

Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Miglustate para Niemann-Pick tipo C - CONITEC

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/04/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/04/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pela minha experiência, os pacientes com Niemann-Pick C com manifestações neurológicas podem se beneficiar do uso de miglustat 2ª - Sim, Pacientes com doença de Niemann-Pick C acompanhados por mim que usaram miglustat apresentaram estabilização do quadro neurológico; o que do ponto de vista de uma doença progressiva, pode ser considerado como resposta ao tratamento 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/04/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
01/05/2019	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/05/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
01/05/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, O impacto orçamentário é gigantesco para tão pouca efetividade clínica. 5ª - Não	
01/05/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Medicamento não foi majoritariamente efetivo comparando benefícios vs efeitos adversos. Não aumentou a sobrevida dos pacientes e nem mesmo obteve uma resposta significativa na qualidade de vida dos mesmos. Além disso o alto custo para o orçamento da nação é muito grande para demonstrar pouco resultado para os pacientes. Outros tratamentos são feitos para melhorar a qualidade de vida do paciente com essa doença, o que pode ser mais efetivo que o miglustate em si. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, Impacto orçamentário é enorme e não efetivo se pensar em número de evidências que o medicamento poderia ter algum resultado positivo para o paciente. 5ª - Não	
03/05/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação tem comprovação de melhora da qualidade de vida do paciente, é importante avaliar as alterações e a partir de um estudo individualizado recomendar ou não o uso da medicação 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
03/05/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
04/05/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Um absurdo. Se tivesse algum familiar destes que voltaram desfavoravelmente, duvido que esse fosse o resultado. Só dói quando vc sente na pele. Infelizmente o ser humano está egoísta. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
08/05/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/05/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou médico neurologista há 15 anos. Estou envolvido em pesquisa, diagnóstico e tratamento de muitos pacientes com doenças raras e envolvimento do sistema nervoso. A NPC é uma doença rara, sistêmica e de evolução progressiva. Temos recentemente o uso do medicamento miglustat que vem se mostrando cada vez mais importante na estabilização dos sintomas clínicos. Dorga que modifica o curso natural da doença e que impacta sobretudo de maneira consistente na estabilização clínica neurológica. 2ª - Sim, evidências clínicas 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, Gostaria de deixar claro que à não incorporação deste medicamento nesta doença rara é voltarmos para apenas o tratamento sintomático. Acredito fielmente que temos obrigação de nos posicionar FAVOR da incorporação deste medicamento para estes pacientes.	<p data-bbox="1912 1150 2049 1177">Clique aqui</p> <p data-bbox="1912 1246 2049 1273">Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/05/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/05/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Apesar de estar colocado que não há literatura suficiente, temos estudos em adultos e crianças mostrando resultados positivos e devemos ter em mente que esta é uma doença rara e como tal, as evidências podem demorar a serem constatadas em função do número de pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Com tamanho amostral maior e instituição do tratamento precocemente vamos chegar à conclusão mais solidificada que o medicamento é eficaz. Portanto, minha opinião é que este medicamento seja incorporado.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Este medicamento já encontra-se no protocolo de tratamento para Doença de Gaucher, o que penso facilitar toda a operacionalização de compra e distribuição para pacientes com a Doença de Niemann-Pick tipo C.</p>	<p>Clique aqui</p>
12/05/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Neste hospital temos acompanhado o tratamento com reposição enzimática para pacientes com Mucopolissacaridose desde 2008 e reconhecemos a eficiência (mesmo que existam limitações). Ao que conhecemos a respeito do medicamento em questão, acreditamos na sua eficiência. Em se tratando de doenças raras, é difícil ter em pouco tempo uma evidência estatisticamente significativa.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/05/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/05/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Niemann-Pick é uma doença rara, de incidência estimada de 1:150.000 sendo difícil a realização de um estudo com um N adequado para chegar-se a uma conclusão estatística definitiva sobre a eficácia, ou não, do medicamento ora em discussão. Por outro lado, entendo que, sendo aprovada a medicação, mecanismos de controle e avaliação contínua devem ser adotados, para que novas avaliações sobre os resultados do tratamento, na diferentes faixas etárias de acometimento da enfermidade, possam trazer à luz, de forma mais concreta, se tal forma terapêutica deve ser, ou não, mantida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/05/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. diversos estudos clínicos embasam a indicação do Miglustate como droga eficaz para controle da evolução dos sintomas neurológicos na doença de Niemann-Pick-C. a não inclusão da droga poderá causar prejuízo irreversível à saúde destes pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Metab Brain Dis. 2017 Oct;32(5):1529-1536. doi: 10.1007/s11011-017-0044-y. Epub 2017 Jun 3. The treatment of juvenile/adult GM1-gangliosidosis with Miglustat may reverse disease progression. Orphanet J Rare Dis. 2015 Feb 27;10:22. doi: 10.1186/s13023-015-0240-y. Long term follow-up to evaluate the efficacy of miglustat treatment in Italian patients with Niemann-Pick disease type C. Orphanet J Rare Dis. 2012 Jun 7;7:36. doi: 10.1186/1750-1172-7-36. Miglustat therapy in the French cohort of paediatric patients with Niemann-Pick disease type C. Os três artigos acima são evidências recentes, em pacientes neurológicos com Niemann-Pick C, onde o uso do Miglustate controlou ou mesmo reverteu parte dos déficits neurológicos. A experiência dos pesquisadores brasileiros vai de encontro às evidências internacionais, comprovando a eficácia da droga.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Faço parte de um grupo internacional de estudo de doenças raras. A experiência internacional comprova a eficácia do Miglustate e a não incorporação seria um grande atraso para a Medicina Brasileira no cuidado com estes doentes, pois trata-se de tratamento com evidência comprovada.</p>	<p>Clique aqui</p>
13/05/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A UNICA MEDICAÇÃO DISPONIVEL NO MOMENTO PARA TRATAMENTO DA DOENÇA. E MOSTROU SER EFICAZ PARA IMPEDIR A PROGRESSAO DE SINAIS E SINTOMAS DA DOENÇA, E TAMBEM E REMISSAO DE OUTROS SIANAIS E SINTOMAS.</p> <p>2ª - Sim, OS PACIENTES TRATADOS COM MIGLUSTAT, GERALMENTE MOSTRAM BOA RESPOSTA AO TRATAMENTO, PRINCIPALMENTE QUANDO INICIADO NO INICIO DOS SINTOMAS. PODEM IMPEDIR PROGRESSAO OU ATE MELHORAR ALGUNS SINAISE/OU SIMTOMAS DA DOENÇA</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, AO TRATAR O PACIENTE ESTAMREMSO EVITANDO INTERNAÇÕES E/OU SEQUELAS NEUROLOGICAS QUE TEM IMPACTO ECONOMICO RELEVANTE.</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
13/05/2019	Outra	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/05/2019	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Miglustate possui indicação para tratamento de doença de Gaucher do tipo 1 leve a moderada para as quais a terapia de substituição enzimática é considerada inadequada, bem como para a doença de NPC. Contudo, apenas Gaucher possui tratamento com cobertura à nível federal no SUS através de PCDT, publicado na Portaria SAS/MS nº 4 de 22/06/2017. Os estudos em NPC não são extensos em número de participantes, nem em tempo, devido às próprias características da doença, que é progressiva, fatal, e sobretudo rara. Apesar das limitações, em todos os estudos há concordância de que a estabilização da doença é o principal objetivo para os pacientes de NPC com manifestações neurológicas (2, 42). A doença de NPC também apresenta diagnóstico tardio na maioria dos casos, já que pode se apresentar com uma ampla gama de manifestações clínicas. Por este motivo, existem poucos estudos publicados descrevendo o melhor tratamento, seja este sintomático ou específico; a maioria deles com n pequeno de pacientes e ainda com desfechos variados, que não permitem avaliar um mesmo desfecho relevante do tratamento empregado. A dificuldade na definição do desfecho ideal a ser avaliado nos estudos clínicos está na falta de uma escala padronizada para monitoramento da progressão das manifestações clínicas na NPC (2). Mesmo com essas limitações, nos estudos de vida real com miglustate, observa-se que seu uso estabiliza a doença e melhora alguns dos parâmetros importantes que, se não controlados, podem levar a consequências graves como broncoaspiração e morte. Em um dos principais registros de NPC, publicado em 2015 por Patterson e col (33), demonstrou-se que o uso de miglustate estabiliza a melhora da doença em uma média de 2 anos. Em 2018, o mesmo grupo de avaliadores apresentou um pôster no simpósio da SSIEM com o estudo Survival, que avalia o maior registro de pacientes com NPC, incluindo dados do Brasil, mostrando uma tendência clara de redução da mortalidade com o tratamento com miglustate. A diferença na mediana de sobrevida dos pacientes tratados com miglustate foi aproximadamente 10 anos superior versus pacientes sem tratamento e a maior sobrevida foi consistente em pacientes de todas as idades no início das manifestações neurológicas (42), o que indica o impacto positivo que o tratamento da NPC com miglustate pode trazer aos pacientes. Muito embora não exista atualmente tratamento curativo para a doença de NPC, miglustate é a única opção aprovada e disponível para impedir a progressão da doença e melhorar a sobrevida dos pacientes (42). Miglustate acompanhado de tratamento de suporte ameniza os sintomas da doença, melhorando assim a qualidade de vida dos pacientes (3,9). Com relação às análises farmacoeconômicas, a razão de custo-efetividade incremental calculada para o miglustate é de R\$ 459.120,00. É importante ressaltar que diversos autores consideram este um tipo de análise inadequada para o tratamento de doenças raras, como é o caso de NPC. Há desafios multifatoriais nas avaliações econômicas para doenças raras e as metodologias hoje existentes, em geral, não suportam a tomada de decisão para essas patologias. Assim, não existindo consenso para as análises de incorporação de doenças raras, o modelo de custo-efetividade, embora seja utilizado, é limitado (38–40). Para avaliar o impacto da incorporação de miglustate no SUS, realizaram-se novas análises de impacto orçamentário onde os gastos federais são menores do que os apresentados pela CONITEC. Para descrever cenários mais próximos da realidade, ajustes de dose segundo área de superfície corporal dos pacientes e análise adicional de população tratada versus potencial epidemiológico. Além de benefícios clínicos, a incorporação de miglustate no SUS também gera economia dos gastos públicos em saúde, uma vez evitará os atuais gastos</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>estaduais com a medicação com um preço muito acima do proposto nos cenários econômicos descritos (PMVG R\$ 196,90 vs. preço SIASG R\$ 76,52, por cápsula). Se tomarmos como base a diferença do preço de aquisição praticado às Secretarias Estaduais de Saúde (PMVG) para atendimento aos pacientes que têm sido tratados atualmente e o preço SIASG, encontramos neste fator, por si só, uma economia importante para o sistema de saúde brasileiro. Adicionalmente, a incorporação federal permite a aquisição de miglustate de maneira conjunta para todas as condições clínicas com indicação aprovada para tratamento com esta molécula. Com base nas informações acerca do perfil de segurança e eficácia, principalmente demonstrado pelo estudo de mundo real Survival (sobre o impacto de miglustate na sobrevida dos pacientes com NPC), a Janssen discorda totalmente da recomendação preliminar de não incorporação de miglustate no SUS. Diante dos dados adicionais sobre eficácia e novas análises de impacto orçamentário apresentados em contribuição a esta consulta pública, a Janssen sugere a incorporação de miglustate no SUS para manifestações neurológicas da doença de Niemann-Pick tipo C.</p>	
		<p>2ª - Sim, Os estudos em NPC não são extensos em número de participantes, nem em tempo, devido às próprias características da doença, que é progressiva, fatal, e sobretudo rara. Apesar das limitações, em todos os estudos há concordância de que a estabilização da doença é o principal objetivo para os pacientes de NPC com manifestações neurológicas (2, 42). A doença de NPC também apresenta diagnóstico tardio na maioria dos casos, já que pode se apresentar com uma ampla gama de manifestações clínicas. Por este motivo, existem poucos estudos publicados descrevendo o melhor tratamento, seja este sintomático ou específico; a maioria deles com n pequeno de pacientes e ainda com desfechos variados, que não permitem avaliar um mesmo desfecho relevante do tratamento empregado. A dificuldade na definição do desfecho ideal a ser avaliado nos estudos clínicos está na falta de uma escala padronizada para monitoramento da progressão das manifestações clínicas na NPC (2). Mesmo com essas limitações, nos estudos de vida real com miglustate, observa-se que seu uso estabiliza a doença e melhora alguns dos parâmetros importantes que, se não controlados, podem levar a consequências graves como broncoaspiração e morte. Em um dos principais registros de NPC, publicado em 2015 por Patterson e col (33), demonstrou-se que o uso de miglustate estabiliza a melhora da doença em uma média de 2 anos. Em 2018, o mesmo grupo de avaliadores apresentou um pôster no simpósio da SSIEM com o estudo Survival, que avalia o maior registro de pacientes com NPC, incluindo dados do Brasil, mostrando uma tendência clara de redução da mortalidade com o tratamento com miglustate. A diferença na mediana de sobrevida dos pacientes tratados com miglustate foi aproximadamente 10 anos superior versus pacientes sem tratamento e a maior sobrevida foi consistente em pacientes de todas as idades no início das manifestações neurológicas (42), o que indica o impacto positivo que o tratamento da NPC com miglustate pode trazer aos pacientes. Muito embora não exista atualmente tratamento curativo para a doença de NPC, miglustate é a única opção aprovada e disponível para impedir a progressão da doença e melhorar a sobrevida dos pacientes (42). Miglustate acompanhado de tratamento de suporte ameniza os sintomas da doença, melhorando assim a qualidade de vida dos pacientes (3,9). Para consulta das referências bibliográficas e texto completo, por gentileza, consulta relatório anexo.</p>	<p>Clique aqui</p>
		<p>3ª - Sim, Com relação às análises farmacoeconômicas, a razão de custo-efetividade incremental calculada</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>para o miglustate é de R\$ 459.120,00. É importante ressaltar que diversos autores consideram este um tipo de análise inadequada para o tratamento de doenças raras, como é o caso de NPC. Há desafios multifatoriais nas avaliações econômicas para doenças raras e as metodologias hoje existentes, em geral, não suportam a tomada de decisão para essas patologias. Assim, não existindo consenso para as análises de incorporação de doenças raras, o modelo de custo-efetividade, embora seja utilizado, é limitado (38–40). Para consulta das referências bibliográficas e texto completo, por gentileza, consulta relatório anexo.</p> <p>4ª - Sim, Para avaliar o impacto da incorporação de miglustate no SUS, realizaram-se novas análises de impacto orçamentário onde os gastos federais são menores do que os apresentados pela CONITEC. Para descrever cenários mais próximos da realidade, ajustes de dose segundo área de superfície corporal dos pacientes e análise adicional de população tratada versus potencial epidemiológico. Além de benefícios clínicos, a incorporação de miglustate no SUS também gera economia dos gastos públicos em saúde, uma vez evitará os atuais gastos estaduais com a medicação com um preço muito acima do proposto nos cenários econômicos descritos (PMVG R\$ 196,90 vs. preço SIASG R\$ 76,52, por cápsula). Se tomarmos como base a diferença do preço de aquisição praticado às Secretarias Estaduais de Saúde (PMVG) para atendimento aos pacientes que têm sido tratados atualmente e o preço SIASG, encontramos neste fator, por si só, uma economia importante para o sistema de saúde brasileiro. Adicionalmente, a incorporação federal permite a aquisição de miglustate de maneira conjunta para todas as condições clínicas com indicação aprovada para tratamento com esta molécula. Para as análises de impacto orçamentário em detalhe, por gentileza, consultar o excel anexo.</p> <p>5ª - Sim, O relatório de recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC) referente à proposta de incorporação de miglustate para manifestações neurológicas da doença de Niemann-Pick tipo C traz recomendação preliminar pela não incorporação da medicação no SUS. Entendendo os benefícios clínicos, econômicos e organizacionais proporcionados pela incorporação de miglustate no sistema público de saúde, a Janssen vem por meio da presente contribuição anexa (favor consultar relatório), apresentar considerações e contribuição técnica acerca do relatório de recomendação preliminar CONITEC, bem como apresentar novas análises de impacto orçamentário referentes à disponibilização de miglustate no SUS.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
13/05/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Embora as evidências sejam limitadas, trata-se de uma doença progressiva e incurável, que leva o indivíduo à incapacidade e à morte. Não há outro tratamento que mude a história natural desta condição. Portanto, é desejável que tenhamos à disposição uma medicação que pode retardar a progressão 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
13/05/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	