas, ela ativa plaquetas e granulócitos, que agem sobre a cascata de coagulação sendo um dos mecanismos da mais grave complicação da HPN: a trombose. Essa ocorre em 67% dos pacientes NÃO tratados com eculizumab e é responsável por 25% da MORTALIDADE. Outra grave complicação é a insuficiência renal, de mecanismo multifatorial, tem prevalência em até 63% dos pacientes com HPN. Entretanto, quando tratados com eculizumab, de imediato podem reverter o quadro, inclusive, pacientes que complicam precisando de hemodiálise conseguem reverter o quadro na grande maioria das vezes. Deste modo, torna-se até criminoso, não oferecer a medicação para os pacientes do SUS. Como médica, tenho que oferecer o tratamento mais seguro e que proporcione o melhor benefício aos pacientes. A minha responsabilidade é com os pacientes, dar o diagnóstico e a proposta terapêutica. Visto que o transplante de medula óssea, que pode ser curativo nos casos de aplasia medular e clone HPN, quando aplicado aos doentes com a forma hemolítica clássica, cursa com diversas complicações que resultam em mortalidade precoce e maior incidência de GVHD crônico, piorando a qualidade de vida dos doentes. Coordeno um ambulatório de pacientes com clone hpn. É importante esclarecer que a maioria desses pacientes não irão apresentar necessidade de tratamento com eculizumab, serão acompanhados clinicamente e laboratorialmente a fim de avaliar presença de sintomas de hemólise, trombose, função renal, além de seguir o DHL e o clone HPN. Assim, quando há um conhecimento aprofundado da enfermidade, há uma segurança na indicação de quando iniciar o tratamento, quando interromper e quando precisa ser encaminhado ao TMO, nos casos de aplasia com clone HPN sem hemólise. A negativa do governo em incorporar ao SUS o eculizumab irá perpetuar o caos da judicialização, bem como o tratamento totalmente inadequado por disponibilização irregular da droga. Isso é muito grave da parte do governo, visto que a parada da medicação causa hemólise rebote e resulta em complicações como espasmo esofágico, trombose, embolia pulmonar, hemoglobinúria, necessidade transfusional, e insuficiência renal. Ao incorporar a medicação ao SUS, haverá uma uniformidade de conduta, com previsão orçamentária para compras com antecedência, assim como poderão prover a continuidade do tratamento dos pacientes, que pode evitar complicações fatais como já presenciei com meus pacientes. Acredito que a falta de conhecimento da câmara técnica no seguimento desses pacientes, tenha levado à uma decisão errônea e que vai ao contrário da conduta e literatura mundial.</p> <p>2ª - Sim, 1 -Long-term treatment with eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria:</p>	

[Clique aqui](#)

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>sustainedef&amp;#64257;cacyandimprovesurvivalRichard J. Kelly,1 Anita Hill,1 Louise M.Arnold,1 Gemma L. Brooksbank,1 Stephen J. Richards,2 Matthew Cullen,2 Lindsay D. Mitchell,3 Dena R. Cohen,4 Walter M. Gregory,4 and Peter Hillmen12 - Long-term safety and ef&amp;#64257;cacy of sustained eculizumab treatment in patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria3 - Impact of eculizumab treatment on paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: a treatment versus no&amp;#8208;treatment studyMichael Loschi 4 - Changing prognosis in paroxysmal nocturnal haemoglobinuria disease subcategories: an analysis of the International PNH RegistryG. Socié</p> <p>3ª - Sim, É errôneo dizer que haverá um "grande " impacto orçamentário, visto que estamos lidando com uma doença ultra rara e sub-diagnosticada, a qual inclusive tem critérios estreitos de indicação terapêutica com a medicação proposta. Há diversas doenças mais comuns, como as colagenoses ( artrite reumatoide e lúpus) que impactam muito mais o orçamento com a incorporação os imunobiológicos do que a HPN. Do mesmo modo, pode-se citar o impacto de novas tecnologias para tratamento do câncer, como mama, próstata, melanoma, linfomas, as quais são bem mais frequentes. É essencial valorizar o impacto que as novas tecnologias causam na sobrevida de todos os pacientes. Todavia, quanto aos pacientes com HPN, estamos falando de doentes jovens, que terão vida normal com o uso da medicação e que poderão retornar às suas atividades de estudo e trabalho, voltando a ser produtivos; e isso é um impacto positivo desse tratamento, pois eles irão contribuir economicamente e não sobrecarregar a previdência médica com aposentadorias por incapacidade devido a atividade da doença.</p> <p>4ª - Sim, A incidência da doença ao ano não é necessariamente a quantidade de 1,3 por milhão de habitantes, visto que é uma doença sub-diagnosticada. Outra coisa, quando falamos de diagnostico em HPN, falamos da presença de clones HPN e não de HPN doença. Isso muda totalmente o raciocínio do impacto orçamentário.</p> <p>5ª - Sim, Como médica, espero coerência da câmara técnica com a reavaliação da negativa da incorporação do eculizumab ao SUS. Acompanho de perto a história de vida desses pacientes com HPN, desde a dificuldade de 1 a 10 anos para dar o diagnóstico, até a luta, angústia e desesperança em conseguir uma medicação , a qual, muda a vida dos enfermos, entretanto é impagável aos pacientes como pessoa física. A dor da piora diária ou mensal, múltiplas trombozes, perda progressiva da função renal, tudo isso, com o médico de mãos atadas pois não temos a medicação que poderia reverter tudo isso de modo homogêneo e rápido aos pacientes. A negativa vai de contra ao direito constitucional de acesso à saúde igualitário e isso pode abrir precedentes danosos à saúde dos brasileiros como um todo. Sendo uma medicina que favorecerá aos mais ricos ou mais inteligentes que conseguem apoio jurídico a fim de conseguir a medicação.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. medicamento demonstra resultados muito favoráveis</p> <p>2ª - Sim, medicamento demonstra resultados muito favoráveis</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes com HPN tem duas opções terapêuticas estabelecidas: transplante de medula óssea (TMO) alogênico e a inibição da via do complemento, com eculizumabe. Não temos vaga para TMO, e a maioria dos pacietnes não são elegiveis para TMO por diversas razões (idade, falta de doador...). Portanto...</p> <p>2ª - Sim, Experiência de paciente tratada... não tinha qualidade de vida, provavelmente estaria morta... teve sua vida mudada a partir do uso do eculizumabe.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. doença rara, grave, sem tratamento adequado, com risco de morte ou lesão orgânica.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
03/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
03/11/2018	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
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Foi observado benefícios do uso da medicação na vida prática de pacientes com hpn</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
03/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Muitos pacientes com HPN têm evolução clínica grave e de rápida instalação. Podemos incluir critérios rigorosos para indicação de tratamento, haja visto que nem todos os pacientes com clone de HPN apresentam sintomas, e quando apresentam, muitos são leves. Há ainda relato de pacientes em que o clone desaparece e portanto podem estar aptos a terem o medicamento suspenso, até uma recidiva clínica.</p> <p>2ª - Sim, Apesar de não haver conclusões sobre aumento na sobrevida global, tratamento medicamentoso pode melhorar a qualidade de vida e reduzir a necessidade transfusional</p> <p>3ª - Sim, Pacientes com HPN, tornam-se dependentes de internação frequente, com necessidade transfusional e riscos de infecção aumentada. A própria transfusão de sangue frequente, pode trazer consequências importantes ao paciente, como imunomodulação com aumento do risco de infecções, transmissão de doenças transmissíveis por transfusão.</p> <p>4ª - Sim, Para não ter jmpacto orçamentário, sugiro aprovar a inclusão com protocolo e incluir realmente apenas casos comprovados de HPN, com complicação clínica e laboratorial graves, como anemia hemolítica dependente de transfusão, internação frequente por queixas como febre e fadiga, aplasia de medula ou suspeita de trombose</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculizumab é uma droga que revolucionou o tratamento de pacientes com HPN. As evidências científicas de que os pacientes que têm indicação do uso da medicação, que não são todos os pacientes que possuem o clone HPN, são amplas, de tal forma que o não uso da medicação nesses casos é inaceitável e totalmente anti ético.</p> <p>2ª - Sim, São várias as evidências científicas que comprovam a eficácia do tratamento de pacientes com HPN com o eculizumab. O próprio relatório da Conitec descreve: 1. Foram notificados mais EA graves no grupo placebo do que no eculizumabe; 2. Os resultados de efetividade foram meta-analisados, sendo observada maior redução no nível de LDH e de transfusões no grupo de pacientes tratados com eculizumabe em relação ao controle; 3. O eculizumabe reduziu a ocorrência de eventos tromboembólicos nos pacientes tratados, em comparação ao grupo controle. Diversos artigos científicos descrevem a eficácia comprovada da droga, entre eles: 1. "Tratamento de HPN a longo prazo com eculizumab: eficácia persistente e melhora da sobrevida" publicado na Blood, de 23/06/2011, vol 117, número 25. Conclui que, significativamente, altera dramaticamente a evolução natural da HPN, reduzindo sintomas e complicações da doença, bem como melhorando a sobrevida a um nível similar ao da população geral. 2. "Segurança e eficácia em longo prazo do tratamento sustentado com eculizumab em pacientes com HPN", publicado na British Journal of Haematology, 2013, 162, 62-73. Entre as conclusões, estão a redução dos eventos trombóticos em 81%, redução de transfusão em 54%, assim como houve uma boa tolerância da medicação, sem evidências de toxicidade cumulativa, com redução da ocorrência de eventos adversos com o tempo. Tenho tratado pacientes com HPN há pelo menos dois anos. Óbvio que minha experiência são poucos casos, mas retratam bem a realidade. E a realidade é que, quando a droga é bem indicada, e como já disse nem todos os pacientes com clone HPN têm indicação de fazer seu uso, a melhora da qualidade de vida dos pacientes é absurda, já após poucos dias de sua aplicação. Mesmo em casos de pacientes com graves complicações que não vêm em uso da medicação, ao recebê-la, melhoram rápida e drasticamente seja da anemia, seja dos fenômenos trombo-embólicos, principal causa de óbito neste grupo de doentes.</p> <p>3ª - Sim, O não uso da medicação naqueles pacientes que têm indicação da droga por critérios clínicos-laboratoriais acarretarão custos adicionais com internações, cujo gasto também não é desprezível. Normalmente esses pacientes agravam, necessitam de UTI e diversos procedimentos de alta complexidade. Agora, obviamente, sem a droga, uma grande parcela alcança um desfecho letal e, certamente, esta é uma comparação injusta e totalmente anti-ética.</p> <p>4ª - Sim, O impacto econômico deverá ser feito apenas com o grupo de pacientes com a indicação do uso, e não com o número total de indivíduos com o clone HPN.</p> <p>5ª - Sim, Do ponto de vista econômico, há que se avaliar certamente o impacto. Do ponto de vista de evidência científica, não há absolutamente nenhuma dúvida quanto a eficácia da droga. Do ponto de vista ético, com as evidências atuais, é absurda a não aprovação. Comparo esta medicação a outra, que tenho muita experiência. O Imatinib, que veio revolucionar o tratamento da leucemia mieloide crônica. Não tenho dúvida que, pela incidência bem maior desses doentes no Brasil, há um custo altíssimo com a dispensação dessa droga. E aí pergunto se, mesmo com o elevado custo, seria ético suspender o uso dessa medicação na</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>atualidade. Seria simples, e seria uma escolha. Retirar o imatinib e seus similares e deixar todos os pacientes evoluírem com a história natural da doença, ou manter o uso. Não vejo diferença com o Eculizumab. Seria comparar pacientes que provavelmente vão ter uma complicação fatal sem a droga, e a curto prazo X Pacientes que terão uma qualidade de vida e sobrevida similares a população normal. Não estamos tratando aqui de uma outra droga de custo elevado, que talvez aumente a sobrevida de um paciente com determinada doença em poucos meses, muito comuns na oncologia. Trata-se de uma droga que traz uma qualidade de vida e uma sobrevida semelhante à população normal.</p>	
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O TRATAMENTO BASEADO NA INIBICAO DA VIA DO COMPLEMENTO VEM MOSTRANDO RESULTADOS EXCELENTES SEGUNDO RELATOS E ESTUDOS DA LITERATURA MUNDIAL . APRESENTA O PROBLEMA INERENTE A MAIORES DE NOVAS TEAPIAS MODERNAS DA HEMATOLOGIA , O ALTO CUSTO RELACIONADO A TERAPIA , POREM VEM A APRESENTAR MELHORA DE QUALIDADE DE VIDA DO PACIENTE , DIMUNICAO DE MORTALIDADE , MELHORA DA NECESSIDADE TRANSFUSIONAL PELO CONTROLE DO PROCESSO HEMOLITICO COM INCIO DO TRATAMENTO E MUDANCA DE PARADIGMA COM RELACAO A DIMINUIÇÃO DA NECESSIDADE DO USO DE TRATAEMTNO COM TERAPIAS MAIS AGRESSIVAS COMO O TRANSPLANTE DE MEDULA OSSEA. DESSA FORMA A DECISAO DEVE SER REVISTA PELA CONITEC APOS UMA AVALICAO DO IMPACTO DO CUSTO A IMPLANTACAO VISTO QUE NEM TODOS OS PACIENTES DIAGNOSTICADOS NECESSITAM DE=O TRATAMENTO .A DOENÇA É RARA E NEM TODOS OS PACIENTES AO DIAGNOSTICO NECESSITAM DE INCIO DE TRATAMENTO , PODENDO SER OBSERVADOS E O TRATAEMTNO INSTITUIDO DE ACORDO COM PREENCHIMENTO DE CRITERIOS ESPECIFICOS , O QUE NAO FOI LEVADO EM CONTA NA AVALIACAO .</p> <p>2ª - Sim, Blood 2005 106:2559-2565; doi: <a href="https://doi.org/10.1182/blood-2005-02-0564">https://doi.org/10.1182/blood-2005-02-0564</a></p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. doença orfã de tratamento.unica medicação para a doença, evitando-se obito.</p> <p>2ª - Sim, aumento sobrevida.</p> <p>3ª - Sim, paciente não será internado,portanto sem gasto em leito UTI.paciente continuará trabalhando,ativo, sem precisar de auxilio doença.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A avaliação de custo é equivocada. Os benefícios da droga que são questionados são incontestáveis.</p> <p>2ª - Sim, Todos os pacientes que pude acompanhar em uso da droga se beneficiaram com enorme ganho em qualidade de vida e melhora na sobrevida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Acredito que o eculizumabe pode ser a única opção terapêutica para diversos pacientes. Neste sentido, é importante que ele esteja disponível via SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Faltaram vários estudos na recomendação da Conitec. Não são todos os pacientes que fazem uso da medicação e por isso o impacto no orçamento não é o definido! Somente pacientes com elevação de LDH serão tratados com medicação!</p> <p>2ª - Sim, O tratamento é primordial nos pacientes, é o divisor entre a vida e a morte do paciente! Tirar esse direito do paciente é um crime!</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como a doença é rara e de pouco conhecimento, a não incorporação deve ser suspensa imediatamente tendo em vista o direito constitucional à vida, sob o risco da consequente perda das vidas em tratamento, especialmente que nem todos os pacientes diagnosticados precisam ser tratados, gerando baixo impacto no orçamento, o que denota que os estudos devem ser aprofundados para uma decisão mais acertada e não comprometer a vida dos atuais e potenciais pacientes que precisam de tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A decisão da não incorporação do eculizumabe ao SUS, é a assinar a sentença de morte para vários pacientes que vêm sendo tratados e outros que estão na fila. Ou seja, estão tirando os pacientes da fila da vida para a fila da sentença de morte, em total afronta ao direito constitucional à vida.</p>	
04/11/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Nós pacientes precisamos da medicação pra continuar o tratamento visando que a medicação é de alto custo e não temos condições de pagar.</p> <p>2ª - Sim, Como paciente, posso aferir que sofro com a falta do Eculizumabe.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Muda a história natural da doença se bem indicado</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou a favor da vida e entendo que o Estado ( governo) não pode deixar de medir esforços no sentido se viabilizar o acesso ao remédio para quem nao pode pagar.Um estudo como esse deve ser bastante aprofundado, discutido amplamente com a sociedade para que tome a decisão de não permitir o acesso ao remédio. Esta doença é gravíssima e quem não tomar este medicamento certamente perderá o seu bem maior que é a sua vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, O estudo precisa ser mais assertivo, identificando e mensurando os pacientes diagnosticados que realmente necessitam do remédio para se ter a realidade de previsão dos gastos e a capacidade do Estado em arcar com esta despesa.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Apenas ressaltar que a vida deve ser prioridade sempre. Negando o acesso ao remédio estamos condenando a morte esses pacientes.</p>	
04/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo por achar que temos direito a vida e o Estado tem obrigação de ajudar aos pacientes no tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Os políticos tem que serem mais honestos e parar de desviar as verbas públicas e com nosso Presidente Bolsonaro teremos um País melhor e mais justo com as verbas sendo destinadas para os fins de aplicação autorizadas.</p> <p>5ª - Não</p>	
04/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo por achar que temos direito a vida e o Estado tem obrigação de ajudar aos pacientes no tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Os políticos tem que serem mais honestos e parar de desviar as verbas públicas e com nosso Presidente Bolsonaro teremos um País melhor e mais justo com as verbas sendo destinadas para os fins de aplicação autorizadas.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Entendo que as referências utilizadas são de grande prestígio porém achei tendenciosa para a não aprovação do medicamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, o impacto com a quantidade de transfusão utilizada</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	
04/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pelo que sei a falta desse medicamento pode levar o paciente a óbito.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A medicação tem impacto importante na morbimortalidade.</p>	
04/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A droga em questão modifica a morbidade e mortalidade da doença. A questão dos custos devem ser discutidos com o laboratório. Não é possível alegar ineficiência da medicação com dados da literatura mostrando benefícios.</p> <p>2ª - Sim, O eculizumabe é altamente eficaz na redução da hemólise, melhorando a qualidade de vida e reduzindo o risco de trombose. A história natural da HPN varia de uma doença mais indolente até risco elevado de vida. A maioria dos pacientes irão se beneficiar muito do tratamento, salvando inclusive suas vidas. Ver How I treat paroxysmal nocturnal hemoglobinuria / blood journal.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/11/2018	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Os dados de literatura pesquisados são consistentes e foram publicados em revistas internacionais de alto impacto e criteriosas em suas escolhas. Há nítido benefício no uso do eculizumabe para tratamento da HPN, sendo o dado mais relevante a redução do risco de trombose, que é a principal causa de morte precoce nessa população. Adicionalmente, há melhora da fadiga e dos sintomas relacionados à hemólise, com impacto direto na qualidade de vida. A anemia não é um aspecto que vai melhorar em todos os pacientes, pois o mecanismo que a explica é multifatorial e não relacionado apenas à hemólise intravascular. Assim, não deve ser um objetivo primário do tratamento. Acredito que o impacto do tratamento deve também levar em consideração que muitos pacientes são jovens, ativos no mercado de trabalho e a melhora de sua condição clínica tb pode impactar positivamente em termos econômicos e de gastos poupados com internações pelos sintomas e trombozes. O custo é sem dúvida um fator limitante. Importante, entretanto, considerarmos que apenas 20 a 30% da população com HPN terá indicação de tratamento e que os critérios para início de tratamento estão bem definidos, não deixando dúvidas sobre potenciais super-indicações da medicação. Nesse sentido, negociações por um valor mais acessível podem tornar a medicação disponível e com viabilidade econômica, sem comprometer gravemente as finanças do SUS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Nosso serviço tem experiência com 5 pacientes em uso de eculizumabe, demonstrando evidente melhora clínica (fadiga, dores abdominais, melhora de qualidade de vida e retorno ao trabalho), inclusive para pacientes com diagnóstico antigo e já com complicações decorrentes de múltiplas trombozes prévias.</p>	
04/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. HPN é uma doença rara, e o eculizumab é o único tratamento específico para doença. Reduzindo de forma sigla hemólise e a trombose.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Ampliar o tempo de avaliação de incorporação de novas drogas. Esse foi inferior a um mês</p>	
04/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Pacientes graves necessitam 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
04/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Necessario que a conitec revise o relatorio preliminar pois ao ler o mesmo vi que faltam diversos estudos científicos que trazem os resultados e beneficios do Eculizumabe no tratamento da HPN. Importante ressaltar que doenças raras, quando diagnosticadas, em o caso HPN , os pacientes necessitam de um tratamento especifico para que possam ter vida normal, e nao sofrer com os sintomas clinicos</p> <p>2ª - Sim, Como citado, ha diversos estudos clinicos e evidencias dos beneficios do eculizumabe na HPN, aumentando sobrevida dos pacientes, pois o medicamento bloqueia a hemolise que leva a anemia, disfagia, hemoglobinura, insuficiencia renal e trombozes que sao responsaveis pela alta mortalidade da doença</p> <p>3ª - Sim, Importante o tratamento dos pacientes com doença rara - HPN - e com isto haverá menos internações nos hospitais, necessidade de transfusão sanguínea,. Importante que o Ministerio da saude possa revisar todos os detalhes e redução dos custos para o governo.</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim, HPN pode ser diagnosticada através da citometria de Fluxo, e alguns pacientes poderao utilizar o Eculizumabe, pois nem todos necessitam e somente ser acompanhados pelos medicos. Hoje um percentual de 20 a 30% dos pacientes diagnosticados nos grupos de risco, é que serao beneficiados com o medicamento. Pacientes com alta atividade da doença com exame laboratorial LDH elevado e sintomas clinicos como: fadiga, dor abdominal, dispneia, anemia etc</p>	
04/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Atualmente o eculizumab e o único tratamento disponível para portadores de HPN e que traz diferença na curva de sobrevida global</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
04/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Como médica hematologista, que já tratou e trata pacientes com HPN, o benefício clínico da medicação é questionável. Apesar de rara, é doença com grande impacto na vida do paciente, com elevada morbimortalidade</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
04/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Infelizmente não temos outra opção para o tratamento da hpn. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
04/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Nos pacientes com HPN e hemólise é altamente recomendável em estudos o uso de Eculozumab 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
04/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
04/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
04/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A recomendação prejudicará o tratamento de pacientes em curso e a outros em fila de espera. Implicando em abreviar a vida dos portadores de HPN.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Definir critérios para aqueles que terão benefícios</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	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>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho pacientes com HPN que possuíam altas necessidades transfusionais, assim como permaneciam durante muito tempo internados devido a hemólise grave. Após início de uso de Eculizumabe, paciente evoluíram com melhora dos sintomas, sem necessidade transfusional e menor numero de intercorrências com internações.</p> <p>2ª - Sim, Paciente com alta necessidade transfusional, que em uso de Eculizumabe, não mais necessitou de transfusão.</p> <p>3ª - Sim, Paciente em uso de Eculizumabe, apresentou melhor controle de doença, não necessitando de internações frequentes.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem casos com indicação precisa de uso com amplo respaldo da literatura internacional</p> <p>2ª - Sim, Basta entrar no Pub Med e centenas de artigos excelentes sugerem o bom uso em casos específicosO Problema está no mal uso ou uso indevidoEstes pacientes devem ser tratados em centros de referência credenciados públicos e privados</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. acompanho paciente e tenho acesso a literatura científica mostrando o seu benefício</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	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>	
05/11/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eu não concordo com a recomendação da conitec , pois minha filha usa esse medicamento e foi muito bom , desde a primeira infusão ela teve uma melhora ótima e a doença foi controlada</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. O ministério da saúde deve criar centros de referencia para patologias raras, onde especilistas das áreas possam avaliar situações semelhantes aos da HPN e SHUa. Deve também convidar os especilaistas para criar diretrizes terapêuticas para definir quem serão os pacientes que poderão se beneficiar do tratamento. COM estes protocolos em mãos e com dados epidemiológicos, poderá argumentar com a indústria sobre preços viáveis para medicamentos tão caros como o Soliris. Assim minha recomendação seria nem sim nem não, mas a criação desses centros de referência que pudessem definir critérios rígidos. Hoje quem decide se o paciente deve tomar a medicação ou não são os juízes!! Situação no minima absurda.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	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>	
05/11/2018	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>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação que modifica completamente a qualidade de vida do paciente com diminuição de suas internações, necessidades transfusionais e complicações secundárias à patologia de base!!Deve-se portanto levar em consideração, além da melhora clínica do paciente e com condições normais para manter sua vida produtiva, também a economia em relação a procedimentos, internações e hemoterápicos!!</p> <p>2ª - Sim, Há pacientes em uso da medicação por convênio de saúde que atualmente levam a vida normalmente sem necessidade transfusional desde o início do tratamento! Refere que no caso de atraso ou falta do medicamento iniciam adinamia acentuada e icterícia. Lembramos que além do descrito, a patologia quando não controlada leva a inúmeras complicações clínicas com risco de óbito e/ou sequelas por eventos trombóticos e tromboembólicos. No momento não há outra terapia específica para esses pacientes que evitem essas complicações, mesmo com uso de anticoagulação!!</p> <p>3ª - Sim, VIDE AS DESCRIÇÕES ACIMASUGIRO COMPUTAR OS CUSTOS DAS TRANSFUSÕES, TERAPIAS ANTICOAGULANTES E INTERNAÇÕES RELACIONADAS À PATOLOGIA E SUAS COMPLICAÇÕES INERENTES PODENDO O PACIENTE NECESSITAR DE DIÁRIAS EM UTI, HEMODIÁLISES, ETC.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Conforme artigos que anexarei essa doença não tem tratamento pelo sus e faz-se vital essa medicação.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Sim, Anexo artigos</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação eculizumab tem indicação precisa nas formas mais graves e sintomáticas de hemoglobinúria paroxística noturna. Os pacientes não respondem a coricoterapia.</p> <p>2ª - Sim, Trabalhos científicos múltiplos demonstrando eficácia da medicação.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O eculizumab é um tratamento consolidado de imensa valia no tratamento da HPN, levando o paciente e inquestionável melhora na qualidade de vida e na sobrevida.</p> <p>2ª - Sim, Minha melhor contribuição é a de ter acompanhado diversos pacientes com a doença HPN e tenho visto que a melhora com o medicamento é indiscutível, os pacientes tem voltado à sua vida normal, não há complicações graves devido à imunossupressão ( coma devida cobertura vacinal e atenção às infecções adquiridas), liberdade de transfusão sanguínea, menos internações, todos relatam melhora da qualidade de vida, voltando a ser produtivos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, A doença é rara, a expectativa de uso é de poucos pacientes/ano o que não deverá impactar frente à doenças muito mais prevalentes. E, devido à dramática melhora da qualidade de vida, diminuição das complicações ( transfusões, internações por crises de hemólise, trombozes, etc), deve-se avaliar o custo-efetividade.</p> <p>5ª - Sim, Gostaria de citar que a "não prescrição" ou "não disponibilidade" do medicamento irá ferir gravemente o direito maior constitucional dos brasileiros, o "DIREITO À VIDA", protegido no Constituição Federal ( Cap I) e ainda nos coloca ( os médicos) em culpa a ferir os princípios de ética médica : a não maleficência, a autonomia do médico em tratar seu paciente, a beneficência e a justiça em reconhecer imparcialmente o direito de cada um e atender os pacientes de maneira correta, Vedar o acesso a medicamentos consagrados, com indubitável resposta de melhora clínica, qualidade de vida e sobretudo sobrevida a meu ver confere o maior prejuízo ao ser humano acima de tudo.</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Para paciente com quadro de hemólise e trombose secundária a HPN não tem outro tratamento disponível que não o eculizumabe.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
05/11/2018	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. A recomendação preliminar é de suma importancia para que os tratamentos sejam realizados de forma mais segura e eficaz 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
05/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
05/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existe evidencia clara do benefício desta medicação na HPN 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
05/11/2018	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A hemoglobinúria paroxística noturna é uma doença grave, até então sem tratamento específico. O eculizumabe é medicação comprovadamente eficaz neste quadro, sendo imprescindível para pacientes sem doadores compatíveis de medula óssea. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação tem impacto comprovado na sobrevida e qualidade de vida e pacientes com HPN grave. Torna-se necessário determinar critérios para uso pelo SUS, de forma a viabilizar sua disponibilização para quem realmente precisa.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. observamos a melhora clínica dos pacinetes portadores de HPN, principalmente nos quadros de hemólise e trombose.concordo que precisam ser desenvolvidos mais estudos</p> <p>2ª - Sim, observamos a melhora clínica dos pacinetes portadores de HPN, principalmente nos quadros de hemólise e trombose.embora um n pequeno de pacientes</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Apesar do alto custo, a medicação em questão é a única disponível no mundo para tratamento de HPN, doença potencialmente grave com evolução desfavorável com o avançar da doença!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Acredito que essa medicação beneficiaria uma subpopulação portadora da doença e que apresentem resposta ao tratamento. Portanto, acredito que a medicação deveria ser aprovada para os casos que demonstrassem independência transfusional com a 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
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tais pacientes sofrem morbidade e maior mortalidade quando tratados com medicação outra. Grande benefício com eculizumabe.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O medicamento é eficaz, pessoas estão morrendo pela sua falta. Os artigos da Drª Anita Hill et al, que saiu na revista nature demonstra a importancia do tratamento. Assim como os artigos do Dº Lee e do Dr. Antonio Almeida.</p> <p>2ª - Sim, Possuo 03 pacientes portadores de HPN e apenas 01 com indicação de tratamento. Nem todos os pacientes possuem necessidade preemente de tratar.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Única medicação disponível para tratamento de pacientes sintomáticos com esta patologia</p> <p>2ª - Sim, Artigos comprovando redução índice eventos trombótico</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Artigos</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	



Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Há pacientes com HPN com quadros clínicos muito graves com necessidade do eculizumabe. A disponibilização da medicação no âmbito do SUS mediante a autorização da liberação por um Comitê de Tratamento de HPN permitiria a correta avaliação e indicação do eculizumabe para os pacientes mais graves. A criação deste Comitê permitiria controlar o acesso da medicação para aqueles pacientes com real indicação, ao invés da disponibilização da medicação por medidas judiciais, que podem contemplar pacientes com pouca gravidade e sintomatologia.</p> <p>2ª - Sim, Gostaríamos de adicionar que os estudos de eficácia do eculizumabe na HPN, mostram efeitos indiretos sobre os parâmetros biológicos que sabemos irão influenciar a mortalidade. Como HPN é considerada uma doença rara, os estudos são escassos e desta forma não há estudos randomizados em relação à mortalidade. Porém sabe-se da eficácia deste medicamento com controle clínico e laboratorial da doença em casos graves de HPN (vide experiência do serviço).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Os dados de incidência de HPN no estudo de Hill et al. (2006) utilizados para o cálculo de impacto orçamentário referiam-se a pacientes com qualquer quantidade de clone HPN. Somente 25% dos pacientes do estudo apresentavam clone HPN &gt; 50%, 43% dos pacientes apresentavam clone &gt; 10% e ainda 18% dos pacientes apresentavam clones menores do que 1%. Os pacientes com clones pequenos em geral são assintomáticos ou pouco sintomáticos e deveriam ser excluídos do cálculo por não terem indicação da medicação. O cálculo do relatório superestima a quantidade de pacientes com clone HPN com indicação de eculizumabe, e, por conseguinte, o impacto orçamentário. No relatório da dos revisores sugerimos que o impacto orçamentário seja calculado somente para pacientes que realmente teriam indicação do uso com uma estimativa de aproximadamente 25% de 3371 ou seja 843 pacientes. Reforçamos a necessidade de se formar um comitê que avalie a indicação e uso deste medicamento como já existe nos moldes de doenças raras ( Gaucher, Hipertensão arterial pulmonar...). Sabemos de casos com liminares contra o SUS e convênios de saúde para os quais não existem indicações formais do uso de eculizumabe. Desta forma esta é uma oportunidade de racionalizar custos para todo o sistema de saúde.</p> <p>5ª - Sim, experiência de casos graves do serviço, com medicação disponível por uso compassionado: A primeira paciente (R. S. G.) teve diagnóstico de HPN clássica aos 20 anos de idade em 2007, com clone HPN &gt;90%. Em 2009, após colecistectomia laparoscópica, evoluiu com dor abdominal recorrente e diversas trombozes venosas consecutivas, a saber: trombose de veia jugular interna em local de cateter, de veia subclávia direita, de microvasculatura intestinal, veia braquial esquerda, veia axilar direita, veia femoral comum esquerda e veia ilíaca comum esquerda mesmo em anticoagulação com altas doses de heparina e várias transfusões com concentrados de hemácias. Apesar de hematoma dissecante da região cervical até o mediastino, com compressão de veia cava superior e síndrome de veia cava superior com necessidade de intubação orotraqueal e internação prolongada em Unidade de Terapia Intensiva, manteve-se anticoagulação parenteral devido às diversas trombozes recentes. Perdeu 15 kg na internação devido ao jejum prolongado por causa da trombose de microvasculatura intestinal. Em virtude da gravidade da paciente, foi solicitado o tratamento compassionado com eculizumabe. Após a primeira dose, apresentou evidente melhora clínica</p>	

(cessação da dor abdominal) e marcante queda dos parâmetros de hemólise (DHL) e de formação de trombos (D-dímero). Evoluiu com melhora clínica progressiva com alta hospitalar em uso de eculizumabe (em Hospital Dia) e anticoagulação, atualmente com varfarina. Como efeito adverso, apresentou cefaleia após as 2 primeiras doses da medicação. Durante o tratamento com eculizumabe, apresentou episódios de hemólise de escape em infecções (infecção de vias aéreas superiores e gastroenterocolite aguda) e em cirurgia de correção de hérnia incisional. A paciente encontra-se em tratamento com eculizumabe a cada 2 semanas desde 2009, sem nenhum evento trombótico desde então, com ótimo estado geral, exerce atividade profissional e tem vida social normal. Apresenta hemólise extravascular pelo depósito de C3d na membrana eritrocitária, controlada de forma satisfatória com prednisona 10 a 20 mg em dias alternados. A equipe assistente da paciente não tem dúvidas de que o eculizumabe teve papel essencial para o desfecho favorável da paciente. O relato do tratamento com eculizumabe desta paciente foi apresentado no Congresso Brasileiro de Hematologia em 2010 (Suganuma LM et al. Hemoglobinúria paroxística noturna: tratamento de um caso grave com eculizumabe. In: Congresso Brasileiro de Hematologia e Hemoterapia, 2010, Brasília. Revista Brasileira de Hematologia e Hemoterapia. Rio de Janeiro: Trasso Comunicação, 2010. v. 32. p. 39-39). O segundo paciente (R. P. A.) teve diagnóstico de HPN clássica em 2010, aos 26 anos de idade, com clone HPN >90%. Apresentava frequentes crises de exacerbação de hemólise, com alta necessidade transfusional (praticamente mensal). Ao diagnóstico, foi realizada ressonância magnética de abdome superior, que demonstrou trombose de ramo portal esquerdo e foi iniciada anticoagulação para profilaxia secundária de trombose. No entanto, evoluiu com aloimunização eritrocitária que prejudicava de forma significativa a disponibilização de concentrados de hemácias compatíveis e apresentou tromboembolismo pulmonar em vigência de anticoagulação. Em 2012, foi iniciado o tratamento com eculizumabe, em associação com anticoagulação com varfarina. Desde então, apresentou melhora significativa dos parâmetros de hemólise, com diminuição importante de necessidade transfusional (somente 1 transfusão de hemácias desde o início do eculizumabe, após hemólise de escape por infecção de vias aéreas superiores) e sem novos episódios trombóticos. O paciente exerce atividade profissional braçal e tem vida social normal, recebendo eculizumabe a cada 2 semanas.

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A terapia anti-complemento é a maneira mais eficaz de tratar os sintomas de hemólise e trombose. O eculizumab reduz a hemólise intravascular, diminui ou elimina a necessidade de transfusões sanguíneas, reduz acentuadamente o risco de trombose e melhora a qualidade de vida.</p> <p>2ª - Sim, Brodsky RA. How I treat paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Blood 2009; 113:6522.Emadi A, Brodsky RA. Successful discontinuation of anticoagulation following eculizumab administration in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Am J Hematol 2009; 84:699.Hill A, Rother RP, Arnold L, et al. Eculizumab prevents intravascular hemolysis in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria and unmasks low-level extravascular hemolysis occurring through C3 opsonization. Haematologica 2010; 95:567.Hillmen P, Muus P, Röth A, et al. Long-term safety and efficacy of sustained eculizumab treatment in patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. Br J Haematol 2013; 162:62.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Kelly RJ, Hill A, Arnold LM, et al. Long-term treatment with eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: sustained efficacy and improved survival. Blood 2011; 117:6786.</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes Raros devem ter direito aos medicamentos sem burocracia.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. medicacao excelente, apesar do custo. com resultados confirmados em estudos clínicosmelhora quadro trombosemelhora sobrevida</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A ABHH discorda da recomendação inicial da CONITEC de não incorporação do medicamento. A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é doença clonal muito rara. No Brasil, sua incidência não é conhecida; no entanto, dados da literatura mundial reportam uma incidência de aproximadamente 1 a 1,5 de casos para cada um milhão de pessoas ao ano. Como consequência, os indivíduos acometidos por esta doença apresentam quadro de anemia hemolítica mediada pelo complemento (anemia causada por destruição dos eritrócitos) de intensidade variável e predisposição a eventos trombóticos, que ocorrem em 40-67% dos indivíduos e constituem a principal causa de mortalidade na HPN. Além disso, outras consequências, como predisposição a infecções, deficiência de ferro, disfunção erétil, insuficiência renal, hipertensão arterial e hipertensão pulmonar podem ocorrer. Trata-se de medicação com adequado perfil de segurança e tolerabilidade, sendo inclusive aprovada por rigorosas agências sanitárias como a ANVISA e o FDA.</p> <p>2ª - Sim, A apresentação clínica da HPN é bastante heterogênea, variando de casos muito leves, com sintomas brandos, a casos gravíssimos, que apresentam anemia muito grave, com necessidade transfusional frequente e eventos trombóticos ameaçadores da vida. Desta forma, os casos leves podem ser manejados clinicamente com os recursos já disponíveis no SUS, como reposição de ferro (nos indivíduos ferropênicos), anticoagulação profilática com warfarina (nos indivíduos com clone HPN &amp;#8805; 50% e que, portanto, possuem elevado risco trombótico) e imunossupressão com corticoesteroides, embora esta última opção tenha demonstrado baixas taxas de resposta, com elevados efeitos colaterais. Nos casos graves, estas mesmas opções terapêuticas não têm demonstrado taxas de resposta satisfatórias, o que leva a elevadas taxas de mortalidade, e, embora o SUS ofereça as alternativas acima listadas para o tratamento desta doença, não se tratando de mera omissão legislativa ou executiva dos órgãos em fornecer opção terapêutica, a falta de opções de tratamento de segunda linha culmina na inevitável elevação das taxas de morbimortalidade. Além disso, em decorrência da anemia crônica grave, levando a sintomas de fadiga e astenia, e das consequências dos eventos trombóticos, por vezes com sequelas debilitantes, os indivíduos diagnosticados com HPN grave, em sua maioria jovens, apresentam sua funcionalidade reduzida e sua capacidade produtiva individual e social limitada. No contexto da HPN grave, foi desenvolvida, há mais de uma década, a medicação Eculizumabe, um inibidor seletivo da fração C5 do complemento, que possui elevadas taxas de resposta em relação à melhora da anemia, redução da incidência de eventos tromboembólicos, melhora e estabilização da função renal e dos níveis de pressão da artéria pulmonar. Ainda que se trate de doença rara, o uso do eculizumabe em todo o mundo por mais de uma década forneceu dados sólidos na literatura acerca de sua eficácia, tolerabilidade e segurança, que podem ser observados em numerosas publicações científicas. Embora, pela sua característica de inibição do complemento, tenha sido observado aumento das taxas de infecção por meningite, este risco pode ser significativamente reduzido através da vacinação realizada antes do início do tratamento. Referências:1. Pathophysiology, diagnosis, and treatment of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: a review. Devalet B, Mullier F, Chatelain B, Dogné JM, Chatelain C. Eur J Haematol. 2015 Sep;95(3):190-8. 2. Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. Hill A, DeZern AE, Kinoshita T, Brodsky RA. Nat Rev Dis Primers. 2017 May 18;3:17028.3. How we treat paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: a consensus statement of the Canadian PNH Network and review of the national</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>registry. Patriquin CJ, Kiss T, Caplan S, Chin-Yee I, Grewal K, Grossman J, Larratt L, Marceau D, Nevill T, Sutherland DR, Wells RA, Leber B. Eur J Haematol. 2018 Sep 22. [Epub ahead of print]</p>	
		<p>3ª - Sim, Embora o eculizumabe possua robustos dados técnicos na literatura que substanciem seu benefício na HPN, a principal limitação ao acesso à medicação é seu elevado custo, revelando-se a medicação de maior custo entre aquelas atendidas por demandas judiciais no Ministério da Saúde. Vale ressaltar que, além de seu elevado custo de mercado, a judicialização per se constitui-se em um mecanismo que agrega custos na aquisição de medicações, mediante compras de urgência.</p>	
		<p>4ª - Sim, Diante do contexto limitado de verbas disponíveis ao SUS, a indicação indiscriminada da droga poderia trazer graves consequências ao orçamento público, inviabilizando a adoção de outras políticas públicas tão caras em um país de escassos recursos. Por este mesmo motivo, em países que têm sistemas públicos de saúde semelhantes ao do Brasil (ou seja, universais) a medicação é prescrita em serviços de referência e mediante critérios técnicos bem definidos. No Canadá, por exemplo, uma recente publicação de setembro de 2018 restringiu o fornecimento da medicação Eculizumabe aos pacientes com clone HPN &gt;10% com hemólise significativa e algum dos seguintes critérios: anemia significativa, evento tromboembólico, hipertensão pulmonar, insuficiência renal e dor abdominal recorrente significativa. Desta forma, a indicação racional e seletiva da medicação Eculizumabe para um subgrupo seletivo de pacientes com HPN poderia resultar em melhora da assistência aos pacientes com critérios de gravidade, apresentando favorável custo-benefício no contexto do SUS.</p>	
		<p>5ª - Sim, Custo-benefício Acreditamos que, através da manutenção de rigoroso critério de seleção dos pacientes com HPN elegíveis ao tratamento com Eculizumabe nos centros de referência, um grupo seletivo dentro da população dos indivíduos com HPN poderia beneficiar-se de seu uso, com eficácia, segurança e custo-benefício satisfatórios. Por tratar-se de um subgrupo limitado de uma doença rara, a demanda total pelo tratamento seria factível dentro dos recursos do SUS. Este grupo restrito de pacientes potencialmente beneficiar-se-ia de melhora dos níveis de anemia, fadiga e eventos trombóticos, melhorando sua qualidade de vida e capacidade produtiva, revertida economicamente à sociedade. Além disso, a padronização de critérios rigorosos de indicação da medicação poderá propiciar ao SUS o adequado planejamento da aquisição da medicação, reduzindo substancialmente o custo da judicialização. A consequência disto, a médio prazo, será uma redução global dos custos de aquisição da droga, melhora da capacidade produtiva dos indivíduos, de sua qualidade de vida e redução da mortalidade. Proposta de tratamento racional De acordo com a nossa proposta, a prescrição do Eculizumabe no SUS seria restrita aos casos que preencherem todos os seguintes critérios: 1. Presença de clone HPN detectado por citometria de fluxo 2. Anemia significativa com Hemoglobina &lt;math&gt;\leq 8,0\text{g/dL}&lt;/math&gt; 3. Necessidade transfusional frequente (pelo menos 02 unidades de concentrado de hemácias ao mês) 4. Estoque de ferro adequado (ausência de ferropenia) 5. Hemoglobinúria persistente 6. LDH &gt;5x o valor de referência Os demais indivíduos seria tratados de acordo com as opções já disponíveis no SUS. No caso dos indivíduos com anemia aplásica grave e clone HPN, recomenda-se o tratamento da anemia aplásica, conforme protocolos já preconizados pelo SUS. No caso de predominarem as manifestações clínicas da HPN (anemia hemolítica grave e eventos trombóticos), realizar tratamento</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		conforme protocolo de HPN acima. Acreditamos que o montante de indivíduos que seriam incluídos no protocolo seria restrito, dada sua raridade, melhorando a assistência e racionalizando os gastos destinados a esta doença dentro do orçamento do ministério da saúde.	
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. “O eculizumab é a medicação de escolha para o tratamento de pacientes com HPN, tendo grau de evidência 1A. A qualidade de vida e a sobrevida global desses pacientes melhorou bastante, inclusive a sobrevida global tornou-se igual à da população da mesma idade e sexo sem doenças. Portanto, discordo do parecer que afirma que os dados são frágeis e colocam que o número de pacientes é pequeno. Ora, a HPN, é uma doença ultra rara, atinge de 1,3 pessoas por milhão de habitantes deste modo, todos os trabalhos terão um número de pacientes limitado. A droga e seu mecanismo de ação inovador é o primeiro anticorpo anti complemento. O eculizumab age na causa base da doença, isto é, previne a hemólise intravascular pelo complemento. Esse fenômeno causado pela ação do complemento é a razão de todas as complicações e morte nos pacientes com HPN. Como isso ocorre? O mecanismo é simples, os pacientes com HPN, tem deficiência de proteínas na superfície celular que protegeriam as hemácias, leucócitos e plaquetas da ação do complemento. Quando o complemento ataca as células hematopoiéticas, ela ativa plaquetas e granulócitos, que agem sobre a cascata de coagulação sendo um dos mecanismos da mais grave complicação da HPN: a trombose. Essa ocorre em 67% dos pacientes NÃO tratados com eculizumab e é responsável por 25% da MORTALIDADE. Outra grave complicação é a insuficiência renal, de mecanismo multifatorial, tem prevalência em até 63% dos pacientes com HPN. Entretanto, quando tratados com eculizumab, de imediato podem reverter o quadro, inclusive, pacientes que complicam precisando de hemodiálise conseguem reverter o quadro na grande maioria das vezes. É importante esclarecer que a maioria desses pacientes não irão apresentar necessidade de tratamento com eculizumab, serão acompanhados clinicamente e laboratorialmente a fim de avaliar presença de sintomas de hemólise, trombose, função renal, além de seguir o DHL e o clone HPN. Assim, quando há um conhecimento aprofundado da enfermidade, há uma segurança na indicação de quando iniciar o tratamento, quando interromper e quando precisa ser encaminhado ao TMO, nos casos de aplasia com clone HPN sem hemólise.</p> <p>2ª - Sim, Seguem anexo literatura relacionada as complicações de trombose, sobrevida global e mortalidade dos pacientes com HPN.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Segue anexo literatura sobre critérios de utilização do Eculizumabe e incidência da patologia, assim com bula de aprovação pela ANVISA. Como exemplo no ambulatório de nosso serviço nos últimos 6 anos detectamos apenas 1 paciente com diagnóstico e indicação para uso da droga.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Considerando ser uma doença rara, existe uma vasta evidência de efetividade do medicamento (já citado no documento). Apenas o primeiro estudo foi randomizado porque seria antiético não oferecer o medicamento após comprovação da sua eficácia. Mas ainda assim, pode-se analisar os resultados dos estudos não randomizando comparando os desfechos antes e após o início da medicação, com resultados claramente favoráveis</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Hospital Universitário chegou a acompanhar 07 pacientes em uso de Eculizumabe. Os 02 pacientes que faleceram apresentaram rápida piora clínica pela falta do fornecimento da medicação. Os outros 05 apresentam vários períodos de piora, sendo claramente associados à interrupção do medicamento. Quando estão em uso regular, evoluem bem, tratamento as sequelas de trombozes anteriores.</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, O número de casos com necessidade de uso de eculizumabe não apresenta impacto financeiro para o estado e no entanto representa nas condições indicadas para uso, a diferença entre vida e morte. Em um caso que acompanhei com indicação o resultado do tratamento foi excepcional</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como farmacêutica monitoro os estoques de Soliris dos pacientes e as datas de administração e percebo que quando o paciente tem atraso nas datas das aplicações devido a falta do medicamento o estado clínico sempre tem pioras consideráveis deixando o paciente, muitas vezes, internado por vários dias.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. DOENÇA GRAVE, COM RISCO DE ÓBITO, SEM TRATAMENTO EFETIVO TRADICIONAL. APENAS TMO QUE POSSUI ALTA MORBI/MORTALIDADE.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Doença órfã cujo tratamento tem grande impacto na qualidade de vida do paciente.</p> <p>2ª - Sim, A documentação científica é robusta em mostrar a eficácia do medicamento no controle da doença, principalmente na ocorrência dos eventos de tromboembolismo que são a principal causa de morbi-mortalidade da HPN.</p> <p>3ª - Sim, Doença rara cuja quantidade de casos novos/ano está superestimada no documento.</p> <p>4ª - Sim, Os números de casos novos/ano está superestimado. Doença rara.</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O ECULIZUMAB DEVE SER INCORPORADO PARA TRATAMENTO DE PACIENTES COM HEMOGLOBINURIA PAROXISTICA NOTURNA POR AUMENTAR SIGNIFICATIVAMENTE A SOBREVIDA E DIMINUI A MORBIDADE DOS PACIENTE COM ESTA COMORBIDADE.</p> <p>2ª - Sim, OS PACIENTES COM HEMOGLOBINURIA PAROXISTICA NOTURNA CLASSICA QUE NECESSITAM DE TRATAMENTO (MINORIA) APRESENTAM DIMINUIÇÃO DO GRAU DE HEMOLISE, DIMINUIÇÃO DA INCIDENCIA DE TROMBOSE E DE INSUFICIENCIA RENAL COM O USO DO ECULIZUMAB, AUMENTANDO A SOBREVIDA E DIMINUINDO A MORBIMORTALIDADE DESTES PACIENTES. NÃO HÁ OUTRO TRATAMENTO PROPOSTO PARA ESTA DOENÇA.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Apesar do custo da medicação e seu possível impacto no orçamento do SUS, a medicação visivelmente melhora a qualidade de vida dos pacientes, diminuindo as transfusões e as repercussões decorrentes da HPN.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Na qualidade de Diretora Técnica do HEMORIO, no período de jan/2007 a dez/2013, tive a oportunidade de acompanhar o início do uso do ecullizumabe em pacientes portadores de HPN. Aqueles pacientes com alto risco trombótico hemolítico se beneficiam extraordinariamente do medicamento. Há que se considerar que a doença ocorre em pessoas jovens e que o emprego do medicamento, embora não seja curativo, muda a perspectiva de vida e sobretudo de complicações fatais.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Há um senso comum entre o meio médico, que a análise de custo-efetividade de um medicamento não é uma atribuição pertinente à sua atividade profissional habitual e que os pareceres e consultas devem se limitar à indicação técnica. Nesse sentido, acho indispensável a elaboração de um Protocolo Nacional com indicações precisas para o uso do medicamento, já que sabemos que seu uso se restringe a uns poucos casos. Outra sugestão é que se faça um pacto com a indústria para redução do preço do medicamento, já que se trata de um país com dimensões continentais e com inúmeras demandas para o cuidado em saúde.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Para alguns pacientes graves com HPN e a única alternativa de tratamento</p> <p>2ª - Sim, Eculizumab e o único tratamento eficaz para pacientes com clones expressivos de aham com clínica de trombose e hemólise acentuada.</p> <p>3ª - Sim, O preço do medicamento é alto mas a população e pequena e protocolo rígido de tratamento poderia ser elaborado com a sociedade de hematologia para papa pentes que se beneficiariam</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, São claras as evidências de melhoria na qualidade de vida e diminuição de mortalidade dos pacientes em uso do Eculizumabe quando usado nas indicações precisas.A revisão publicada na Nature de maio de 2017 em seu volume 3 pela Dra Anita Hill da Universidade St. James de Leeds na Inglaterra comprova os benefícios da droga em paciente portadores de HPN.Faz-se necessária após sua aprovação é a adoção de protocolos rígidos elaborados por representantes da Associação Brasileira de hematologia e técnicos do Ministério da Saúde. Com isso, garantimos os cuidados adequados aos pacientes com respeito ao erário público.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. a medicação Eculizumabe, é atualmente a unica disponivel para tratamento dos pact portadores de HPN, com melhora comprovada na diminuição dos sintomas ocasionados pela doença e melhora na sobrevida livre de doença e sobrevida global ( kelly et al /2011- blood ) . Em nosso serviço , nossos pact que tem acesso a medicação , vem evoluindo com melhora clinica importante , com diminuição das internações , das necessidades transfusionais e da necessidade de iniciar outros tratamentos decorrentes das complicações do HPN.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, a HPN ,é uma doença ultra rara e a indicação do inicio da medicação nao cabe a todos pact com clone HPN positivo, mas apenas para aqueles com clone HPN positivo + hematuria + sintomas clinicos da HPN( Internal Medicine Journal 47 ( 2017) 1026-1034 ) e Bula aprovada pela ANVISA. Portanto o uso dessa medicação seria indicada para uma pequena fração dos pact com HPN , nao apresentando o impacto orçamentario observado no relatorio da Conitec.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. APESAR DE SER UMA DOENÇA RARA , É O ÚNICO MEDICAMENTO DISPONÍVEL PARA TRATAMENTO DA HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNAHÁ PACIENTES , EM SITUAÇÃO DE EXTREMA GRAVIDADE,, QUE NÃO RESPONDEM A MEDICAÇÃO SINTOMÁTICA COM CORTICOIDES, E SUPORTE HEMOTERÁPICO, E O MEDICAMENTO EM QUESTÃO QUE É O ÚNICO MEIO DE SALVAMENTO.</p> <p>2ª - Sim, HÁ EVIDENCIAS MEDICAS COM BENEFICIO SUBSTANCIAL NA QUALIDADE DE VIDA E DIMINUIÇÕES DAS SEQUELAS, NUMA DOENÇA COM GRANDE MORBI/MORTALIDADE</p> <p>3ª - Sim, PELA EXPERIÊNCIA QUE TIVEMOS, NÃO SÃO TODOS OS PACIENTES QUE SERÃO TRATADOS , POR ISSO O IMPACTO FINANCEIRO NÃO É TÃO ALTO COMO COLOCADO NO RELATÓRIO.</p> <p>4ª - Sim, PELA EXPERIÊNCIA QUE TIVEMOS, NÃO SÃO TODOS OS PAIENTES QUE SERÃO TRATADOS , POR ISSO O IMPACTO FINANCEIRO NÃO É TÃO ALTO COMO COLOCADO NO RELATÓRIO</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Existem diversos estudos clínicos que não foram incluídos na análise e o eculizumab tem eficácia comprovada.</p> <p>2ª - Sim, Na medicina baseada em evidências o eculizumab é cientificamente comprovado na redução da hemólise, anemia, fadiga, disfagia, dor abdominal, hemoglobinúria e principalmente redução dos riscos de trombose, que é a maior causa de óbito desses pacientes.</p> <p>3ª - Sim, Existe um critério para a utilização do medicamento para que o mesmo traga o benefício esperado. Não é indicado para todos os pacientes com diagnóstico de HPN.</p> <p>4ª - Sim, O governo pode ter redução de custos direto e indireto com as complicações dos pacientes com HPN,, redução de diárias de internação, medicamentos, diárias de UTi, suporte hemodinâmico e ventilatório. Podendo atingir uma melhor qualidade de vida.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo da decisão do CONITEC, pois o eculizumabe é a única opção terapêutica comprovadamente eficaz para controle da doença hemoglobinúria paroxística noturna, que quando não tratada é grave com risco elevado de óbito decorrente da anemia hemolítica, falência medular e fenômenos trombóticos.</p> <p>2ª - Sim, Para pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna clássica, o transplante alogênico de células hematopoiéticas (HCT) e a inibição do complemento com eculizumab são as únicas terapias estabelecidas. Recomenda-se o eculizumab para pacientes com manifestações significativas da doença atribuíveis à hemólise, incluindo fadiga incapacitante, dependência de transfusão, paroxismos frequentes de dor, trombose, piora da insuficiência renal ou outras complicações de órgãos-alvo</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos têm direito ao tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Apesar do custo é uma droga nova que pode dar uma qualidade de vida importante para o paciente, diminuindo as comorbidades que a doença traz.</p> <p>2ª - Sim, Richards, S. J. The effect of eculizumab therapy on red cell response kinetics in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Blood 2005: 106 (11) 1047-57.</p> <p>3ª - Sim, Tive um paciente que necessitava de receber transfusão de sangue a cada 2 semanas e que não conseguiu ter acesso a medicação e que acabou falecendo em dois anos do diagnóstico e que por ano foi gasto mais 50mil só em transfusão, fora as internações hospitalares. Dever-se -ia poder ter acesso a esta medicação, pois poder-se-ia controlar uma doença altamente incapacitante, mas de incidencia muito baixa.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A doença é de baixa incidencia, existem critérios para tratamento da HPN. Como médica é muito triste, ver um paciente com um diagnóstico de HPN, saber que tem uma medicação que pode controlar bem a doença e depois qdo o governo suspende o fornecimento da medicação, observar o retorno da sintomatologia da doença e todas as complicações e evoluir para óbito.Outro pacte nem conseguiu o tratamento e fez só suporte, evoluiu para óbito</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculizumabe é droga orfã e única para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna, a única capaz de mudar o curso natural da doença e evitar a morte dos pacientes por anemia e/ou eventos trombóticos.</p> <p>2ª - Sim, Única droga capaz de mudar o curso natural da doença e evitar a morte dos pacientes por anemia e/ou eventos trombóticos.</p> <p>3ª - Sim, Existe hoje a estimativa de cerca de 500 pacientes com diagnóstico de HPN no Brasil e apenas cerca de 2/3 destes com indicação de tratamento.</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo da medicação, por tratar-se de doença rara, existe pouco pacientes com indicação de tratamento em todo o país. Além disso, trata-se de droga que pode evitar a morte dos pacientes.</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. A terapia com eculizumabe não é proposta a todos os portadores de HPN e sim àqueles com alta atividade e maior risco. Não está incluído que para os pacientes de alto risco com trombose, apenas o eculizumabe consegue controlar a recorrência - diminuí em 85% novos eventos trombóticos com relação aos pacientes em uso de terapia anticoagulante eficaz. As tromboses são responsáveis por grande número de fatalidades em HPN. Considero que deve haver liberação para pacientes selecionados e sem outra opção terapêutica, conforme diretriz de utilização.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Não posso discutir esta parte, porém considero irrelevante a inclusão de todos os pacientes com HPN no cálculo, uma vez que nem todos terão indicação de uso da medicação</p> <p>4ª - Sim, ver acima</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A HPN é uma doença progressiva e com consequências graves. O paciente hemólise e pode apresentar anemia, fadiga, dispnéia, dor abdominal e trombose venosa. Em consequência, podem apresentar complicações graves como: trombose de vasos, doença renal crônica, hipertensão pulmonar, que limitam a vida do paciente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. TRATA-SE DE MEDICAMENTO FUNDAMENTAL AO TRATAMENTO DE PACIENTES PORTADORES DE HEMOGLOBINURIA PAROXÍSTICA NOTURNA HPN</p> <p>2ª - Sim, ACOMPANHO EM MEU CONSULTÓRIO TRÊS PACIENTES QUE NÃO TIVERAM NENHUMA CRISE HEMOLÍTICA OU TROMBOSE APÓS A INTRODUÇÃO DO MEDICAMENTO. A VIDA DESTES PACIENTES VOLTOU A TER BOA QUALIDADE, PERMITINDO VIDA DE TRABALHO ROTINEIRA. A PERFORMANCE PESSOAL DE MEUS PACIENTES É IGUAL A DE INDIVÍDUOS SADIOS.</p> <p>3ª - Sim, O CUSTO DE UM TRATAMENTO NESTA DOENÇA NÃO PODE SEGUIR PARÂMETROS DO TIPO CUSTO BENEFÍCIO. SÃO VIDAS HUMANAS PRESERVADAS COM ÓTIMA QUALIDADE E ÓTIMA CAPACIDADE LABORAL.</p> <p>4ª - Sim, O SUS DEVE E PODE ABSORVER ESTES CUSTOS</p> <p>5ª - Sim, A CONITEC LIBERANDO O ECUZUMAB PARA OS NOSSOS PACIENTES ESTARÁ CUMPRINDO SUA FUNÇÃO. ESTARÁ AUTORIZANDO E PERMITINDO QUE HEMATOLOGISTAS EXERÇAM COM COMPETÊNCIA SUA OBRIGAÇÃO DE TRATAR DIGNAMENTE OS PACIENTES COM HPN.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Sabemos da necessidade de varias outras drogas, para patologias mais frequentes, porem essa é fundamental para esse grupo de pacientes com HPN.</p> <p>2ª - Sim, Diversos estudos sérios ja demonstraram a eficacia e beneficios dessa droga em HPN.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trata-se de doença rara, potencialmente fatal, com grave comprometimento de qualidade de vida e o eculizumab é o único tratamento disponível que modifica a sobrevivencia desses pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Evidência clínica</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, A maioria dos pacientes com hemoglobinuria paroxística noturna não tem indicação de tratamento com eculizumab. Dessa forma, a criação de um protocolo adequado com critérios formais para iniciar o tratamento pode trazer essa condição para uma realidade acessível</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos têm direito ao tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Alexion discorda totalmente da recomendação preliminar e reforça a importância da incorporação de eculizumabe (Soliris®) para o tratamento de HPN, conforme aprovado em bula pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e com base em diversas evidências científicas apresentadas no documento anexo.</p> <p>2ª - Sim, Durante a seleção das evidências (pág. 23), a metodologia utilizada excluiu revisões não sistemáticas, ensaios clínicos não controlados e estudos com delineamento diverso dos critérios de inclusão, o que limitou a avaliação da tecnologia proposta. Os estudos pivotais de fase I, II e III comprovaram a eficácia e segurança do eculizumabe (Soliris®) em uma população de pacientes com HPN altamente hemolítica e com histórico de dependência transfusional.<sup>3,4,12,13</sup> Esses estudos demonstraram uma redução rápida e sustentada da hemólise intravascular mediada pelo complemento (87,6 e 86,9 de redução relativa após um e 36 meses, respectivamente; <math>p &lt; 0,0001</math>); redução significativa em eventos trombóticos de 92% (<math>p &lt; 0,0001</math>); melhora tempo-dependente da função renal, sendo que os pacientes tratados tinham uma probabilidade seis vezes maior de apresentar melhora no estágio de DRC em comparação à terapia de suporte, e com uma redução de 50% na incidência de hipertensão pulmonar quando comparados ao grupo de controle que recebeu placebo (<math>p &lt; 0,001</math>); hipertensão pulmonar apresentou redução significativa de 50% (<math>p &lt; 0,001</math>); houve também redução significativa em fadiga debilitante, transfusões, anemia e dor, bem como melhora da qualidade de vida dos pacientes com HPN quando comparados àqueles que receberam placebo. O objetivo destes estudos era demonstrar o benefício rápido e claro na redução da hemólise crônica e da necessidade transfusional, bem como a segurança do uso do fármaco, em populações ainda menores e com seguimento mais curto. Como descrito anteriormente, tais características são típicas de estudos clínicos designados para avaliação de doenças raras e essas especificações são consideradas na análise das agências regulatórias internacionais.<sup>27</sup> O principal ECR de fase III é o estudo TRIUMPH.<sup>3</sup> É um estudo multicêntrico de fase 3, prospectivo, duplo-cego, randomizado, controlado por placebo, que avaliou 87 pacientes por um período de 26 semanas; seus endpoints foram: estabilização dos níveis de hemoglobina, redução da necessidade transfusional, redução da hemólise intravascular e melhora da qualidade de vida dos pacientes. Esse ensaio clínico foi incluído na análise do relatório e inserido na avaliação da meta-análise, sendo classificado com qualidade metodológica alta (pág. 62). Porém, outros estudos clínicos de relevância não foram avaliados na análise do relatório, como pode ser evidenciado no documento anexo.</p> <p>3ª - Sim, Diretrizes internacionais de avaliação econômica determinam que o desenvolvimento de um modelo de análise de custo-efetividade (ACE) deve ser precedido pela determinação do problema de decisão adequado que a ACE irá indicar.<sup>2</sup> A determinação do problema de decisão envolve a definição de aspectos da análise, como população-alvo, desfechos de saúde e horizonte temporal, de modo a “identificar todos os efeitos à saúde e os custos relevantes ao problema de decisão”. A determinação da CONITEC do problema de decisão difere do consenso obtido em outros órgãos de avaliação de tecnologia em saúde (ATS) em todo o mundo, bem como dos estudos publicados sobre o uso de eculizumabe (Soliris®) em HPN. A avaliação da CONITEC considerou um subgrupo limitado de desfechos clínicos de HPN (por exemplo, transfusões de sangue e remissão espontânea), e o fez para um horizonte de 26 semanas, o que resultou na incapacidade de</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>perceber os benefícios do eculizumabe (Soliris®) em diversos desfechos importantes, inclusive em prognóstico de sobrevida. As evidências clínicas reconhecem amplamente que o tratamento de HPN com eculizumabe (Soliris®) em comparação ao tratamento de suporte afeta a sobrevida dos pacientes de forma significativa, bem como a progressão de longo prazo de desfechos graves como eventos trombóticos, doença renal crônica e hipertensão pulmonar. Além da omissão do benefício de sobrevida com o tratamento com eculizumabe (Soliris®) a avaliação da CONITEC também excluiu diversos desfechos clínicos importantes, para os quais há dados publicados. A CONITEC descreve sua escolha dos desfechos com base na disponibilidade de evidências do estudo clínico de fase 3 TRIUMPH, que analisou o uso de eculizumabe (Soliris®) para HPN, conforme relatado em Hillmen et al. (2006). No entanto, não foi feita nenhuma menção ao estudo clínico de fase 3 SHEPHERD, que foi descrito por Brodsky et al. (2008). Tanto os artigos de Hillmen et al. como de Brodsky et al. apresentam o benefício estatisticamente significativo do tratamento com eculizumabe (Soliris®) na qualidade de vida dos pacientes e, mesmo assim, isso foi excluído da avaliação da CONITEC. Ademais, não foi feita nenhuma menção ao estudo de extensão piloto de fase 2 e aos estudos clínicos de fase 3 TRIUMPH e SHEPHERD, os quais acompanharam pacientes tratados com eculizumabe (Soliris®) por até 5,5 anos, conforme descrito em Hillmen et al. (2010), bem como a redução estatisticamente significativa no risco de eventos trombóticos e mortalidade descrita por Kelly et al. (2011). Deve-se observar que as diretrizes internacionais de avaliação econômica determinam que o problema de decisão não deve ser restrito por limitações de dados. Uma avaliação econômica adequada para a definição de políticas, como decisões de reembolso, deve incluir todos os aspectos relevantes do problema de decisão, mesmo que os dados sejam limitados, pois as implicações das incertezas geradas por limitações de dados podem ser testadas em análises de sensibilidade. 2 Em resumo, o fato da avaliação da CONITEC omitir o impacto do tratamento com eculizumabe (Soliris®) em comparação ao tratamento de suporte no prognóstico de sobrevida, bem como nos principais desfechos clínicos de HPN, como eventos trombóticos, doença renal crônica e hipertensão pulmonar, impede que a avaliação possa caracterizar, com precisão, o impacto que a doença causa nos pacientes com HPN, bem como o valor dos benefícios do tratamento com eculizumabe (Soliris®). Consulte as seções a seguir, que embasam mais profundamente os pontos listados acima. Vide documento anexo 4ª - Sim, Eculizumabe (Soliris®) exigidos pelo SUS em um período de três anos, com base em nove cenários definidos por estimativas de pacientes que necessitem do tratamento com eculizumabe (Soliris®) e seus custos associados. A análise apresenta diversas premissas ou aplicações de dados disponíveis publicamente que sugerem que o impacto orçamentário, particularmente acima das estimativas mais baixas, pode estar consideravelmente superestimado. Estimativas de pacientes que necessitam de tratamento com eculizumabe (Soliris®) baseiam-se na taxa de prevalência de 15,9 pacientes com HPN por milhão, com base em um estudo epidemiológico realizado na Inglaterra. 11 Na análise da CONITEC, a taxa de prevalência foi aplicada como uma taxa de prevalência pontual, enquanto que Hill et al. (2006) observam que ela é a taxa de prevalência no período de 15 anos em seu estudo. Consequentemente, considerando o risco de mortalidade significativo enfrentado pelos pacientes com HPN sem o tratamento com eculizumabe (Soliris®) (como foi o caso durante o período pré-2006 apresentado por Hill et al. 11), a aplicação da taxa de prevalência pontual pode ampliar o valor encontrado, que é o dado necessário para a análise da CONITEC. Além disso, a AIO da CONITEC não leva</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>em consideração os motivos pelos quais o cenário do atendimento de saúde no Brasil poderia razoavelmente gerar uma taxa de diagnósticos mais baixa do que aquela observada no Reino Unido, um dos únicos países no mundo que possui um serviço especializado para HPN, contando inclusive com centros especializados de tratamento. Os cenários de AIO da CONITEC também consideram que um número muito maior de pacientes diagnosticados seriam tratados com eculizumabe (Soliris®) do que seria plausível. Um cenário pressupõe que 100% dos pacientes diagnosticados com HPN seriam tratados em todos os três anos, o que não é uma hipótese realista em nenhum sistema de saúde, e particularmente dado que Hill et al. (2006) indicam que somente 82,5% dos pacientes diagnosticados provavelmente seriam hemolíticos e, portanto, necessitariam do tratamento com eculizumabe (Soliris®). Além disso, evidências de outros países, especificamente o Reino Unido, apontam para uma taxa de tratamento de cerca de 40-45% dos pacientes diagnosticados, o que somente condiz com o cenário mais baixo (30-50% dos pacientes tratados) apresentado pela CONITEC. Finalmente, a análise do impacto orçamentário omite os custos dos diversos desfechos clínicos observados em pacientes com HPN não tratada, como eventos trombóticos, doença renal crônica e hipertensão pulmonar. Em resumo, somente as estimativas mais baixas da faixa do impacto orçamentário calculadas pela CONITEC podem refletir, de forma aproximada, os potenciais gastos com eculizumabe (Soliris®) (excluindo quaisquer reduções em gastos obtidas com tratamento de suporte) exigidos pelo SUS, mas mesmo essas estimativas provavelmente são exageradas. Consulte as seções a seguir, que embasam mais profundamente os pontos listados acima. Vide documento anexo</p> <p>5ª - Sim, A Alexion é uma empresa biofarmacêutica global, dedicada à servir pacientes e famílias afetadas por doenças raras através do descobrimento, desenvolvimento e comercialização de terapias transformadoras. Globalmente, através do poder transformador da nossa ciência, a Alexion vem fornecendo terapias inovadoras para pacientes que sofrem de doenças raras. O impacto dessas doenças na vida dos pacientes, seus familiares e na sociedade é profundo, pois na grande maioria são doenças muito graves, crônicas, progressivas e com altos índices de mortalidade. Somos pioneiros no complexo campo da biologia do complemento e fornecemos soluções para desafios que anteriormente pareciam impossíveis para pacientes com essas doenças devastadoras, mediadas pelo complemento e doenças metabólicas. Na Alexion, servir pacientes com doenças raras e suas famílias, é a nossa inabalável missão. A Alexion agradece a oportunidade de responder à avaliação clínica e econômica feita pela CONITEC sobre o uso de eculizumabe (Soliris®) para o tratamento de hemoglobinúria paroxística noturna (HPN). Vide documento anexo</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Único tratamento efetivo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A HPN é doença progressiva e fatal e com o tratamento com eculizumab os trabalhos mostram que há uma resposta com aumento da sobrevida e melhora significativa das condições clínicas do paciente tornando-o produtivo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. NECESSÁRIO A PREOCUPAÇÃO COM DOENÇAS RARAS PELA CLASSE MÉDICA PARA MELHOR DIAGNÓSTICO E TRATAMENTO DE PATOLOGIAS DE DIFÍCIL DIAGNÓSTICO.</p> <p>2ª - Sim, O uso de Eculizumab traz benefícios do medicamento para HPN como diminuição de trombozes, fadiga, disfagia e alta mortalidade provocada pela doença, principalmente em paciente portador de doença renal, evitando trombose, principal causa de morte pela doença.Referências importantes.peterhillmenn2007, 2013anita hillrevista blog 2005 parkerregistro coreano, jornal internacional de hematologia - lee</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, É necessário rever os custos do medicamento uma vez que nem todos os paciente s diagnosticado com HPN serão tratados. Por volta de 20 a 30 % dos pacientes diagnosticados com HPN serão tratados com o medicamento.</p> <p>5ª - Sim, O estado de Santa Catarina possui citometria de fluxo com alta qualidade sendo que os profissionais de saúde podem fazer um diagnóstico de maneira preciso e realizar um tratamento adequado. Possuimos diversos hospitais que são referência no estado para tratamento para patologia.</p>	
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os estudos mostram redução importante dos eventos tromboembólicos, que são a maior causa de morte.</p> <p>2ª - Sim, O market share mencionado certamente é muito menor que 100%, de acordo com critérios de tratamento presentes na própria bula, que incluem a doença hemolítica com alta atividade de doença, e não todos os portadores de clone HPN.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O uso de eculizumabe reduz a morbi-mortalidade dos pacientes portadores de HPN que tem indicação de tratamento.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Este hospital, HEMOPE, um dos pioneiros no Brasil, fundado em novembro de 1977 tem caráter científico, educacional e assistencial. É referencia na região em tratamento das doenças do sangue. Em dezembro de 2014, inaugurou um ambulatório especializado para atender pacientes com clone HPN. Um protocolo institucional sobre diagnóstico, grupos de risco. seguimento dos doentes, através de provas de hemólise, tamanho do clone, além de, critérios para iniciar a terapia com Eculizumabe. O Serviço também funciona prestando consultoria a outros hospitais de PE e demais estados da região NE, quanto ao manuseio dessa patologia tão rara. Deste modo, a Fundação HEMOPE, discorda totalmente do relatório preliminar da CONITEC, pois tem a experiência em tratar os pacientes com diversos graus de gravidade dessa enfermidade, conhecendo de perto os benefícios do uso da medicação em questão, bem como, já tendo vivenciado os malefícios da descontinuação súbita desta fármaco, por irregularidade no fornecimento pelo MS. O Eculizumabe reduz a necessidade de transfusão, restabelece a função renal na maioria dos pacientes, previne eventos trombóticos e, principalmente, está associado a uma importante melhora na qualidade de vida dos pacientes. Em questão da HPN forma hemolítica (clássica) o Eculizumabe tem evidência 1A. Tendo clara indicação médica em casos de doença com alta atividade, caracterizada com DHL 1,5x superior a normalidade. O TCTH está apenas indicado nos casos de aplasia medular grave com clone HPN.</p> <p>2ª - Sim, Estudos mostram a redução de 75% das transfusões, prevenindo a trombose em 92% dos casos, além de apresentar melhora progressiva da função renal com o uso contínuo de Eculizumabe.O estudo de sobrevida de Dr. Kelly (anexo), mostrou impactante aumento da sobrevida dos pacientes em uso de Eculizumabe, cujas curvas foram equiparadas com população saudável da mesma idade e sexo.</p> <p>3ª - Sim, Sabemos que a doença é classificada como ultra rara, com a expectativa de 1,3 caso por milhão de habitantes. Infelizmente, na realidade brasileira, esses dados são imensuravelmente inferiores devido ao sub diagnóstico por sermos um país continental com dificuldade de acesso a saúde ainda limitado.Deste modo, a previsão de 260 novos casos /ano, na prática será bem menor. Entre os pacientes diagnosticados a grande maioria apresenta apenas um clone HPN, sem expressão clínica da doença, e portanto, sem indicação de tratamento. Isto é, o impacto financeiro do tratamento com Eculizumabe é, muito provável, inferior aos dos imunobiológicos usados para tratar as colagenoses e novas tecnologias para combate ao câncer, ambos mais prevalentes que HPN.Por isso, o paciente que tem uma doença ultra rara cujo tratamento é feito exclusivamente através de uma droga órfão, não pode ser penalizado quando o mesmo tem o mesmo direito constitucional ao acesso a saúde e a vida.</p> <p>4ª - Sim, Não há estudos locais ou mundiais sobre a farmacoeconomia do Eculizumabe, contudo é esperado que os pacientes tratados retornem a uma vida produtiva econômica e socialmente, e assim, diminuindo os gastos com a previdência (auxílio doença, aposentaria, pensão por morte, etc)</p> <p>5ª - Sim, Uma vantagem da incorporação da medicação ao SUS, é a uniformidade aos critérios de inicio de tratamento, visto que seriam manejados por centros de referência. Outra questão, está relacionada ao acesso igualitário de pacientes com classes sociais e níveis intelectuais diferentes a um tratamento que no momento depende exclusivamente de judicialização. Tornando ainda mais excludente o nosso sistema de</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		saúde, que tem por princípio ser único.	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. DISCORDO TOTALMENTE, TENDO EM VISTA QUE NA ATUAL REALIDADE, O Eculizumabe é o único medicamento com eficácia comprovada para o controle da hemoglobina paroxística noturna</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eculizumab unica droga para tratamento eficaz do HPN</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Devido a pacientes apresentarem inúmeras complicações devido à doença de base, não havendo terapias medicamentosas de suporte efetivas, o Eculizumab se traduz na única opção com ação direta na causa subjacente do HPN.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os pacientes com diagnóstico de HPN não tem possibilidades de outros tratamentos Com a resposta positiva eles voltam a ter uma vida produtiva.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Já existem evidências científicas baseadas em estudos clínicos dos benefícios do Eculizumabe no tratamento dos pacientes que possuem critério para tratar a HPN, além da prática clínica de mais de 10 anos do uso do medicamento. A demora do acesso do paciente ao tratamento pode resultar em piora da sua qualidade de vida como também a morte por trombose. Na presente avaliação foi deixado de mencionar que somente de 10 a 20% dos pacientes diagnosticados terão critérios para tratamento o que reduziria significativamente o cálculo de impacto orçamentário.</p> <p>2ª - Sim, O tratamento com Eculizumabe aumenta a qualidade de vida do paciente, fazendo-o retornar as suas atividades pessoais e laborais, além de aumentar substancialmente a Sobrevida Global sem efeitos adversos significativos. Diminui a necessidade transfusional e hemólise.</p> <p>3ª - Sim, Somente um percentual pequeno dos pacientes identificados serão candidatos ao tratamento de acordo com critérios como tamanho do clone, hemólise e sintomas clínicos.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
05/11/2018	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O tratamento dos pacientes com HPN já está estabelecido há muitos anos com Eculizumabe, vários estudos clínicos demonstraram que transfusões sanguíneas e corticóides não são suficientes para impedir os sintomas, a progressão da doença e principalmente a trombose que pode ser fatal. Se considerar os custos com internações e tratamentos paliativos, além de retirar o paciente do convívio pessoal e profissional, se criarem critérios específicos, somente alguns pacientes irão utilizar o Eculizumabe.</p> <p>2ª - Sim, O tratamento traz para o paciente sobrevida global igual a da população geral baseado em inúmeros ensaios clínicos de fase III.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Se estabelecerem os pacientes que possuem critério para receber o tratamento com certeza o custo efetividade será positivo.</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A HPN É UMA DOENÇA RARA E AINDA ASSIM NEM TODOS OS PACIENTES NECESSITARAM DE TRATAMENTO, NESTE SENTIDO, EMBORA O TRATAMENTO SEJA DE ALTO CUSTO POUCOS PACIENTES SERÃO ELEGÍVEIS PARA O ECULIZUMAB. O USO CORRETO NÃO IRÁ ONERAR O ESTADO.</p> <p>2ª - Sim, <a href="http://www.haematologica.org/content/103/8/e345">http://www.haematologica.org/content/103/8/e345</a></p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/11/2018	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A incorporação da medicação diminuirá o tempo de espera para o portador conseguir a medicação, tempo que hoje é muito longo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/11/2018	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há alguns dados apresentados que não são condizentes com a literatura e prática clínica.</p> <p>2ª - Sim,  <a href="http://www.bloodjournal.org/content/bloodjournal/117/25/6786.full.pdf">http://www.bloodjournal.org/content/bloodjournal/117/25/6786.full.pdf</a>; <a href="https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/bjh.12347">https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/bjh.12347</a></p> <p>3ª - Sim, Nem todos os casos que são diagnosticados tem indicação de tratamento. Somente aqueles com sintomatologia ou laboratório com aumento de clone e/ou citopenias e/ou trombooses de repetição não justificadas por outras causas</p> <p>4ª - Sim, Se não são todos os casos com indicação de tratamento, logo o custo será por casos diagnosticados e sim por casos sintomatologias, o que portanto, vai o número de pacientes tratados e portanto o custo mensal / anual de tro</p> <p>5ª - Não</p>	