

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

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Os efeitos terapêuticos da alfa-<math>\alpha</math>-glucosidase são muito impactantes no manejo da doença mudando significativamente para melhor a condição de vida dos pacientes e aumentando a sobrevida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
06/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Devido a alfa gliocasidase ser a unica medicação especifica para a doença de Pompe e sabendo da gravidade da doença bem como da progressão sugiro que tambem seja incorporada para a forma adulta/tardia. Os pacientes relatam melhora da força e disposição para as atividades diarias. Infelizmente não ha um questionario de qualidade de vida especifico para a doença de Pompe. Outra fator que deve ser levado em conta é que embora na forma tardia os sintomas apareçam mais tardiamente é sabido que precocemente esse pacientes tem outros sintomas mas que passam despercebidos ate ficarem graves. O diagnostico na forma tardia infelizmente é realizado tardiamente. Outra questao é a inclusao do teste na Triagem Neonatal que podera ser incluindo e possibilitar o acompanhamento mais precoce dos pacientes e identificação do melhor momento para indcar a TRE na fase adulta.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Devido a alfa gliocasidase ser a unica medicação especifica para a doença de Pompe e sabendo da gravidade da doença bem como da progressão sugiro que tambem seja incorporada para a forma adulta/tardia. Os pacientes relatam melhora da força e disposição para as atividades diarias. Infelizmente não ha um questionario de qualidade de vida especifico para a doença de Pompe. Outra fator que deve ser levado em conta é que embora na forma tardia os sintomas apareçam mais tardiamente é sabido que precocemente esse pacientes tem outros sintomas mas que passam despercebidos ate ficarem graves. O diagnostico na forma tardia infelizmente é realizado tardiamente. Outra questao é a inclusao do teste na Triagem Neonatal que podera ser incluindo e possibilitar o acompanhamento mais precoce dos pacientes e identificação do melhor momento para indcar a TRE na fase adulta.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Experiência de tratamento de 3 famílias com doença de Pompe</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
07/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. A doença de Pompe é uma das poucas doenças neuromusculares que tem um tratamento com benefício claro de melhora da força do paciente e também para evitar ou estabilizar complicações cardíacas em crianças e adultos jovens. Isso diminui a morbimortalidade de maneira importante e dá a chance de manter o indivíduo socialmente e economicamente ativo por décadas, além de que o tratamento precoce em alguns indivíduos pode evitar o uso de cadeira de rodas ou ventilação invasiva. Dessa maneira não dependerá de terceiros para realizar as atividades básicas da vida diária.</p> <p>2ª - Sim, Há vários artigos no PubMed em relação a evidência do tratamento, de melhora da fraqueza além da estabilização da mesma e da capacidade respiratória e cardíaca.</p> <p>3ª - Sim, Afirmando aqui as palavras ditas acima em relação à diminuição da morbimortalidade, o impacto econômico que o tratamento pode fornecer em manter a pessoa economicamente ativa até o final de sua vida e sem depender de terceiros, estes também poderiam contribuir economicamente para o país ao não carregarem o peso de ser cuidador de alguém dependente de cadeira de rodas ou de ventilação não invasiva.</p> <p>4ª - Sim, Afirmando aqui as palavras ditas acima em relação à diminuição da morbimortalidade, o impacto econômico que o tratamento pode fornecer em manter a pessoa economicamente ativa até o final de sua vida e sem depender de terceiros, estes também poderiam contribuir economicamente para o país ao não carregarem o peso de ser cuidador de alguém dependente de cadeira de rodas ou de ventilação não invasiva.</p> <p>5ª - Não</p>	
07/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Acredito que os adultos poderiam ser beneficiados com a medicação</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Sugiro que sejam considerados também pacientes com formas de início tardio da doença. 2ª - Sim, 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	<a href="#">Clique aqui</a>  <a href="#">Clique aqui</a>
10/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Sim, possuo 2 pacientes com forma infantil de Doença Pompe em uso alfa alglicosidase - Myozyme com ótima evolução , com inicio precoce aos 4 meses de idade . 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Devido à importância da repercussão dessa doença na qualidade de vida dos pacientes 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. O tratamento de reposição enzimática deve envolver os pacientes com diagnóstico da doença em qualquer faixa etária, haja vista que os benefícios do tratamento são inequívocos, retardando a progressão da doença e melhorando qualidade de vida e sobrevida, também dos pacientes adultos.</p> <p>2ª - Sim, O tratamento de reposição enzimática deve envolver os pacientes com diagnóstico da doença em qualquer faixa etária, haja vista que os benefícios do tratamento são inequívocos, retardando a progressão da doença e melhorando qualidade de vida e sobrevida, também dos pacientes adultos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
11/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. COMO OCORRE UMA MELHORA NOS PARÂMETROS DE FORÇA, TESTE DE CAMINHADA, PARÂMETROS VENTILATÓRIOS E MELHORA NA QUALIDADE DE VIDA, TAL RECOMENDAÇÃO DEVE LEVAR TAMBÉM O POMPE DE INICIO TARDIO E NÃO APENAS O &lt; 12 MESES.</p> <p>2ª - Sim, SOU MÉDICO NEUROLOGISTA DO ESTADO DE CEARÁ E FAÇO ACOMPANHAMENTO DE PACIENTES NEUROLÓGICOS ADULTOS COM DOENÇA DE POMPE JUNTO COM DR CLEONISIO LEITE.. ATUALMENTE TEMOS 2 PACIENTES COM DIAGNÓSTICO DE DOENÇA DE POMPE (FORMA TARDIA) COM PADRÃO DE DISTROFIA MUSCULAR AO EXAME CLÍNICO.UM DOS PACIENTES ENCONTRA-SE EM TRATAMENTO COM ALFA-AGLICOSIDASE, COM BOA RESPOSTA TERAPÊUTICA, MELHORA CLÍNICA OBJETIVA E SUBJETIVA EM PARÂMETROS NEUROLÓGICOS/CARDIOPULMONARES.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, TODA MEDICAÇÃO QUE TRAGA BENEFÍCIOS COMPROVADOS NA LITERATURA DEVEM SER INCORPORADOS AO SERVIÇO DE SAÚDE.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. concordo parcialmente, porque a Doença de Pompe tardia também merece o tratamento com a enzima, pois a melhora deles é muito satisfatória. independente dos custos, esta população também deveria receber a medicação.</p> <p>2ª - Sim, tratei uma paciente portadora de Doença de Pompe tardio que se beneficiou muito da medicação, infelizmente foi a óbto por outra patologia clínica.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
18/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Precisa ser extendido para toda infância e adolescência pois o diagnostico é geralmente tardio, sendo assim as crianças perderiam a chance de Não evoluírem mal usando a medicação . As crianças começam a andar geralmente a partir de um ano de vida, então não se faz diagnóstico antes pela falta de suspeição .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Creio que a medicação deva ser disponibilizada a todos num primeiro momento, com critérios claros de permanência ou suspensão da medicação após 6-12 meses de uso na medida da resposta individual de cada paciente. A "resposta clínica" à medicação deve ser avaliada através de critérios clínicos subjetivos, ditados pelo paciente, e também critérios objetivos, nos quais entrariam a utilização de escalas motoras gerais, escalas motoras de membros superiores, prova de função respiratória e função cardíaca.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. A incorporação deve ser para todas as idades</p> <p>2ª - Sim, Sou coordenadora do centro de erros inatos do metabolismo, tenho pacientes adultos, em terapia de reposição enzimática, e vejo a importância do mesmo para a manutenção de qualidade de vida e diminuição da mortalidade desses pacientes.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. É preciso ampliar as indicações</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, seguimento clínico de duas pacientes com POMPE</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
20/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. A alfa glicosidase é o único tratamento disponível para Doença de Pompe e deve ser disponibilizada para pacientes do SUS</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
20/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. É VISIVEL A MELHORA DOS PACIENTES QUE ESTAO RECEBENDO A MEDICACAO</p> <p>2ª - Sim, É VISIVEL A MELHORA DOS PACIENTES QUE ESTAO RECEBENDO A MEDICACAO</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. O tratamento de reposição enzimática tem benefício não só na forma precoce da doença de Pompe, mas também na forma tardia.</p> <p>2ª - Sim, Ensaio clínico, relatos de casos, descrevem os benefícios com o tratamento de reposição enzimática.Scheidegger O, et al. J Neurol. 2018.Ripolone M, et al. Neuropathol Appl Neurobiol. 2018</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Parcialmente pois ela não aborda a fase tardia da doença</p> <p>2ª - Sim, Venho tratando e acompanhando doentes com esta patologia e apesar das frequentes interrupções do tratamento com a reposição enzimática, observo a melhora nos parâmetros de função respiratória , com redução de horas de uso da VNI neos casos que já a utilizavam e retardo na necessidade da mesma. Melhora na marcha, sobrevida e qualidade de vida. Com raros e leves efeitos adversos resumidos em hipertermia e por vezes edema de face e sintomas gripais leves</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
20/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Já existem ensaios clínicos bem conduzidos comprovando a eficácia da TRE tanto para a forma precoce quanto para a forma tardia.</p> <p>2ª - Sim, Para a forma precoce recomenda-se o início mais rápido possível da TRE a fim de modificar o desfecho da criança, que seria fatal, reduzindo morbidade cardiorrespiratória. Para a forma tardia, em pacientes sintomáticos, recomenda-se a TRE e reavaliação dentro de 1 ano a fim de observar se a reposição enzimática está trazendo benefícios. Em ambos os casos é fundamental a abordagem multidisciplinar a fim de oferecer todos os cuidados que o paciente necessita. Em anexo consensos brasileiro e americano, além de alguns estudos pivotais.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Para o profissional da saúde que trata essa doença, a TRE com alfa-<math>\alpha</math>-glicosidase se constitui na única possibilidade de modificar a evolução natural da doença, que na forma precoce geralmente é fatal, e na forma tardia vem carregada de limitações funcionais. Avaliar o status CRIM, especialmente na forma precoce, também é de fundamental importância a fim de se obter o melhor resultado terapêutico. Quanto mais rápido o início do tratamento, mais músculo é salvo. Abordagem multidisciplinar é preceito básico. Por fim, parabéns à CONITEC pela excelente revisão preliminar que recomenda a incorporação da medicação.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
21/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Concordo com o uso para pacientes com a forma precoce da doença, mas a medicação também deveria ser disponibilizada para os pacientes adultos, com a forma tardia da doença.</p> <p>2ª - Sim, Já existem vários ensaios clínicos que evidenciam melhora dos pacientes com a forma precoce e tardia da doença. Da mesma forma, já existem vários estudos que evidenciam piora dos achados clínicos dos pacientes que não se encontram em tratamento.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Precisamos oferecer tratamento para essa doença que, apesar de rara, reduz a expectativa de vida dos pacientes não tratados.</p>	
21/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
21/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/06/2019	Grupos/associação/orga nização de pacientes	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Pacientes com D. de Pompe acima de 1 ano de idade necessitam manter o tratamento. para a melhora da qualidade de vida , melhora da mobilidade , função respiratória e sobrevida. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/06/2019	Interessado no tema	1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Todo paciente com Doença de Pompe independente da idade tem o Direito de receber o tratamento pelo SUS em qualquer idade, pois aumenta a sobrevida, melhora a qualidade de vida e minimiza o impacto negativo nos músculos. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Sou fisioterapeuta, trabalho nos hospital Universitário Walter Cantídio da Universidade Federal do Ceará.Minha Tese de Doutorado foi sobre Doença de Pompe. Desde então acompanho os cinco pacientes adultos com diagnóstico de doença de Pompe do Estado do Ceará.Segue abaixo link da minha Tese e de um artigo apresentado ano passado (2018) no congresso da Sociedade Respiratória Europeia (ERS 2018), em Paris.  More articles from Clinical Respiratory Physiology, Exercise and Functional Imaging  Respiratory and Motor Phenotypes and Correlations with Diaphragm Function in Patients with Late-Onset Pompe Disease (LOPD)  Andrea Da Nobrega Cirino Nogueira, Liégina Silveira Marinho, Renata Dos Santos Vasconcelos, Suzy Maria Montenegro Ponte, Nancy Delma Silva Vega Canjura Sousa, Juliete Vaz Ferreira, Patrícia Carvalho Bezerra, Miguel Angelo Nobre E Sousa, Marcelo Alcantara Holanda  European Respiratory Journal Sep 2018, 52 (suppl 62) PA2432; DOI:10.1183/13993003.congress-2018.PA2432  <a href="http://www.repositorio.ufc.br/handle/riufc/32849">http://www.repositorio.ufc.br/handle/riufc/32849</a></p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Há uma enorme erro de avaliação quando decide-se incorporar o tratamento somente para as formas precoces da doença. O tratamento deve ser incorporado para formas Tardias onde observa-se importante melhora da qualidade de vida, capacidade vital, redução de mortalidade. Na pratica, a incorporação das formas tardias deveria ser imediata, pois os paciente já são judicializados, levando a um elevado custo ao Estado. sem o tratameto os pacientes tornam-se fisicamente deficientes e cronicamente dependetes.</p> <p>2ª - Sim, A doença de Pompe é uma doença é uma autossômica recessiva, com implicações metabólicas decorrente da deficiência da atividade da enzima alfa-glicosidade ácida, ocasionando um acúmulo de glicogênio dentro de lisossomos. O acúmulo progressivo resultando em fraqueza muscular, deterioração da função respiratória e morte prematura. O tratamento farmacológico é a reposição enzimática, que degrada o glicogênio acumulado nos lisossomos. Sua ação modifica o curso natural da doença, alterando sua progressão e promovendo a melhora do quadro clínico. Não há outros tratamentos específicos disponíveis, exceto tratamento de suporte (por exemplo, ventilação mecânica e fisioterapia). O Myozyme® (alfa-alglicosidase) possui registro na ANVISA e possui preço registrado na CMED, sendo o único medicamento disponível no Brasil para essa finalidade. A reposição enzimática não está incorporada no SUS. A principal forma de acesso para a alfa-alglicosidase é por via judicial. Dada a existência de menos de 5 ensaios clínicos randomizados (ECR) incluindo uma, outra ou ambas as formas da doença, foram avaliados também ensaios clínicos abertos prospectivos que avaliaram os desfechos de interesse e cujo tamanho amostral era igual ou superior a 5. Assim, trinta e seis estudos foram incluídos, sendo que 13/36 avaliaram DP precoce (entre eles, uma revisão sistemática e um ECR) e 23/36 que avaliaram DP tardia (entre eles, duas revisões sistemáticas e um ECR). DP Precoce: Foi encontrada evidência de benefício da TRE para cardiomiopatia, tempo para início de ventilação mecânica, sobrevida, e segurança. Ressalta-se, contudo, que a maioria dos estudos incluiu pacientes que iniciaram TRE até um ano de idade e que não estavam em ventilação mecânica invasiva, sendo esta a população para a qual este tratamento deve ser indicado. DP Tardio: Foi encontrada evidência de benefício da TRE para capacidade vital forçada (CVF), teste de caminhada em 6 minutos, sobrevida/mortalidade, tempo de ventilação e segurança.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, As avaliações ecoomicas para doenças raras são de baixa evidencia científica. Aléms disso, os pacientes doenças já recebem a medicação de forma judicializada e irão continuar recebendo visto que há fortes evedencias científicas a favor do uso da terapia de reposição enzimatica.Não incorporar só irá trazer prejuízo aos pacientes e ao erario publico. Evidencia significa tratar SEMPRE</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. CONSIDERANDO QUE PACIENTES COM AS FORMAS DE APRESENTAÇÃO TARDIAS SE BENEFICIAM COM A MEDICAÇÃO SUGIRO REVER A POSSIBILIDADE DE TRATAMENTO DOS PACIENTES NA FAIXA JOVEM E ADULTO, PORÉM CONCORDO PLENAMENTE QUE O PREÇO DA MEDICAÇÃO É MUITO ALTO E A EMPRESA DEVE CONSIDERAR A REDUÇÃO DO PREÇO DA MEDICAÇÃO PARA QUE OUTROS PACIENTES EM FAIXA ETARIAS DIFERENTES POSSAM SER TRATADOS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, COMO DESCRITO ACIMA O PREÇO DA MEDICAÇÃO É MUITO ALTO, DEVENDO SER CONSIDERADO O FATOR PREÇO COMO DETERMINANTE PARA QUE OUTROS PACIENTES POSSAM FAZER USO</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
22/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Na nossa opinião, a medicação deveria ser incorporada para pacientes adolescentes e adultos com diagnóstico da doença</p> <p>2ª - Sim, Experiência própria de pacientes com a doença tomando a medicação há mais de 6 anosBoa resposta terapêutica na questão de força muscular, fraqueza diafragmática, melhora da marcha e independencia dos pacientes.</p> <p>3ª - Sim, Na nossa opinião, havendo uma diminuição nos preços da medicação após negociação, a questão do custo-beneficio da mediação ficará equacionada. Lembrando que a medicação hoje é prescrita e liberada por via judicial com alto grau de aceitação pela Justiça da orientação médica. Lembrando que a medicação atual é a única disponível com eficácia comprovada</p> <p>4ª - Sim, Na nossa opinião, havendo uma diminuição nos preços da medicação após negociação, a questão do custo-beneficio da mediação ficará equacionada. Lembrando que a medicação hoje é prescrita e liberada por via judicial com alto grau de aceitação pela Justiça da orientação médica. Lembrando que a medicação atual é a única disponível com eficácia comprovada</p> <p>5ª - Sim, Na nossa opinião a medicação deve ser incorporada a todos os doentes com doença Pompe sintomáticos, conforme consensos de vários países e regiões no mundo.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p> <p><a href="#">Clique aqui</a></p>
22/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Concordo com a recomendação para tratamento dos pacientes com a forma precoce da doença de Pompe, mas discordo da exclusão dos pacientes com a forma tardia da doença. A terapia de reposição enzimática com alfa-glicosidase recombinante é a única alternativa de tratamento específico para os pacientes com a doença de Pompe, e excluir os pacientes com a forma tardia os condena a um quadro progressivo que afeta múltiplos sistemas, destacando-se a inexorável ocorrência de insuficiência ventilatória, na maioria das vezes diretamente relacionada ao êxito letal da enfermidade.</p> <p>2ª - Sim, Tendo experiência de mais de 12 anos com o tratamento de pacientes com a forma tardia da doença de Pompe, posso confirmar os benefícios inequívocos da terapia de reposição enzimática. Embora não seja um tratamento curativo e nem diminua significativamente as manifestações da doença, certamente reduz o seu ritmo de progressão e até mesmo estabiliza o quadro, dando ao paciente uma chance de ter uma melhor qualidade de vida e mesmo sobreviver enquanto novas terapias (atualmente em desenvolvimento) estejam aprovadas e disponíveis.</p> <p>3ª - Sim, Considero muito difícil e mesmo injusto aplicar para doenças genéticas ultra-raras, progressivas, multissistêmicas e de difícil manejo, como a enfermidade de Pompe o mesmo tipo de análise econômica utilizado para doenças mais frequentes</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Acredito que uma aprovação condicional por um período inicial determinado (5 anos, por exemplo), com acompanhamento rigoroso dos pacientes tratados, possa dar uma chance aos pacientes com a forma tardia da doença de Pompe enquanto dados sistemáticos coletados na vida real sobre a eficácia, segurança e impacto financeiro são coletados e analisados.</p>	
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Deveria ser favorável também aos pacientes da forma tardia</p> <p>2ª - Sim, Ao longo do relatório, os artigos apresentados são classificados como "baixo nível de evidência". É sabido que para doenças raras, os estudos classificados como melhor nível de evidência - duplo-cego randomizados, não são factíveis; além disso, a própria ANVISA demonstrou que está aberta a entender as especificidades dos estudos para doenças raras, como apresentado no I Workshop de doenças raras realizado em 20 de maio. Portanto, acredito que as particularidades dos desenhos de estudos e evidências para doenças raras deveriam estar descritos apropriadamente. Várias vezes também é citado que não há grupo comparador; ora, em doenças raras é bem estabelecido que o controle histórico pode ser utilizados como grupo comparador, inclusive há o rascunho do guia do FDA para estudos história natural para doenças raras. Portanto, acredito que essa especificidade também deveria estar descrita.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/06/2019	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Nós da Sanofi agradecemos a oportunidade de contribuir à Consulta Pública nº 33/2019 referente ao relatório preliminar para avaliação de alfa-<i>glucosidase</i> para Doença de Pompe. O Plenário desta renomada Agência “recomendou de forma preliminar a incorporação da alfa-<i>glucosidase</i> para a forma precoce da doença devido aos ganhos nos desfechos de tempo para início de ventilação mecânica e sobrevida”. Corroboramos com esta decisão e assim nossa contribuição busca oferecer informações complementares referentes à forma da Doença de Pompe de início tardio (late onset), ou forma adulta (idade de início dos sintomas &amp;#8805; 12 meses), para o enriquecimento da discussão no sentido de reconsiderar a recomendação preliminar de não incorporação pelo SUS.</p> <p>2ª - Sim, Os estudos clínicos da alfa-<i>glucosidase</i> comprovaram claramente que a terapia de reposição enzimática modifica a história natural da doença, trazendo benefícios aos pacientes em parâmetros importantes como distância percorrida no teste decaminhada de 6 minutos, capacidade vital forçada entre outros. Angelini C, Semplicini C, Ravaglia S, Bembi B, Servidei S, Pegoraro E, et al. Observational clinical study in juvenile-adult glycogenosis type 2 patients undergoing enzyme replacement therapy for up to 4 years. <i>Journal of neurology</i>. 2012;259(5):952-8. van der Ploeg AT, Clemens PR, Corzo D, Escolar DM, Florence J, Groeneveld GJ, et al. A randomized study of <i>glucosidase</i> alfa in late-onset Pompe’s disease. <i>The New England journal of medicine</i>. 2010;362(15):1396-406. van der Ploeg AT, Barohn R, Carlson L, Charrow J, Clemens PR, Hopkin RJ, et al. Open-label extension study following the Late-Onset Treatment Study (LOTS) of <i>glucosidase</i> alfa. <i>Molecular genetics and metabolism</i>. 2012;107(3):456-61</p> <p>3ª - Sim, Nota-se que o impacto positivo e a melhora que Myozyme® proporciona sobre a carga da doença em pacientes com a doença de Pompe tardia deve ser levado em consideração, incluindo a redução de múltiplos custos diretos e indiretos que contribuem para a carga econômica da doença. Baseado nestas considerações, o reembolso de Myozyme® em mercados em todo o mundo reflete o entendimento que os pagadores têm sobre o valor de Myozyme®, assim como a capacidade de Myozyme® em satisfazer a necessidade não atendida para esta doença rara.</p> <p>4ª - Sim, Conforme descrito no relatório preliminar, nos exercícios de Impacto Orçamentário “Foram computados apenas os gastos decorrentes da aquisição da alfa-<i>glucosidase</i>. Não foram descontados custos referentes a outro tratamento a ser substituído, pois atualmente não existe nenhum medicamento incorporado no SUS para o tratamento da DP. Assumiu-se, de forma conservadora, que 100% dos pacientes passarão a utilizar a alfa-<i>glucosidase</i> fornecida pelo SUS após a sua incorporação desde o primeiro ano.” Nota-se que o impacto positivo e a melhora que Myozyme® proporciona sobre a carga da doença em pacientes com a doença de Pompe tardia deve ser levado em consideração, incluindo a redução de múltiplos custos diretos e indiretos que contribuem para a carga econômica da doença. Outro ponto que pode ter impacto no resultado dos cenários avaliados é a carga tributária hoje aplicada sobre o medicamento.</p> <p>5ª - Sim, Como já descrito anteriormente, a Doença de Pompe, em sua forma adulta, leva a comprometimento da qualidade de vida e atividades diárias do paciente afetado. Conforme descrito nas evidências clínicas, segundo Gungor, o efeito da Terapia de Reposição Enzimática contribui com significativas melhoras na qualidade de vida dos pacientes com a Doença de Pompe, mesmo se houver apenas</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>estabilização da progressão da doença, pois possibilita maior participação de atividades sociais e manutenção da realização de tarefas diárias. Referidos ganhos podem, segundo o autor, levar a significativa melhoria no fardo humanístico da doença. Bhengu L, Davidson A, du Toit P, Els C, Gerntholz T, Govendrageloo K, et al. Diagnosis and management of Pompe disease. S Afr Med. 2014;104:273–4. Chien Y-H, Hwu W-L, Lee N-C. Pompe disease: early diagnosis and early treatment make a difference. Pediatr Neonatol. 2013;54:219–27. Güngör D, Kruijshaar ME, Plug I, Rizopoulos D, Kanters TA, Wens SC, et al. Quality of life and participation in daily life of adults with Pompe disease receiving enzyme replacement therapy: 10 years of international follow-up. J Inherit Metab Dis. 2016;39(2):253-60. Schoser B, Bilder DA, Dimmock D, Gupta D, James ES, Prasad S. The humanistic burden of Pompe disease: are there still unmet needs? A systematic review. BMC Neurol. 2017;17(1):202. Published 2017 Nov 22. doi:10.1186/s12883-017-0983-2</p>	
23/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Todos os pacientes se beneficiam da medicação em qualquer idade ou estágio da doença.</p> <p>2ª - Sim, Conversem com os pacientes.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Isso não é gasto! É investimento na vida de pessoas é menor número de internações e agravamentos e doenças correlatas.</p> <p>5ª - Não</p>	
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Pela experiência adquirida com o tratamento de dois pacientes que fazem a reposição da alfa-aglicosidase e o seu acompanhamento que evidenciou melhora objetiva na qualidade de vida destes pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Tenho dois pacientes que fazem a reposição enzimática e que mostram evidente melhora da função motora e conseqüentemente da função respiratória e qualidade de vida.</p> <p>3ª - Sim, Entendo que a medicina é voltada para a sociedade e que temos muitos problemas em relação a doenças comuns que afetam milhares de pessoas, convivo diariamente com estes problemas no serviço público. Entretanto não podemos negar qualidade/quantidade de vida para indivíduos que sofrem de doenças raras, cuja a historia natural foi modificada pela pesquisa e desenvolvimento de medicações de alto custo.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. concordo, entretanto discordo que a alfa-glicosidase seja fornecida apenas para crianças menores que 1 ano</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
23/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Concordo com a disponibilização da medicação para a forma precoce. Mas acredito que para casos tardios, principalmente na forma juvenil (de 2 a 18 anos), em que há perda progressiva de função respiratória ou de capacidade de deambulação também deveria ser aprovada a medicação.</p> <p>2ª - Sim, Anexo artigo com evidencia a favor de benefício na forma juvenil - início de 2 a 18 anos (artigo não incluío no parecer técnico disponível).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, são vários artigos falando da eficacia da medicação e estudos sobre alfa glicosidase</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. A recomendação atual favorece apenas os pacientes com a forma precoce da doença, negligenciando pacientes com a forma tardia, que na prática clínica apresentam boas respostas com o tratamento. Observamos que ao ser descontinuada, os pacientes apresentam piora clínica de suas funções motora e respiratória, de forma mais rápida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Grande parte dos pacientes com a forma tardia da doença são adultos funcionais, produtivos economicamente. Os mesmos podem se favorecer da medicação preservando suas funções e retardando os efeitos deletérios da doença.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
24/06/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
24/06/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Acerca dos casos de Pompe tardio: Considerando os benefícios bem documentados na estabilização dos casos por meio de melhora ou estabilização dos parâmetros de CVF, escala de fadiga e Teste da Caminhada em pacientes com Pompe tardio, não se poderia considerar a avaliação da incorporação seletiva para casos de Pompe tardio mediante análise de risco compartilhado ?</p> <p>2ª - Sim, Relato de casos apresentados em congresso de 2 pacientes que foram acompanhados no Setor que atuou em hospital universitário, com Pompe tardio em TRE por no mínimo 4 meses (atualmente com 5 anos em TRE) mostram estabilização do quadro aferido por teste da caminhada de 6 minutos, medida de CVF, melhora da qualidade de vida aferida por questionários e escala de fadiga.</p> <p>3ª - Sim, Utilização de risco compartilhado para extensão da cobertura para Pompe Tardio e análise do impacto orçamentário e eventual incorporação futura para essa categoria de pacientes.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. paciente tem melhor qualidade de vida</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, diminuí as internações hospitalares melhor qualidade de vida</p>	
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Melhora do quadro clínico maior sobrevivência</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Maior sobrevivência e diminuí os custos hospitalares</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. inclusão para crianças e adultos ( pompe de inicio precoce e inicio tardia)</p> <p>2ª - Sim, tenho varios pacientes com doença de pompe, tanto adultos como crianças</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, evidencia clinica- os pacientes melhoram muito do quadro; a medicação salva a vida das crianças</p>	
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Tratar pacientes com Início Tardio (adolescentes e adultos) também</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Poder-se-ia estender aos casos tardio embora com nível de evidência focado em estudos observacionais tem-se benefício ao se analisar mesmo em casos mais tardios e avançados melhoria na qualidade de vida, capacidade vital forçada e força.</p> <p>2ª - Sim, Sim como referido acima poder-se-ia discutir a ampliação do uso às formas tardias de Pompe uma vez que há inúmeras evidências observacionais incluindo o consenso europeu quanto ao uso nessa situação quando se observa melhoria da força, capacidade vital forçada e qualidade de vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Deve-se sempre em situações de doenças ter-se cautela e análise adequada das metodologias utilizadas durante os trials uma vez que além da própria restrição de casos o que demanda a necessidade de estudos multicêntricos, estabelecer os critérios de end point primário com sua correlação clínica.</p>	<p><a href="#">Clique aqui</a></p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. A incorporação da terapia de reposição enzimática para Doença de Pompe com início precoce é, sem dúvida, um avanço importante para estes pacientes. Porém, o impacto e a potencial gravidade da Doença de Pompe de início tardio (LOPD) não podem ser negligenciados. Privar esses pacientes com LOPD de um tratamento que influencia em desfechos clínicos de alta relevância, incluindo potencialmente a sobrevida, não me parece justificável.</p> <p>2ª - Sim, Estudo recente baseado nos dados do registro suíço de Pompe avaliou os desfechos clínicos em pacientes com Doença de Pompe de início tardio que, após terem iniciado terapia de reposição enzimática, tiveram uma interrupção temporária e, subseqüentemente, retomaram a terapia. Observou-se que a interrupção da terapia nesses pacientes foi associada a uma deterioração de desfechos clínicos significativos, tais como qualidade de vida. Ainda assim, observou-se que esses pacientes puderam obter recuperação desses parâmetros ao longo de 3 anos após reinstituição da terapia de reposição enzimática.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Ao invés de considerar a Doença de Pompe de início do tardio um critério de exclusão para a terapia, sugere-se que a Conitec e o Ministério da Saúde considerem outras abordagens, tais como implementação de programa de compartilhamento de risco (semelhante ao recentemente criado para atrofia muscular espinhal de início tardio) para esta população, a disponibilização do tratamento para subgrupos de pacientes com Pompe tardio que tem maior chance de benefício com o mesmo, e/ou o estabelecimento de critérios de monitorização individual e eventual interrupção da terapia para pacientes que não apresentarem benefício efetivo.</p>	<a href="#">Clique aqui</a>
24/06/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	