

## Contribuições da Consulta Pública - Formulário Experiência ou Opinião - Alfa- $\alpha$ -glucosidase para doença de Pompe - CONITEC

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
16/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Porque concordo parcialmente com a preliminar: Eu tenho Pompe e se manifestou na fase chamada tardia da doença, aproximadamente aos 41 anos e com essa preliminar só as crianças teriam direito ao diagnóstico, e nós da fase tardia não teríamos esse direito? o diagnóstico para nós é vital para podermos fazer uso da medicação.</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Myozyme (alfa-<math>\alpha</math>-glucosidase), Positivo: Com a medicação senti melhoras principalmente na parte respiratoria, melhora nas dores e uma estabilidade na fraqueza muscular., Negativo: Não tive efeito negativo.</p> <p>3ª - Não</p>
14/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A medicação deve ser liberada p tds as idades, inclusive adultos</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
15/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Este medicamento deve ser destinado a todo e qualquer pessoa que necessitar e não restringir idade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
15/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Se o sus paga medicações e cirurgia para a mudança de sexo, porque não custear o único medicamento existente para dç pompe?</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
15/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
15/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
15/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Não só para pacientes com idade até 21 anos e sim para todos que necessitam.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
15/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Pelo q entendi vai ser liberado apenas para crianças, sou mãe de uma criança com Pompe, mais acompanho os adultos e o tratamento pra eles tbm eh muito importante, isso ajuda ter uma melhor qualidade de vida com o uso das enzimas!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Myozyme- sem essa medicação Ana não sobreviveria Fazemos infusão semanalmente no Hospital Pequeno Príncipe , Positivo: Myozyme eh a medicação q matem Ana Laura viva, sem ele ela não aguentaria! , Negativo: Não tivemos resultados negativos quanto ao uso!</p>
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Acho que todos os pacientes com Pompe devem ser contemplados mesmo porque a doença de Pompe de inicio tardio é para todos os pacientes acima de 1 ano .</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme, Positivo: melhora da qualidade de vida desses apcientes , Negativo: nenhum</p> <p>3ª - Não</p>
16/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Discordo totalmente na questão da inclusão ser somente para recém nascido, situação essa em virtude do impacto orçamentário aos cofres públicos, medicamento esse que melhora sim a condição de vida de todos pacientes, independente de idade.</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Myozyme, acompanhando vários pacientes ( adultos ) que já fazem uso dessa enzima. Infelizmente aguardo ansioso desde dezembro liberar o meu medicamento numa ação judicial. me coloco a disposição para conhecerem minha situação como paciente adulto , e verem de perto e ouvirem os problemas que essa doença nos coloca diariamente., Positivo: Melhora no dia dia do paciente, melhora na fraqueza muscular, para locomoção e tarefas simples diárias que são afetadas , melhora na situação respiratória, que também sofre comprometimento e a cardíaca. Afinal está doença compromete tudo que se denomina músculo., Negativo: Único efeito negativo, a falta de pontualidade na reposição da enzima que deveria ser a cada quinze dias, em virtude da burocracia no processo da judicializacao, liminares em cima de liminares por parte do governo para não fornecer medicamento,</p> <p>3ª - Não</p>
14/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Concordo com a recomendação preliminar, não somente para as crianças, mas também para pacientes que desenvolveram a doença do pompa na forma tardia.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: MYOZIME (Alfaglicosidades Acida) , Positivo: NA PARTE MOTORA Pode andar uma distância maior e praticar várias atividades no dia a dia, viver melhor, já que tem fadiga muscular.NA PARTE RESPIRATÓRIA A melhora é imediata, quando está na sala infusão, consegue respirar melhor e sem esforço.NA PARTE MENTAL Tem mais concentração e uma sensação de bem-estar. , Negativo: Não a relato de efeito negativo.</p> <p>3ª - Não</p>
17/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Myozyme, Positivo: Percebo, uma mudança significativa nós movimentos, respiração de minha filha. Com o uso constante e interupito, como deveria ser, as dores, fadiga, são bem menores, Negativo: O efeito negativo, é a falta da medicação, pois assim corta o efeito da melhora que deveria ser bem mais produtivo, se receberemos todos os meses a medicação</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo parcialmente, pois a recomendação poderia se estender para a fase adulta da doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
17/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo em partes, pois recomendação deve se estender para a fase adulta da doença e não somente a infantil.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
17/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A medicação deve ser oferecida para todos os pacientes, pois as sequelas são irreversíveis . Se não tratadas devidamente podendo levar o paciente a óbito. Podendo se manifestar tanto na infância(mais grave) como na fase adulta.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: sim, Positivo: uma melhora na qualidade de vida, como também não permitiu o avanço da doença., Negativo: não conheço.</p> <p>3ª - Não</p>
17/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
18/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, O uso do medicamento em bebês menores de 1 ano fez grande diferença na qualidade de vida e na sobrevida do paciente. Precisamos que seja fornecido o medicamento o mais rapido possivel aos pacientes. Enquanto os pacientes que receberam tardiamente tiveram o uso da traqueo ou bibap com menos idades, os pacientes que receberam ainda bebês desenvolveram melhor qualidade cardíaca e respiratória, evitando o uso da ventilação mecanica.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Para pacientes raros esse medicamento faz toda diferença pois é o único meio de tratamento, estabilidade e qualidade de vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Myozyme, Positivo: Melhora no quadro geral. A falta do medicamento causa enfraquecimento rápido ., Negativo: Nenhum</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
16/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Pelo q entendi vai ser liberado apenas para crianças, sou mãe de uma criança com Pompe, mais acompanho os adultos e o tratamento pra eles tbm eh muito importante, isso ajuda ter uma melhor qualidade de vida com o uso das enzimas!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Myozyme- sem essa medicação Ana não sobreviveria Fazemos infusão semanalmente no Hospital Pequeno Príncipe , Positivo: Myozyme eh a medicação q matem Ana Laura viva, sem ele ela não aguentaria! , Negativo: Não tivemos resultados negativos quanto ao uso!</p>
13/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar, A enzima deve ser liberada para todos portadores de doença e não ao grupo seletto. Pois existe o pompe tardio q se torna tão grave quanto o infantil</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Com a própria enzima , Positivo: Melhora na qualidade de vida de cada um , Negativo: Reações durante administração da medicação</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Que a medicação seja disponibilizada para todos,já que a maioria tem a doença na fase adulta.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, A medicação deve ser fornecida a todos os portadores da doença, sem restrição de idade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, concordo totalmente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
14/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
14/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, O SUS deve disponibilizar o medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar, A INCORPORAÇÃO DEVE SER PARA A FASE INFANTIL E ADULTA, VISTO OS RESULTADOS POSITIVOS QUE TEMOS COM O USO DO MEDICAMENTO EM PACIENTES ADULTOS.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Alfa-<i>alglicosidade</i> para Doença de Pompe, Positivo: Melhora na forma muscular, nas atividades diárias, maior autonomia, a parte respiratória apresenta melhora visível., Negativo: Não houve efeito negativo</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar, O medicamento é eficaz para a fase infantil e adulta</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Alfa <i>alglicosidase</i>, Positivo: Melhora fisua e respiratoria significante, Negativo: Nao se aplica</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar, O medicamento é eficaz para a fase infantil e adulta</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Alfa <i>alglicosidase</i>, Positivo: Melhora fisua e respiratoria significante, Negativo: Nao se aplica</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Evitará que pacientes não tenham acesso ao medicamento, evitando mortes desnecessárias 2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme , Positivo: Grande melhora na qualidade de vida, independência e sobrevida, Negativo: Nenhum 3ª - Não
14/06/2019	Paciente	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar, Parcialmente pois a indicação do tratamento não deve restringir-se somente aos menores de 1 ano. Bom informar a extensa bibliografia, nacional e internacional, e conduta médica que iniciam o tratamento com o diagnóstico e a melhora dos pacientes acompanhados. 2ª - Não 3ª - Não
14/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Incluir pessoas juvenis e adultos no tratamento 2ª - Não 3ª - Não
19/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Considerando que apenas crianças foram contempladas com a recomendação da medicação para pacientes de POMPE; a DISCORDÂNCIA aqui é para que a RECOMENDAÇÃO seja para incorporar o medicamento para todos os pacientes, inclusive os adultos ou os pacientes com doença de Pompe tardia, visto que a eficácia do medicamento ocorre tanto em criança quanto para os adultos, razão pela qual mais do que justo oferecer o tratamento igualmente, sob pena de deixar os pacientes adultos irem a óbito precocemente. 2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: MYOZYME, Positivo: Fortalecimento da musculatura nos membro superiores e inferiores, diminuição das dores musculares em todo corpo e melhora significativa da respiração., Negativo: NADA A DIZER. 3ª - Não
13/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
21/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Acredito que a medicação deva ser liberada para todos que precisam. 2ª - Não 3ª - Não
21/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo para pacientes ainda não gravemente acometidos 2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Alfa- <i>glucosidase</i> , Positivo: Lentificação da progressão da doença e melhora nos METs, Negativo: Não houve 3ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
21/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar, a conitec tem sido um decepção pra mim quando depois de tanto estudo nao assume uma posição de imparcialidade em relação as recomendações. em avaliação a tecnologia usou apenas o exemplo do canada. por que nao utilizou outros ? ja que muitos países utilizam a medicação. já esta na hora da conitec e anvisa se alinharem por que se a medicação não funcionasse para adultos ja deveria ser barrada na anvisa. a liberação para fase infantil nos cuidados de saude que tem a população do sus resultará em numero maior de obitos e então tera um custo menor ja que o paciente morre, enquanto o adulto que nao tem retardo mental perdera suas funções motoras, se tornara incapaz para o trabalho e usara o medicamento por um tempo maior. isso é visto pela quantidade de enzima que tem no corpo pois as crianças tem quantidade menor, quadro precoce, grave e com mais reação a infusão. sobre determinar o numero de pacientes do dp no brasil, o ministério da saúde forneceu a medicação por judicialização e não tem esses numeros? nunca se preocupou em avaliar o que acontece com os pacientes que fornece a medicação? pois a genzyme mantem um survey aprovado pela conep e determina a evolução dos pacientes tratados ou nao.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: myozyme, Positivo: remissao dos sintomas: cefaleia, adinamia, força muscular. paciente inclusive engravidou na vigencia da medicação sem problemas para o binomio mãe-bebe, Negativo: dificuldade em encontrar um equipamento de saude que aceite realizar as infusões</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, O impacto desta doença caso se tratamento não seja acessível a todos, é imensurável</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Com alfa glicosidase, Positivo: Melhora importante do comprometimento cardíaco , Negativo: Não observei</p> <p>3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Alfa glicosidase, Positivo: Melhora importante do comprometimento cardíaco , Negativo: Não houve</p>
21/06/2019	Grupos/associação/organi zação de pacientes	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Pacientes acima de um ano também ter tratamento e não só DP, não sendo justo só para DP precoce. O tratamento tem um e pacto muito grande na vida do paciente lhe dando uma qualidade de vida.A medicação deve ser disponibilizada para todas as idades.Em SC temos pacientes com idades diferenciadas, pelo qual tem o direito ao tratamento por igual.Nenhuma vida pode ser questionado por idade sendo que todos têm os mesmos direitos no tratamento pois a medição tem eficácia em todas.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: A experiência e com alfa - alglicosidase ( Myozyme ) a medicação se mostrou segura e eficaz para todas as idades no tratamento, não houve reação adversa e não houve produções anticorpos neutralizantes., Positivo: Os adultos tem mobilidade e a fundão respiratória estáveis, a qualidade de vida deles tem uma melhora significativa., Negativo: Não há efeitos negativos nos pacientes que utilizam seja adultos ou crianças .</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A medicação deve ser para todas as idades e não para crianças.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: A alfa- glicosidase ( Myozyme ) tem eficácia para todas as idades não só para crianças., Positivo: Adultos que estão em tratamento tiveram uma melhora significativa na locomoção e na até na área respiratória, lhe dando uma qualidade de vida melhor, portanto não só criança tem direito a esse medicamento mas os adultos também., Negativo: Não a contra indicação em nenhuma faixa etária de idade.</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
21/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A concordância é parcial porque as crianças deve receber sim mas os pacientes adultos também tem o direito de ter esse tratamento, já que é o único tratamento disponível para essa doença é justo também. As mães e pais precisam ver seu filhos crescerem. Tenho um parente próximo que já fez uso do MYOZYME e teve uma melhora muito boa. Fico triste de ver que ela não pode ter esse tratamento definitivo, dói o coração saber que no nosso país é decidido quem morre cedo.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: MYOZYME- tenho uma parente próxima que fez uso e pude ver a melhora que ela teve, por isso acredito que vale a pena o tratamento. Minha experiencia foi como observadora da melhoria que ela teve. , Positivo: Não fui eu quem utilizei mas observei o quanto essa paciente melhorou. Ficou com as pernas e os braços mais fortalecidos e respirando melhor., Negativo: nada a acrescentar</p> <p>3ª - Não</p>
19/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Fui mãe de duas pacientes portadoras de Glicogenose tipo 1A e sei o quanto é importante e necessário a manutenção da vida quando se apoia pesquisas e se tem acesso a medicamentos que podem salvar a vida de seu filho(a).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo parcialmente porque todos que tem pompe precisam da medicação independente de ser bebês ou adultos. Só queremos ter o direito de viver.</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Miozyme. Alfa glicosidade ácida., Positivo: Houve melhora do quadro. Parte motora e respiratória., Negativo: Não houveram efeitos negativos.</p> <p>3ª - Sim, como paciente, Qual: Miozyme . Alfa glicosidade ácida, Positivo: Melhoria na parte motora e respiratória., Negativo: Não houveram efeitos negativos.</p>
21/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, todos tem direito a receber a medicação independente de bbs ou adultos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, todos tem direito a receber a medicação independente de bbs ou adultos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
21/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos tem direito a receber a medicação independente de bebês ou adultos. 2ª - Não 3ª - Não
21/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos os pacientes merecem o tratamento independente da idade. A doença de Pompe é uma doença genética e progressiva. TODOS MERECEM TRATAMENTO. Será desumano uma incorporação que favoreça apenas os bebês. 2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme, Positivo: A Paciente melhorou MUITO a fraqueza muscular que tinha. A Paciente voltou a ter firmeza no corpo e desta forma se inseriu novamente na sociedade. além da mesma ter melhorado a sua função pulmonar que o deu a ela muito mais qualidade de vida., Negativo: Desconheço qualquer efeito negativo do Myozyme 3ª - Não
21/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos tem o direito de receber a medicação sem restrições à idade. Crianças, jovens, adultos e idosos. 2ª - Não 3ª - Não
21/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Deveria ser disponibilizado também a adultos. 2ª - Não 3ª - Não
05/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Acredito que a reposição enzimática também é segura e eficaz em adultos com POMPE, tendo isso sido evidenciado em varios estudos. 2ª - Não 3ª - Não
21/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, PEÇO QUE O TRATAMENTO SEJA FEITO TAMBÉM PARA PACIENTES ADULTOS, TODOS TEMOS O DIREITO DE VIVER E TER UM TRATAMENTO DIGNO. AS PESSOAS PRECISAM VIVER PARA CUMPRIR SEUS PROPÓSITOS DE VIDA 2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Tenho uma cunhada que usa esse remédio MYosyme e ela fica muito bem quando usa, quando está sem o remédio ela não anda direito e respira bem., Positivo: Eu nunca utilizei, mas essa pessoa da família melhora muito quando usa, hoje ela esta sem o remédio porque o estado do rio não entregou mais e ela precisa muito para viver bem., Negativo: não sei. 3ª - Não
20/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A DP tardia que inclui pacientes maiores de 1 ano de vida deve também ter o direito de receber o tratamento, não sendo justo a recomendação de medicamento específico só para a DP precoce. O tratamento tem um impacto muito significativo na qualidade de vida do paciente mantendo ou melhorando sua mobilidade e função respiratória e também na sua sobrevivência.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: A experiência é com a alfa-glicosidase (Myozyme), temos 5 pacientes com DP tardia e 2 crianças com DP precoce. A medicação se mostrou segura e eficaz, não tivemos reações adversas e não houve produção de anticorpos neutralizantes,, Positivo: Os adultos sobreviveram, tem a mobilidade e a função respiratória estáveis, o tratamento tem impacto significativo na sobrevivência e na qualidade de vida de pacientes e familiares. Os pacientes sofreram algumas pioras no período que ficaram sem medicamento, falta de compra pelo Ministério da Saúde ou Secretaria de Saúde do Estado no ano de 2018., Negativo: A medicação é endovenosa e a cada 15 dias.</p> <p>3ª - Não</p>
19/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo parcialmente pois a recomendação deveria se estender também para a fase adulta da doença</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
19/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Parcialmente já que a oportunidade só está sendo dada para crianças menores de 1 ano de idade, o que também é válido, mas, que os adultos também tenham a oportunidade de participar do tratamento já que este tem grande eficácia em pacientes adultos, isso já comprovado por órgãos nacionais e internacionais de todo o mundo.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Miozyne (alfa glicose ácida), Positivo: Melhora geral do quadro, no caso da minha irmã, antes mesmo do final da infusão, principalmente da parte respiratória., Negativo: Nenhum ponto negativo.</p> <p>3ª - Não</p>
19/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Acho que todos os portadores da doença de pompe, sem exceções de idade, gênero, condição financeira etc, devem receber os melhores tratamentos e cuidados possíveis para a melhora total do paciente</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Medicamento Myozyme (alfa glicose ácida), Positivo: Fortalecimento dos músculos inferiores e superiores, aumento de energia e vitalidade, faz com que eu consigo realizar minhas atividades diárias como doméstica e melhora na parte respiratória, Negativo: Não há efeitos negativos</p> <p>3ª - Não</p>
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: myozyme - rhAGA, Positivo: uma paciente com doença de pompe tardia (adulto), evoluindo com melhora da fadiga, força muscular e da função respiratória, Negativo: não houve</p> <p>3ª - Não</p>
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, A doença de pompe é uma doença complexa cujo o único tratamento disponível é o citado.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme, Positivo: Diminuição da miocardiopatia, Negativo: Não vejo</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Pacientes adultos também podem se beneficiar com a reposição enzimática. É importante incorporar o alfa-glicosidade para os adultos também.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Miozyme, Positivo: Melhora da hipotonia, da disfagia. Melhora da qualidade de vida como um todo!, Negativo: Não vi nenhum</p> <p>3ª - Não</p>
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A MEDICAÇÃO DEVE SER INCORPORADA TAMBÉM PARA PACIENTES ADULTOS.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Na verdade, realizei acompanhamento nutricional de pacientes que faziam uso deste medicamento., Positivo: Observei melhora dos sintomas., Negativo: Não observei efeitos negativos, durante o período que tive contato com os mesmos.</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Considero que a medicação deveria ser liberada para todos os pacientes com diagnóstico de doença de Pompe e não só para recém-nascidos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Apenas os procedimentos de acompanhamento clínico, com as terapias de reabilitação (fisioterapia), Positivo: A fisioterapia tem efeito limitado. Sem o uso da medicação para controlar a evolução clínica o paciente fica debilitado, com limitação na movimentação, caso não receba o tratamento de reposição enzimática., Negativo: Efeitos limitados como expliquei anteriormente.</p>
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Não há dúvidas quanto à necessidade de incorporação da terapia de reposição enzimática endovenosa com alfa-<math>\alpha</math>-glicosidase para tratamento da doença de Pompe. Deveria ser incorporado tanto para as formas da infância (IOPD) quanto tardias (LOPD).</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme (alfa-<math>\alpha</math>-glicosidase, endovenosa). , Positivo: - Evidente melhora clínica ventilatória de pacientes oligossintomáticos ou já dependentes de ventilação mecânica não-invasiva - vários alcançaram desmame completo da ventilação e melhora de comorbidades clínicas como Síndrome da apneia obstrutiva do sono. - Melhora motora evidente - grande ganho funcional e motor em formas tardias e aquisições de ganhos do desenvolvimento motor e melhora da hipotonia em formas da infância, com início precoce. - Melhora do desempenho miocárdico tanto em formas precoces quanto tardias, Negativo: Nunca presenciei qualquer tipo de efeito negativo ou evento adverso significativos relacionados ao uso da alfa-<math>\alpha</math>-glicosidase.</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
20/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A maioria dos pacientes com doença de Pompe no Brasil são adultos e tem melhora importante com o uso do medicamento. Portanto, é necessário que o medicamento seja para TODOS os doentes e não apenas para menores de 1 ano. Necessita essa alteração na proposta. Obg</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
20/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyne, Positivo: Melhora da força, melhora do padrão respiratório, diminuição do número de internações, Negativo: Via de administração IV a cada 2 semanas</p> <p>3ª - Não</p>
20/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
20/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: alfa-alglicosidase, Positivo: melhora da fraqueza muscular em musculatura proximal e axial, Negativo: não observado</p> <p>3ª - Não</p>
20/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
20/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
20/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
07/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Realizo o tratamento judicialmente desde os 17 anos. As melhorias e preservação da minha saúde são evidentes e o tratamento de suma importância para manutenção da minha qualidade de vida. Incorporá-la ao SUS é muito importante para todos os pacientes de pompe a fim de evitar a judicialização da obtenção do medicamento.</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Alfa -aglicosidase ácida. , Positivo: Redução dos pontos inflamatórios causados anteriormente pela doença nos músculos, manutenção da capacidade respiratória, aumento do tônus muscular., Negativo: Não houve efeitos negativos.</p> <p>3ª - Não</p>
10/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
10/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, A medicação é necessária para que as pessoas portadoras continuem sobrevivendo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo que todos os pacientes devem ter direito a medicação independente da idade</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: myozyne, Positivo: Minha filha Ariadne Bueno Santos faz reposição com a enzima a quase 10 anos, hoje ela tem 23 anos, anda, estuda, a doença praticamente paralisou com o uso do medicamento, Negativo: Sem efeitos negativos. jamais teve uma reação, praticamente paralisou a doença, só faz bem</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo que todos independente da idade recebam a medição.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Só foi apro</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Infusões 14/14 dias com alfa glicosidade acida, Positivo: Quando consigo o medicamento, me sinto bem melhor, tenho certeza de que com o uso do medicamento minha doença ficaria estabilizada., Negativo: Fico períodos grandes sem medicamento, prejudicando meu tratamento. Preciso judicialisar para receber, desta forma em um período de 1 ano usando em torno de 6/7 meses de tratamento.</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Sou favorável ao fornecimento do medicamento a todos os portadores da doença independente da idade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
11/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Foi concedido apenas para pacientes com até 1 ano de idade. Completamente errado, todos os pacientes tem que ter o direito ao tratamento. Os maiores podem morrer sem o tratamento? Porque?</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Doenças especiais devem ser tratadas como especiais.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos têm o direito ao medicamento, à terapia de reposição enzimática, em qualquer idade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Porque todos que tem a doença devem ter direito ao tratamento, independente de ser adulto ou criança. Todos têm direito de continuar lutando pela vida e sem tratamento como ficaria?</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A medicação tem que ser disponibilizada para todas as idades</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Trata-se de um tratamento que muda positivamente o prognóstico dos indivíduos acometidos pela Doença de Pompe</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme, Positivo: Melhora da força muscular e da função cardíaca, Negativo: Não registramos efeitos adversos</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Não pode ter discriminação é merecido que todos tem devem ter direito a medicação independente da idade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
10/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
05/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Acredito que a medicação deva ser fornecida para pessoas com todas as formas da doença</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
05/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
06/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
06/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Trato de 3 famílias com idade entre 48 e 70 anos com melhora clínica após iniciar uso de terapia de reposição enzimática e piora na dificuldade de fornecimento.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme 20mgKg a cada 15 dias de uso endovenoso, Positivo: Melhora para levantar, deambular, deglutir e da função respiratória, havendo relato de um paciente com ter conseguido segurar o neto no colo após meses de tratamento. Dois pacientes tiveram aumento da fração de ejeção de ventrículo esquerdo em mais de 13%., Negativo: Não se aplica</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Medicamento que melhora muito a qualidade de vida e evita progressão de uma doença debilitante, que acomete adulto jovem.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: fizemos o diagnostico de paciente jovem que esta em piora importante apesar de fisioterapia e cada vez com mais dificuldades em deambular e realizar suas atividades; achavamos que era distrofia e nao tinha nada a se fazer mas agora com dx de doença de pompe ele tem esperança de melhora, Positivo: melhora da independencia e reintrodução no mercado de trabalho, Negativo: Custo para pais</p> <p>3ª - Não</p>
07/06/2019	Outra	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Importante para os pacientes que a forma tardia da patologia também seja incluída no PCDT além da forma precoce.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Infusão, Positivo: Os pacientes estabilizam a progressão da doença , Negativo: Nenhum</p>
07/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Unico tratamento para os portadores terem sua vida digna .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
07/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, A medicação mostrou-se eficaz na Doença em questão</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Alfa glicosidas, Positivo: Retardo na evolução da doençaGanhos motores, Negativo: Reação infusional</p> <p>3ª - Não</p>
07/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Realizo o tratamento judicialmente desde os 17 anos. As melhorias e preservação da minha saúde são evidentes e o tratamento de suma importância para manutenção da minha qualidade de vida. Incorporá-la ao SUS é muito importante para todos os pacientes de pompe a fim de evitar a judicialização da obtenção do medicamento.</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Alfa -aglicosidase ácida. , Positivo: Redução dos pontos inflamatórios causados anteriormente pela doença nos músculos, manutenção da capacidade respiratória, aumento do tônus muscular., Negativo: Não houve efeitos negativos.</p> <p>3ª - Não</p>
10/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Pelo o que eu entendi essa preliminar da direito apenas para diagnóstico em crianças com Doença de Pompe? No meu caso começou a se manifestar com 32 anos com isso nos dá fase tardia podemos ficar sem o direito de receber a Enzima?</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Miozyne ( alfa glicose ácida), Positivo: Deu uma estabilizada nas fraquezas dos membros superiores e inferiores principalmente na parte respiratória., Negativo: Não tive nenhum efeito negativo</p> <p>3ª - Não</p>
07/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, É PRECISO FICAR CLARO QUE HÁ UMA REDE DE COLABORAÇÃO PARA DIAGNÓSTICO E QUE OS PROFISSIONAIS DE SAUDE DEVEM SER TREINADOS NO RECONHECIMENTO E NO RITO DIAGNÓSTICO POIS AS MELHORES EVIDENCIAS DEPENDEM DO USO PRECOCE DA MEDICAÇÃO</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
10/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, ESTUDOS EVIDENCIAM MAIOR TAXA DE SOBREVIVÊNCIA PARA PACIENTES SUBMETIDOS AO TRATAMENTO DE REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA NA DOENÇA DE POMPE. 2ª - Não 3ª - Não
10/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
10/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
10/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
10/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
11/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Essencial para os portadores da doença! 2ª - Não 3ª - Não
11/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Concordo pois trará benefícios aos pacientes 2ª - Não 3ª - Não
07/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar, A medicação deve ser incorporada para todos os pacientes com indicação. Adultos se beneficiam muito do seu uso. 2ª - Não 3ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A incorporação da Doença de Pompe deve contemplar os pacientes pediátricos e adultos e não apenas as crianças até 1 ano de idade. A maior parte dos pacientes tem um diagnóstico tardio com muito sofrimento até o diagnóstico e não seria justo que sabendo que existe um tratamento essa oportunidade fosse negada. A qualidade de vida desses pacientes sem tratamento é muito ruim. Não é uma doença frequente e TODOS os pacientes devem ter a possibilidade de serem tratados.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme, Positivo: Os meus pacientes com Doença de Pompe que receberam a terapia de reposição enzimática tiveram uma enorme melhora da qualidade de vida, podendo retornar ao trabalho e se tornarem pessoas produtivas. A doença é uma sentença de morte sem tratamento., Negativo: Não tive experiências negativas com o Myozyme.</p> <p>3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: O tratamento de suporte com corticoides, broncodilatadores, nebulizações não é suficiente para uma qualidade de vida aceitável., Positivo: nenhum efeito real na melhora da fraqueza muscular, Negativo: Maior incidência de infecções, internações sucessivas para tratamento dos quadros de infecção respiratória, com risco de óbito e necessidade de próteses respiratórias</p>
12/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Sou neurologista com atuação na área de doenças neuromusculares e publicações na área de miopatias metabólicas e atualmente acompanho 4 pacientes com doença de POMPE de início tardio, em tratamento com alfa-<i>glucosidase</i> ácida, que estão demonstrando estabilização da doença (parada da progressão motora e respiratória), sendo que em uma paciente há melhora da força muscular e das provas respiratórias, o que confirma as informações presentes nos artigos científicos, a saber: a medicação é eficaz na forma de início do adulto, prevenindo progressão natural da doença e em alguns pacientes apresentando melhora clínica. A doença de Pompe em sua forma de início tardio é grave e leva a óbito por insuficiência ventilatória, caso não tratada. Por isso concordo parcialmente, já que a recomendação preliminar exclui o tratamento nas formas de início tardio.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: alfa-<i>glucosidase</i> ácida, Positivo: houve estabilização da doença em 3 pacientes e em uma paciente houve melhora dos parâmetros motores e respiratório. Sabemos que a doença não tratada apresenta um curso progressivo e inexorável. , Negativo: a medicação é feita a cada 15 dias, de forma intravenosa, o que limita o paciente em suas atividades de rotina, podendo haver retenção hídrica.</p> <p>3ª - Não</p>
12/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme, Positivo: Melhora do quadro respiratório do paciente, com impacto positivo sobre sua qualidade de vida. , Negativo: Alto custo.</p> <p>3ª - Não</p>
12/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
12/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Importante sempre a disponibilização de novas tecnologias pelo SUS para doenças raras.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
12/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
12/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
12/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
12/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar, Não. Eles indicam Discordo pois deve ser aberto a todos os pacientes e em qq idade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
12/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Acredito que beneficiará a população de pacientes portadores da doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, As pessoas portadoras de doenças raras, quando tem uma medicação que possa melhorar o prognóstico e a qualidade de vida, não existe razão de ser contrária à vida humana.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Não beneficiará a todos os pacientes</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme, Positivo: melhora da força muscular, melhora da capacidade respiratoria, Negativo: nenhum paciente tratado teve efeito negativo até o momento</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Meus filhos tem a doença de gaucher mais graças a Deus que tem o medicamento pelo sus .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Ja tive com imuglucerase., Positivo: Depois que meus filhos foram medicados melhorou a qualidade de vida., Negativo: Não tenho o que falar.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Como paciente de pompe acho primordial a proposta de incorporação da alfa-glicosidade lada doença de pompe, porém é necessário não só assistir o pacientes infantis, como também dá suporte aos pcientes que descobrem a doença na fase tardia.</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Alfa glicosidade, Positivo: A medicação impede o avanço da doença, dando a possibilidade do paciente viver clm uma certa qualidade . , Negativo: Efeito negativo: atualmente dependemos do poder judiciário para obter acesso ao medicamento e em algumas ocasiões os pacientes fica um longo tempo sem receber o tratamento.</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo plenamente com a incorporação do medicamento para crianças, mas acredito que os adultos também deveriam entrar, já que também têm o direito à saúde e se beneficiariam do medicamento.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme, Positivo: Acompanhei uma criança que está recebendo o medicamento e teve uma melhora espantosa com o uso da medicação. , Negativo: Não notei efeitos negativos do medicamento.</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Qualquer medicamento que ajude no tratamento é bem vindo para saúde e bem estar de qualquer paciente</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
13/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
12/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
11/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, A medicação é necessária para que as pessoas portadoras continuem sobrevivendo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Myozime, Positivo: Melhora de vida, Negativo: Sem medicamento pode levar a morte</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Perguntas&amp;#10084;1. A indicação para início da Terapia de Reposição Enzimática ocorre em qualquer idade, tanto na forma precoce e na tardia.2. Na forma precoce, mais grave e com sintomas significativos logo nas primeiras semanas de vida, devem ter início imediato.3. As formas tardias, se identificadas com teste do pezinho nas primeiras semanas de vida, e início imediato do tratamento seria o ideal para evitar degeneração muscular.4 A forma tardia ou adulta deve ter seu tempo encurtado para diagnóstico. Quanto mais cedo início do tratamento, menor comprometimento muscular e respiratório.5. O início do tratamento tão logo seja efetuado, em qualquer faixa etária repercute diretamente na qualidade desses pacientes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo parcialmente da recomendação preliminar para favorecer os pacientes adultos, ou seja pacientes que adquiriram a doença de forma tardia. Todos, sem exceção devem receber a medicação, todos terão que ser favorecidos, porq todos precisam de tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Seria necessário incorporar para crianças também</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Porque adulto tem o direito de receber a medicação, visto que é uma prerrogativa constitucional do alicerce do direito legal aos cidadãos pelo direito a vida e suas prerrogativas legais para manter sua saúde plena.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
12/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
11/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
12/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
11/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
11/06/2019	Paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Concordo com a recomendação preliminar não somente para criança, mas também para pacientes que apresentam a forma tardia da doença de pompe. Como paciente, tive uma resposta muito positiva. Assim como tive uma melhora considerável da parte motora e respiratória, qualidade de vida, outros pacientes tem o direito de viver dignamente. Esse tratamento significa uma nova chance pois nos tira de uma condenação a uma cadeira de rodas ou de um respirador artificial. É uma grande conquista, uma grande vitória. Eu vi minha mãe e irmão falecerem PRECOCEMENTE por NÃO TER ACESSO a esse medicamento. Espero essa vitória para todos nós. 2ª - Sim, como paciente, Qual: MYOZYME (alfalglucosidase ácida), Positivo: NA PARTE MOTORA- eu tive uma resposta boa, posso andar uma distância maior e realiza mais atividades do dia a dia, viver melhor, já que tenho muita fraqueza muscular e uma fadiga muscular intensa, com essa medicação pude me sentir com menos dor, fadiga e menos fraqueza, até pra falar eu consigo falar mais sem sentir tanta falta de ar.NA PARTE RESPIRATÓRIA - essa é imediata, quando estou na sala de infusão já consigo respirar melhor, com mais leveza e sem muito esforço. faço uso de BIPAP e quando estou sem usar a medicação, quando o ESTADO não entrega, tenho que ficar mais horas usando o BIPAP para conseguir respirar um pouco melhor.NA PARTE MENTAL- sinto que tenho maior concentração e uma sensação de bem estar na mente e melhoria do humor. obs.; UMA OBSERVAÇÃO IMPORTANTE É QUE APÓS UNS 10 DIAS APÓS O USO DO MYOZYME SINTO QUE O EFEITO DIMINUI, O CANSAÇO AUMENTA UM POUCO., Negativo: Não tive nenhuma intercorrência, nem alergia. 3ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
12/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Concordo com a recomendação preliminar, não somente para criança, mas também para os paciente que desenvolver a doença de pompe na forma tardia. Como irmão de uma paciente, pois, apesar de ser portador dessa patologia, ainda não tiver acesso ao medicamento. pude observar que a minha irmão, Adair Leite de Souza Mamede, teve muito positiva. Assim como teve, conforme ele relata, uma melhora bastante considerável da parte motora e respiratória, qualidade de vida. E sendo essa a única medicação disponível para DOENÇA DE POMPE, conseqüentemente, é a única chance de nós pacientes termos o direito de VIVER. Esse tratamento significa a possibilidade ÚNICA, pois nos tira, de um CONDENAÇÃO a uma cadeira de rodas ou de um respirador artificial, bem como, não sendo tratado a tempo, a uma morte precoce. É uma Grande Conquista, uma grande vitória, mas para isso, é necessário que os pacientes tenha acesso ao medicamento. Ví minha mãe e um irmão falecerem PRECOCEMENTE POR NÃO TER ACESSO a esse medicamento. Portanto, espero confiantemente que, nós pacientes, possamos ter acesso à ALFAGLICOSIDASE, possibilitando, dessa forma, a chance de VIVERMOS.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: MYOZIME (Alfaglicosidades Ácida), Positivo: NA PARTE MOTORA - minha irmã uma resposta muito boa, pode andar uma distância maior e realiza mais atividades no dia-a-dia, viver melhor, já que tem fraqueza e fadiga muscular intensa. Com essa medicação, ela relata que sente menos dores, menos fadiga e menos fraqueza. Até para falar, segundo ela, com o uso do medicamento, sente menos falta de ar.NA PARTE RESPIRATÓRIA - A melhora é imediata, quando está na sala de infusão, segundo minha irmã, já consegue respirar melhor, com mais leveza e sem esforços. Ela faz uso do BIPAP e quando está sem usar a medicação, quando o ESTADO NÃO ENTREGA, ela tem que ficar mais horas usando o AUXÍLIO DO BIPAP para conseguir respirar uma pouco melhor.NA PARTE MENTAL - Ela relata que mais concentração e uma sensação de bem-estar na mente melhora no humor., Negativo: Não há relatos de algo negativa, nenhuma intercorrência.</p> <p>3ª - Não</p>
12/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Acho que agora sim teremos uma qualidade de vida melhor, uma chance a vida</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Myozime, Positivo: Melhoras em tudo que a doença de pompe afeta, Negativo: Nenhum</p> <p>3ª - Não</p>
12/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo parcialmente porque adultos e crianças se beneficiam do tratamento e merecem ter acesso ao medicamento.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Miozyme , Positivo: Em 10 meses de tratamento houve uma grande melhora na recuperação de força muscular, equilíbrio e marcha.Também houve melhora na capacidade respiratória, deixando de usar o BI-PAP a noite.Comprovada melhora no comprometimento cardíaco e qualidade de vida.Psicologicamente proporciona esperança e ânimo em relação a expectativa de vida com menos restrições. , Negativo: O ponto negativo é o difícil acesso ao medicamento e as ocasiões em que existe atraso na entrega do mesmo o que pode acarretar danos severos ao paciente, como é o caso de meu marido, que tem a parte cardíaca e respiratória mais comprometidas. Neste caso um agravamento da doença pode provocar o óbito e não apenas a perda de movimentos, o que também é pessimo.</p> <p>3ª - Não</p>
12/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, As crianças e os adultos têm o mesmo direito a ter acesso ao medicamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
12/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
21/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo parcialmente da recomendação preliminar para favorecer os pacientes que adquiriram a doença de forma tardia, porq todos sem exceção devem receber a medicação porq todos precisam de tratamento! 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Esse medicamento deve ser distribuído para todos os pacientes , independente da idade. Mesmo àqueles que desenvolveram na fase adulta 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Deve ser liberado a todos os pacientes que precisem do tratamento, mesmo acima de 1 ano de idade 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Os pacientes têm direito de receber tratamento adequado e digno. A incorporação vai possibilitar o acesso a esse direito, o que vai garantir uma melhor qualidade de vida. 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Porque acho que teria que abranger os adultos também . 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Sou portadora da doença de pompe e Não recebo medicação a mas de 2 anos. 2ª - Sim, como paciente, Qual: Alfa-alglicosidase, Positivo: Respiração , Negativo: Moleza no corpo,dor de cabeça,e corpo febril . 3ª - Não
24/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, OS PACIENTE COM POMPE DEEM TER UMA VIDA SAUĐAVEL E DIGNA DENTRO DAS POSSIBILIDADES, POIS MERECEM VIVER! 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, O diagnóstico e tratamento devem ser realizados ,de preferência,no primeiro ano de vida más também assim que diagnostica em qualquer idade. 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Deve ser estendido a adultos e àqueles que descobrem a doença em qualquer idade. 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, todos tem direito a receber a medicação independente de bebe ou adultos.TODOS TEM DIREITO, FAVOR REVER 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, É fundamental para os pompes viverem com mais dignidade enquanto é possível. 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
21/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos portadores da doença têm direito à tratamento medicamento, independente se bebês, crianças, adolescentes ou adultos. 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos devem ter direito à medicação 2ª - Não 3ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, permitir o acesso ao tratamento de uma doença rara é algo muito importante pro pacientes que já tem diagnostico e pra os paciente do futuro.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme, Positivo: Melhora considerável na qualidade de vida dos pacientes , Negativo: Não observei</p> <p>3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme, Positivo: Melhora considerável na qualidade de vida desses pacientws inclusive com aprimoramento na forca muscular , Negativo: Não observei</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Deve ser para pacientes de todas as idades.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos tem devem ter direito a medicação independente da idade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Uma questão de direitos humanos, preservação da saúde e acesso a medicamento caro para uma doença rara.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo parcialmente porque o acesso ao medicamento beneficia tanto as crianças como os adultos. Acredito que ambos têm os mesmos direitos e, portanto, AMBOS, merecem ter acesso ao medicamento.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Meu marido está num estudo clínico que avalia o Myozyme e um novo medicamento., Positivo: Até o momento a resposta clínica tem sido bastante satisfatória., Negativo: Até o momento não há efeitos negativos.</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Doença rara, mas eles existem, estão sofrendo e podem morrer. 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo parcialmente porque o acesso ao medicamento beneficia tanto as crianças como os adultos. Acredito que ambos têm os mesmos direitos e, portanto, AMBOS merecem ter acesso ao medicamento. 2ª - Sim, como paciente, Qual: Estou participando de um estudo clínico que avalia o Myozyme e um novo medicamento., Positivo: Até o momento a resposta clínica tem sido satisfatória. , Negativo: Até o momento não há efeitos negativos. 3ª - Não
24/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Atualmente a proposta só inclui as crianças diagnosticada com a síndrome de Pompe e os adultos, aqueles que foram diagnosticado já na fase adulta?Estes não teriam direito ao acesso a medicação através da rede pública?Acho que o direito a saúde e de todos sem excluir crianças, jovens, adultos e idosos. Pelo menos está é o que preconiza as diretrizes do SUS.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Miozyne (alfa glicose ácida), Positivo: É incrivelmente visível o quanto a medicação auxilia no alívio das câimbras provocadas pela fadiga muscular. A musculura de todo o corpo passa a resistir por mais tempo ao esforço. Tive a experiência com o paciente em uso e sem o uso da medicação. Sem o uso da medicação ocorre uma redução brusca da resistência muscular geral inclusive dos músculos respiratórios o que prejudica as trocas gasosas aumentando ainda mais o grau de fadiga muscular e fazendo com que o portador da síndrome fique cada vez mais debilitado., Negativo: Não foi observado nenhum efeito negativo da medicação.</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Tenho familiar com doença rara</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Medicamentos para fibrose cística , Positivo: Ajudam a aumentar a vida da minha filha, Negativo: Quando não vem</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, medicação de extrema importância para salvar vida</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozime, Positivo: melhora da dispnéia e força muscular, Negativo: não observado</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, A enzima de reposição é uma forma adequada de reduzir a progressão da doença. Não só a melhora motora e cardiológica deve ser levada em consideração, mas a chance que o paciente terá de ter a sua doença menos agressiva.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: alfa-alglicosidase (myozyme), Positivo: Para bebês, houve estabilização do quadro motor, inclusive com ganho de funções motoras. Houve melhora da função cardíaca e respiratória. Para pacientes com a forma de início tardio da doença, houve evidente ganho de força muscular, redução da fadiga e melhora da função respiratória, Negativo: não forma identificados efeitos negativos do medicamento</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, É o único medicamento para Pompe e para o meu filho, muito eficaz.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Alfa- alglicosidase, Positivo: Melhora da fraqueza muscular,Melhora do controle motor e coordenação motora,Melhora do aparelho respiratório, pondo fim as pneumonias de repetição., Negativo: Não houve efeitos negativos</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Acredito que o tratamento precoce pode mudar a história natural da doença...</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Alfa-glicosidase, Positivo: Eu vi a minha paciente de 07 anos na época do diagnóstico de Doença de Pompe voltar a andar e a respirar espontaneamente depois de 7 meses hospitalizada, acamada (incapaz de deambular) com ventilação mecânica e seis meses de tratamento de TRE com o medicamento em questão. .. voltou a morar em casa com a família... fechou a traqueostomia e necessidade de suporte ventilatório ... voltou a estudar ...enfim a levar uma vida normal ...fui testemunha da excelente resposta a terapia ..., Negativo: Tive uma outra paciente que após apresentar uma boa evolução e resposta com o medicamento, apresentou um platô e apesar de não piorar, não melhorou mais ..Acredito que a ida quinzenalmente ao centro de infusão traz consequências ruins a qualidade de vida do paciente e da família ...Outro aspecto ruim é a possibilidade de produção de auto-anticorpos contra a proteína/enzima recombinante infundida... daí às vezes é necessário uso de imunossupressão e com isso uma resposta ruim e até risco de outras comorbidades... mas são riscos plenamente aceitos frente ao caráter progressivo da doença...</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, É de extrema necessidade o medicamento para adultos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Pela gravidade da doença, pacientes LOPD também necessitam do medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos devem ter direito medicação, independente da idade.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Myozyme, Positivo: Estagnação da doença em questão, pompe., Negativo: Ao ficar sem medicamento, o paciente sofre perda muscular e respiratória rápida.</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, pela gravidade da doença, pacientes LOPD também necessitam do tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, pela gravidade da doença, pacientes LOPD também necessitam do tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, a concordância é parcial dada a chance de ser apenas para criança, acho legítimo os adultos também terem a chance de ter um tratamento que é único, até o momento. Merecem ter chance de viver, Conheci uma pessoa que fez uso do MYOZYME e melhorou muito, tive a oportunidade de levar no hospital para o uso do medicamento e vi a melhora claramente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, minha opinião é que os adultos também sejam incluídos na lista da sus. Minha madrinha usa esse remédio e no momento ela está sem usar porque o estado do Rio não comprou mais. Quando ela usa o MYOZYME ela tem uma boa melhora, anda melhor e respira melhor. Ela precisa desse tratamento para poder criar a filha dela que só tem 9 anos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, pela gravidade da doença, pacientes LOPD também necessitam do tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, não concordo que esse tratamento seja só pra criança, elas devem ter sim com certeza, mas os adultos também tem o direito de viver e ter um tratamento digno, já que não existe outro tratamento e esse é o único que existe não deve ter esse direito negado. Sou mãe e se fosse eu gostaria de ver meus filhos criados. Tenho um parente que precisa desse tratamento pois teve uma boa melhora mas infelizmente não está tendo mais. Ela teve a mãe e um irmão que faleceram precocemente por não ter tido o tratamento e ela e outro irmão precisa urgentemente e tem filhos pra criar. isso é triste.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Apenas a título de contribuição, a Conitec deve ter em conta que, ao impor limitações sobre faixa etária e graus da doença, diferentemente da própria bula que descreve aplicações diversas, restringe o direito de atenção integral à saúde prevista na CF/88 e nas leis, já que por vezes o medicamento muda totalmente o curso da doença mesmo pra pessoas que possuem a doença mas não está no universo definido pelo parecer. Também deve se ter em conta que ao liberar o medicamento para apenas parte do universo de pacientes diagnosticados, a Conitec continua estimulando a Judicialização da saúde! Os médicos assistentes possuem muito mais condições de avaliar a necessidade ou não do medicamento do que estudos já realizados. Doenças raras não funcionam com análise de estudos randomizado! O universo de pacientes, poucos e raros, não permite medir todos os benefícios de um medicamento!!!!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo com a incorporação da alfa-glicosidase para a doença, porém defendo que os critérios da aprovação deveriam ser expandidos também para a população adulta com a forma tardia da doença, cujos benefícios já foram demonstrados em estudos.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Alfa-glicosidase (Myozyme), Positivo: melhora da qualidade de vida, manutenção ou melhora da força muscular e da capacidade respiratória, Negativo: ndn</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Porque os adultos tbm precisam do tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A indicação para todos os grupos de pacientes e não restrito a uma faixa etária. Quanto mais cedo a pessoa receber o tratamento melhor é</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Importante afirmar que esse medicamento órfão e de alto custo tem registro na Anvisa e que somente conseguimos nossos tratamentos através da judicialização. Fomos surpreendidos com a publicação do Relatório prévio da Conitec no qual indica a Terapia de Reposição Enzimática com Alfa-glicosidase ácida humana recombinante somente no grupo de pacientes menores de um ano de idade. Ao contrário do que ocorre em todo mundo, onde todos são tratados logo que confirmado seus diagnósticos, se investe em Centros de Referências e Pesquisa Médica para diagnóstico mais precoce da doença e seu imediato tratamento. O Brasil conseguiu seus poucos Centros de Referências em Doenças Raras e Hospitais Universitários que formam profissionais e publicam extensa bibliografia que orientam o tratamento dos pacientes com Doença de Pompe e somos afrontados por um Relatório da Conitec pouco convincente e contrário ao que tem sido preconizado no Brasil e no mundo todo. Os pacientes com Doença de Pompe agradecem e não desejam mais judicializar seus tratamentos e pretendem manter sua qualidade de vida. Não a negligência!</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Miozyne , Positivo: Melhora na parte cardíaca e respiratória , Negativo: Não tive</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Acho que tem que estender para adultos e pessoas que descobrem a doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A indicação da reposição enzimática deve ocorrer em qualquer idade. Desde a forma precoce como a tardia. Na forma tardia quanto mais cedo entrar com tratamento menor o comprometimento muscular e respiratório.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A reposição da enzima deveria ser iniciada em qualquer idade. Retardando assim os comprometimentos mais graves.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, O uso da alfa alglicosidase é fundamental no tratamento, para que haja qualidade de vida, manutenção da vida e diminuir limitações funcionais nos pacientes portadores da doença de Pompe. 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, todos tem devem ter direito a medicação independentemente da idade. 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Já tratei alguns pacientes com Alfa glicosidase ácida com boa resposta clínica e benefícios para os pacientes 2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Miozyme, Positivo: resposta clínica favorável, nos pacientes com diagnóstico/tratamento precoces, em especial crianças maiores e adultos, Negativo: nenhum problema relevante 3ª - Não
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Oportunidade de sobrevivencia diante da doença para todas as idades, com qualidade de vida. 2ª - Não 3ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todas as pessoas diagnosticadas com pompe tem direito ao tratamento, independentemente da idade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Sendo o único tratamento disponível para a doença de Pompe, a reposição enzimática deveria ser disponibilizada para todos os pacientes, incluindo pompe de inicio tardio.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: alfa-alglicosidase (myozyme®)., Positivo: Paciente adulto, com diagnóstico de Pompe, em vigência de insuficiência ventilatoria na UTI, dependente de ventilação mecânica, ao iniciar tratamento foi possível o desmame e alta hospitalar. Mantém se funcionalmente ativo, apenas com necessidade de ventilação não invasiva., Negativo: Não houve.</p> <p>3ª - Não</p>
22/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, a doenca de pompe eh uma doenca genetica subdiagnosticada em nosso meio a qual a reposicao enzimatica reabilita o doente em grande parte dos aspectos fisicos, principalmente o diafragma, tira o paciente da ventilacao mecanica o qual ele seria condenado para o resto da vida caso nao tivesse esse tipo de opcao</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: alfaalglicosidase, Positivo: boa resposta terapeutica do paciente com desmame da ventilacao mecanica, melhora da qualidade de vida, Negativo: nada a declarar</p> <p>3ª - Não</p>
22/06/2019	Paciente	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar, Importante afirmar que esse medicamento órfão e de alto custo tem registro na Anvisa e que somente conseguimos nossos tratamentos através da judicialização. Fomos surpreendidos com a publicação do Relatório prévio da Conitec no qual indica a Terapia de Reposição Enzimática com Alfa-glicosidase ácida humana recombinante somente no grupo de pacientes menores de um ano de idade.Ao contrário do que ocorre em todo mundo, onde todos são tratados logo que confirmado seus diagnósticos, se investe em Centros de Referências e Pesquisa Médica para diagnóstico mais precoce da doença e seu imediato tratamento. O Brasil conseguiu seus poucos Centros de Referências em Doenças Raras e Hospitais Universitários que formam profissionais e publicam extensa bibliografia que orientam o tratamento dos pacientes com Doença de Pompe e somos afrontados por um Relatório da Conitec pouco convincente e contrário ao que tem sido preconizado no Brasil e no mundo todo.Os pacientes com Doença de Pompe agradecem e não desejam mais judicializar seus tratamentos e pretendem manter sua qualidade de vida.Não a negligência!</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Miozyne , Positivo: Melhoria em 4 anos de tratamento principalmente na parte respiratória ., Negativo: Não tive</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Não concordo com a faixa etária estabelecida. Conheço portador da Doença de Pompe que iniciou o tratamento com idade mais avançada com ótimos resultados. Melhora na qualidade de vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Entendo que a incorporação do medicamento deve atingir a todas as faixas etárias</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar, Porque todos os pacientes devem receber os medicamentos para ter uma vida melhor e não só menores de 1 ano. Todos tem direito a vida e a CONITEC está tirando a vida desses pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Sendo o único tratamento disponível para a doença de Pompe, a reposição enzimática deveria ser disponibilizada para todos os pacientes, incluindo pompe de inicio tardio.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: alfa-<i>glucosidase</i> (myozyme®)., Positivo: Paciente adulto, com diagnóstico de Pompe, em vigência de insuficiência ventilatória na UTI, dependente de ventilação mecânica, ao iniciar tratamento foi possível o desmame e alta hospitalar. Mantém se funcionalmente ativo, apenas com necessidade de ventilação não invasiva., Negativo: Não houve.</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
22/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Acho que a medicação também deve ser incorporada para crianças mais velhas e adultos com início tardio da doença. A medicação em questão tem eficácia comprovada em vários estudos e na prática pessoal de vários colegas neurologistas (além da nossa, claro) em combater os efeitos maléficoss e progressivos da doença no sistema musculoesquelético. Ao nosso ver, a medicação também deve ser liberada para adolescentes e adultos com doença de Pompe.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme EV a cada 15 dias na dosagem de 20mg/Kg em pacientes adultos com diagnóstico de doença de Pompe de início adulto, Positivo: Melhora significativa na força muscular, da marcha, na parte ventilatória e na independência funcional, Negativo: não foram observados efeitos adversos relevantes no período de uso da medicação e que impedissem a continuidade do tratamento</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, concordo com a incorporação mas discordo em relação à idade. A incorporação deve ser feita para todas as idades pq temos mais pacientes portadores da doença em idade adulta aqui no Brasil do que crianças e todos tem q ter direito ao tratamento .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A melhora nas formas precoces é bem documentada no tocante à regressão da cardiopatia, melhora da função motora e respiratória. Nas formas tardias, os parâmetros de melhora de função respiratória e teste de caminhada também são observados.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozime, Positivo: Melhora no teste de caminhada e nos parâmetros de avaliação respiratória., Negativo: Não houve efeitos colaterais nas infusões. Porém número de pacientes pequeno.</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Sou totalmente favorável a incorporação no SUS da alfa-glicosidase.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Sendo o único tratamento disponível para a doença de Pompe, a reposição enzimática, deve ser disponibilizada para todos os pacientes, inclusive com Pompe de início tardio.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: alfa-glicosidase (myozyme®)., Positivo: Paciente adulto com diagnóstico de doença de Pompe em vigência de insuficiência ventilatória, internado em UTI e dependente de ventilação mecânica. Somente após início do tratamento, foi possível o desmame e alta hospitalar. , Negativo: Não há.</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, TODOS TEM DIREITO A VIDA!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
23/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Não é viável a indicação apenas para menores de um ano tendo em vista o número enorme de pacientes necessitando dar continuidade ao tratamento estarem fora dessa faixa etária.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar, A utilização da medicação para Pompe deve ser liberada para todos os pacientes e não somente para as crianças menores de 1 ano. Quer dizer que as pessoas portadoras de pompe que não são crianças podem morrer? Queremos apenas o direito de poder dar uma qualidade de vida para as pessoas que sofrem dessa doença tão cruel.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Myozyme, Positivo: Meu pai é portador da doença de pompe e antes da medicação ele não subia escada, não caminhava e nem conseguia comer porque faltava ar. Agora com essa abençoada medicação ele consegue ter uma vida normal na medida do possível. Entendam que a Myozyme é vida para essas pessoas, caso essa medicação seja proibida, vocês estão matando todos os portadores de pompe, que seria um absurdo, pois em outros países não existe toda essa burocracia para conseguir uma medicação. , Negativo: Não temos nenhum efeito negativo da medicação ( Myozyme) utilizada no meu pai. Ele se sente super bem após a infusão feita de 15 em 15 dias.</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todo devem ter acesso à medicação independente da idade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Todos têm o direito a ter um tratamento digno.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Necessário, ao menos periodicamente, rever a viabilidade da incorporação para casos graves de formas tardias.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Reposição de Alfa-glicosidade, Positivo: Perspectivas de melhora do prognóstico., Negativo: -</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
21/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Todos devem ter este tratamento pois eu também sou portador de pompe</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Alfa aglicosidase, Positivo: Maior força muscular, maior qualidade de vida, menos dores musculares, condições psicológicas melhores, Negativo: Nenhum, é tudo de bom</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Acho q todos têm direito as medicações</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Gylenia, Positivo: Evita crises da esclerose multipla, Negativo: Dor de estômago</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
22/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
22/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar, O PTC para incorporação do tratamento da doença de Pompe forma precoce e tardia da doença está bem elaborado com informações extremamete relevantes sobre a segurança, eficacia e sobrevida dos pacientes acometidos com essa doença rara (desfecho duro). Os pacientes apresentando a forma de início recente da doença, se não tratados, geralmente vem a falecer nos primeiros anos de vida, com sobrevida mediana na ordem de 8,9 meses. Por vezes a sobrevida pode ser prolongada com o uso de ventilação mecânica, contudo não modifica o curso natural da doença. Menos de 5% dos casos sobrevive por mais de 24 meses. A principal causa de morte é falência cardiorrespiratória.A forma tardia possui progressão lenta, com o paciente podendo ter sobrevida, em média, de uma a duas décadas após o diagnóstico, com a doença possuindo progressão mais rápida em pacientes jovens. Contudo há importante impacto na qualidade de vida, com os pacientes ficando dependente de cadeira de rodas devido a fraqueza nos membros inferiores . A morte geralmente se dá devido à falência ou complicações respiratórias.CONTUDO, a rejeição do tratamento para as formas tardias da doença é um GRAVISSIMO ERRO DE ANÁLISE DE CUSTO BENEFICIO. Não considera-se que esta população é o grupo mais afetado pela condição, limitando as suas capacidades laborais, torando o paciente precocemente "aposentado" e iprodutivo por longos anos de vida.Como m´pedica, tenho casos com diagnóstico tardio que está totalmente limitados de sua mobilidade, dependem de familiares para locomoção e não conseguem exercer atividades laborais. São casos que forma privados do tratamento medicamentoso, que, demosntrado cientificamente, reduz a progressão da doença, melhora a qualidade de vida, capacidade vital forçada e sobrevida - demosntrado na revisão deste PTC. O tratamento deve ser para TODAS AS FORMAS DA DOENÇA E DE FORMA IRRESTRITA. O numero de pacientes afetados por essa doença rara é pequeno e o beneficio é enorme.Além disso, com a judicialização viegnte, os paciente tem sido tratados, continuação sendo tratados, contudo com CUSTOS MUITO, MUITO ELEVADOS AO GOVERNO. DEVEM CONSIDERAR QUE TODOS OS PACIENTE SÃO JUDICIALIZADOS E ESTE É CUM CUSTO JÁ PAGO PELA SOCIEDADE E PELO GOVERNO DE CUSTO ABSURDAMENTE MAIS ELEVADO DO QUE PODERIA SER ,CASO FOSSE INCORPORADO PARA TODAS AS FORMAS.</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: ALFA ALGLICOSIDASE, Positivo: Formas tardias: Impressionante melhora da força, capacidade vita, capacidade respiratória, melhora da marcha, melhora da atividade fisica, melhora do sono e ventilação.Formas Infantis: discreta melhora da hipotoia, disfagia (nem sempre), melhora significativa da cardiomiopatia hipertrofica, contudo muitos pacientes, a despeito do tratamento evoluem para ventilação mecanica e ficam dependentes. , Negativo: Menos efeito nas formas infantis em relação as formas tardias.Observo um grande beneficio nas formas tardias e um bebeficio restrito para as formas infantis. Justamente o inverso da aprovação do PTC</p> <p>3ª - Não</p>
22/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos tem direito a receber a medicação independente de bebes ou adultos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
22/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
22/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Seria interessante a implementação da medicação para pacientes adultos também, pois grande parte dos nossos diagnósticos são neste público!</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: A alfa glicosidase, Positivo: Melhora em muito a qualidade de vida do paciente com Pompe, Negativo: Não apresenta importantes efeitos negativos em minha experiência clínica</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
22/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
22/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
22/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
22/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Grupos/associação/organização de pacientes	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Com entidade cuidadora de pessoas acometidas pela Doença de Pompe, temos alguns pontos a considerar, discordando da recomendação preliminar no que tange a desconsiderar a inclusão deste tratamento para pacientes com outra idade, senão com Doença de Pompe infantil. Temos muitos pacientes que precisam do tratamento e que da forma como foi proposta esta recomendação, estas pessoas ainda dependerão de determinação judicial, o que não se faz justo. Estes pacientes respondem muito bem ao tratamento e têm-se mantendo vivos e com qualidade de vida, por conta do Myosyme. Outro ponto a elencar é quanto ao número de pacientes considerados neste parecer, o que trouxe distorção ao impacto orçamentário. Nosso acompanhamento com estes pacientes segue desde 2004 e não percebemos um número tão crescente como o que segue no relatório para calcular o impacto orçamentário, o que trouxe um valor totalmente fora da realidade. Este fato também, comprometeu a inclusão de pacientes que não Doença de Pompe Infantil. Diante de todo exposto o IVR solicita que a incorporação seja abrangente para todos os pacientes com Doença de Pompe, independente da idade, para que assim, todos tenham direito ao tratamento com o Myosyme, o que também segue importante salientar, que Myosyme é a única opção terapêutica para a Doença de Pompe para qualquer idade. Aproveitando, solicitamos que a Doença de Pompe seja incorporada na Triagem Neonatal, para que todos os pacientes tenham seu diagnóstico precoce e assim, tenham sua vida com qualidade e sem sequelas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
21/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Concordo parcialmente e não totalmente. Pois existem pacientes com várias idades e também precisam do medicamento. 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos devem ter o direito a medicamento independentemente da idade 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Fico analisando o ser humano todos nós vamos no banheiro VCS acham q somos diferentes uns dos outros estamos em corpo q é matéria na mesma hora q estamos bem já ficamos mau então se colocam nos lugares dessas pessoas q recusam desses remédios 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Tenho uma amiga adolescente que está com essa doença. Por favor precisamos de ajuda!!! 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A medicação deve ser incluída também para adultos e não só para bebês. 2ª - Sim, como paciente, Qual: Medicamento Myozyme., Positivo: Com o uso do Myozyme houve uma diminuição na fadiga, dores musculares e cansaço., Negativo: A falta e o tempo sem o acesso à medicação. 3ª - Não
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, São VIDAS que estão em jogo!!!! Coloque- se no lugar daqueles que precisam! 2ª - Não 3ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Como descrito na extensa bibliografia e experiência médica em todo mundo, iniciar o tratamento tão logo o diagnóstico seja efetuado, em qualquer idade e nunca ser interrompido. Não pode haver interstícios entre as doses. Esta conduta evita danos de células musculares e piora do quadro respiratório. Com isso, esses pacientes mantêm-se vivos e a qualidade de vida preservada. O Estado não pode negligenciar a vida de seus cidadãos. Todas as idades devem ser tratados.</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Alfa-glicosidase ácida humana recombinante (Myozyme), Positivo: Melhora clínica logo após a primeira infusão em janeiro de 2012, mantendo a mesma condição clínica desde então. Cheguei ao diagnóstico após 20 anos de pesquisa clínica. É impossível imaginar que o tratamento não deve ser continuado., Negativo: Não houveram intercorrências no período de tratamento desde janeiro de 2013 até a presente data. O inconveniente é a judicialização para receber o tratamento da Doença de Pompe. Atrasos são frequentes e a cada 12 meses de tratamento, em média, perfazem 7 a 8 meses de tratamento. Não negligenciar nunca.</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos tem direito de acesso ao remédio, independente da idade. O remédio funciona e traz uma melhor qualidade de vida aos pacientes de Pompe mesmo os tardios.</p> <p>2ª - Sim, como paciente, Qual: Myozyme através de infusão, Positivo: Melhoria de músculos como coração e diafragma, que impactam na qualidade de vida dos pacientes de Pompe Melhoria do equilíbrio, mobilidade e capacidade de caminhar Permite com o tratamento, que paciente tenha atividades normais como trabalhar , Negativo: Dificuldade de acesso ao medicamento Produto importado de difícil distribuição no Brasil A interrupção de tratamento regride a melhora causada pelo medicamento</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Na minha experiência observo bons resultados para pacientes de Pompe tardio.</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Enzima alfa-glicosidase, Positivo: Os pacientes recuperam a força muscular. Ex&gt; uma paciente antes de usar a enzima, estava necessitando de cadeira de rodas, hoje em dia, após o uso de 2 anos, deambula independente e usa bengala somente para sair., Negativo: Sem efeito visto na minha experiência</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Todos com a d de Pompe, tenham direito ao tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Medicamento para pompe, Positivo: Prolongando a vida do paciente, evitando os efeitos da evolução da doença , Negativo: Desconheço efeito negativo</p> <p>3ª - Não</p>
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, Tenho uma filha Ariadne Bueno Santos que depende deste medicamento</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Minha filha tem a doença de pompe, Positivo: Desenvolvimento dos músculos, Negativo: Sem o medicamento e complicado e complicado ter uma esperança de vida</p> <p>3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eu não uso e a minha filha que usa e precisa deste medicamento, Positivo: Ela está viva graças a Deus e o medicamento , Negativo: Sem medicamento não temos esperança de vida para ela</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Não há idade para a doença. 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos devem ter direito à medicação independente da idade. 2ª - Não 3ª - Não
24/06/2019	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Medicação também deve ser incluída para adultos e não só para bebês. 2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Com essa medicação não., Positivo: Com essa medicação , pela descrição médica uma melhor condição de vida, Negativo: Com essa medicação não sei informar 3ª - Não
23/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A publicação do Relatório prévio da Conitec indica a Terapia de Reposição Enzimática com Alfa-glicosidase ácida humana recombinante somente no grupo de pacientes menores de um ano de idade. Ao contrário do que ocorre em todo mundo. A indicação para início da Terapia de Reposição Enzimática ocorre em qualquer idade, tanto na forma precoce e na tardia. O início do tratamento tão logo seja efetuado, em qualquer faixa etária repercute diretamente na qualidade desses pacientes. 2ª - Não 3ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
23/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Porque acho que tem que atender a todos que tenham necessidade do medicamento para. 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos os pacientes têm direito à medicação, independente da idade 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não
23/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar, 2ª - Não 3ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Adultos também têm melhora com o uso da medicação e esta deve ser para todos os doentes e não apenas para os menores de 1ano. A maioria dos doentes no Brasil são adultos. Há estudos que comprovam a melhora da respiração e da força muscular dos adultos com a medicação.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Um amigo usou myozime. , Positivo: Melhorou a respiração e a força muscular consideravelmente , Negativo: Não sei dizer</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, A maioria dos doentes no Brasil são adultos e eles também têm melhora com o uso da medicação e, portanto, deve ser para todos os doentes e não apenas para os menores de 1ano. Há estudos que comprovam a melhora dos adultos com a medicação.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Um amigo da família usou myozyme, Positivo: Melhorou força muscular e respiração principalmente , Negativo: Nd a declarar</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, O fato de liberar o medicamento somente para menores de 1 ano , contraria a conduta mundial que libera para qualquer idade e logo que o diagnóstico é realizado. Isso evita sequelas e melhora o prognóstico. Aliás, investir no diagnóstico precoce deve ser uma prioridade para todas as doenças raras</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Todos devem ter direito ao remédio independentemente da idade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Precisa ser estendido para idades superiores a 1 ano de vida também</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar,</p> <p>2ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Myozyme, Positivo: A paciente em questão apresentou melhora significativa da força axial, apresentou melhora importante do padrão respiratório e passou a conseguir ficar na posição sentada e realizar transferência de acento (anteriormente era restrita ao leito em decúbito), Negativo: A paciente apresentou reações alérgicas na primeira infusão. Sem maiores problemas após procedimento de dessensibilização.</p> <p>3ª - Não</p>
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar, Adultos também têm melhora com o uso da medicação e, portanto, deve ser para todos os doentes e não apenas para os menores de 1ano. A maioria dos doentes no Brasil são adultos. Há vários estudos que comprovam a melhora dos adultos com a medicação, tanto no aspecto respiratório quanto na miopatia.</p> <p>2ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Myozyme em um amigo, Positivo: Melhorou a força muscular e principalmente a respiração!, Negativo: -</p> <p>3ª - Não</p>