

Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Eculizumabe para hemolítica urêmica atípica - CONITEC

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A decisão de não incorporação do eculizumabe para pacientes com Síndrome hemolítica uremica atípica atinge em cheio diversos pacientes desta rara doença. Vemos no dia dia a luta destes pacientes para obter por meio judicial a medicação. Muitos conseguem rapidamente, no entanto, alguns processos são mais lentos e o paciente fica sem a possibilidade de fazer a medicação. AO eculizumabe mudou a evolução clínica dos pacientes com SHUa. Antes dele, praticamente todos os pacientes evoluíam para doença renal crônica, com necessidade de terapia renal substitutiva. O tratamento padrão, que era a plasmaterapia, conseguia tratar bem os sintomas hematológicos, no entanto tem pouco ou nenhum efeito sobre a lesão renal. Após a introdução do eculizumabe vemos uma resposta considerável, com recuperação de função renal e vida livre de diálise/transplante. Mesmo pacientes já transplantados e que desenvolviam doença no rim enxertado, o eculizumabe protege a função no novo rim. Com relação a questão dos efeitos adversos. Poucos são realmente vistos na prática. Em geral é um medicamento muito bem tolerado pelos pacientes. O aumento de suscetibilidade a infecção por meningococo é facilmente resolvido com a vacinação e com antibioticoprofilaxia, o que não impede o uso do eculizumabe nem gera muitos impactos na vida do paciente (ao contrário da DRC com necessidade de terapia renal substitutiva).O impacto econômico é uma questão complexa. Sim, o medicamento é caro, no entanto, a doença leva a impactos socioeconômicos elevados para o SUS, pois quase que na totalidade dos pacientes evolui para lesão renal crônica (diretos, como necessidade de medicamentos de alto custo, gastos com diálise e transplante, além de internações, e indiretos, como aposentadoria precoce), o que é reduzido com o uso do medicamento. Concluindo, é um medicamento eficaz para a doença, poucos efeitos adversos, não há outras terapias disponíveis e possui impacto econômico questionável quando comparado aos gastos que o paciente sem o medicamento também gera. Minha opinião é pela inclusão do eculizumabe ao SUS para pacientes com Síndrome hemolítico-uremica atípica.</p> <p>2ª - Sim, Infelizmente não temos, como dito no relatório da CONITEC, ensaios clínicos randomizado. No entanto, isso se deve as características da doença. Por ser uma doença rara, é difícil realizar um estudo do tipo. Além disso, com a comprovada superioridade a outras terapias, seria desumano manter um paciente em tratamentos inferiores para comprovar que o eculizumabe é eficaz. Neste artigo do NEJM (https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1208981) vemos que há sim eficácia do eculizumab para pacientes com SHUa.Neste outro artigo (https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5854840/#__ffn__sectitle), do Korean Journal of Pediatrics, vemos diversas evidências de que o medicamento é eficaz e deve ser iniciado o quanto antes para evitar os desfechos renais.Concluindo, vemos que há evidências científicas para o uso do medicamento para SHUa.</p> <p>3ª - Sim, Como dito anteriormente, o Impacto econômico é avaliado por si só no relatório.Não foi considerado que este paciente, em uso do eculizumabe, tem maior chance de recuperar função renal e deixa de dar diversos gastos ao SUS, como os abaixo listados.- Medicamentos: eritropoietina, ferro injetável,</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>imunossupressores diversos para pacientes transplantados.- Gastos com internações- Gastos com procedimentos e cirurgias relacionadas a terapia renal substitutiva (colocação de cateter de hemodiálise, cirurgias para fistulas arteriovenosas, cirurgia para colocação de cateter de Tenckhoff, gastos e cirurgia para transplante renal.Além destes gastos diretos, temos os gastos indiretos, como faltas ao trabalho e aposentadoria precoce, onerando o já tão onerado sistema previdenciário.</p> <p>4ª - Sim, Muito paciente já levam a estes gastos, pois grande parte acaba conseguindo a medicação por meio judicial. Temos visto que o entendimento do STF é de conceder o medicamento aos pacientes. Isso leva a gastos não previstos pelo governo federal e ministério da Saúde. Com a incorporação, os gastos serão previstos, facilitando a organização orçamentária.</p> <p>5ª - Sim, Não podemos colocar um preço na saúde. São poucos os pacientes com SHUa, é uma doença rara, mas cada um desses pacientes tem sua individualidade. Não incorporar o medicamento ao SUS, um medicamento comprovadamente eficaz, com evidências científicas e amplamente recomendado em diversos países (inclusive disponibilizado gratuitamente em diversos países), é uma atitude que vai contra os princípios do SUS. O SUS deve atender a todos de forma UNIVERSAL, deve ser INTEGRAL no seu atendimento e deve respeitar a EQUIDADE, pois pacientes diferentes devem ser tratados de forma diferente, como é neste caso. Se o SUS dá o direito a vida a pacientes sem esta doença, ou com outras doenças, deve também por EQUIDADE, dar este direito a pacientes com SHUa, mesmo que os gastos sejam altos.</p>	
24/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O eculizumabe é efetivo nas formas graves da doença</p> <p>2ª - Sim, Na literatura médica ha diversos trabalhos que confirmam a efetividade da medicação</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Os pacientes terão benefícios com a incorporação do medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é comprovadamente eficaz nos casos de Síndrome Hemolítico Uremica Atípica</p> <p>2ª - Sim, Possuo experiência de tratamento eficaz em pelo menos 3 pacientes, com evidências robustas de melhora clínica com Eculizumabe</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Os estudos clinicos e a pratica clinica mostram o beneficio do tratamento para os paciente com SHUa</p> <p>2ª - Sim, estudos mostram beneficio , segurança e eficacia com a medicação, bem como o aumento da sobrevida.</p> <p>3ª - Sim, O custo de internações e exames são maiores quando não tratados, considerando as recaidas frequentes e necessidades de internações e muitas vezes necessitando de Transplante renal, elevando os custos e aumentando a taxa de morbimortalidade</p> <p>4ª - Sim, O custo de internações e exames são maiores quando não tratados, considerando as recaidas frequentes e necessidades de internações e muitas vezes necessitando de Transplante renal, elevando os custos e aumentando a taxa de morbimortalidade</p> <p>5ª - Sim, Sou favoravel a incorporação do Eculizumab para SHUa, pois existem beneficios comprovados pela literatura.</p>	
24/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O medicamento é eficaz e único para o tratamento de SHU atípica. Tive experiência ocasional com alguns pacientes que as receberam por doação, com resposta clínica favorável.</p> <p>2ª - Sim, Tive experiência esporádica com alguns pacientes que receberam a medicação por doação e apresentaram melhora clínica com a terapêutica.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Acredito que deve haver a liberação dessa medicação mediante processo comprobatório da doença - coleta de exames. Sugiro que a primeira dose para suspeita de SHUa seja dada ainda que investigação não concluída, todavia as doses subseqüentes dependerão da conclusão do diagnóstico. Muitas vezes temos pacientes gravíssimos, com suspeita de SHUa e que chegam ao óbito antes de ter a certeza da doença, pois são poucos os locais que fazem os exames com segurança e agilidade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. unica medicação disponivel para esta patologia, a qual apresenta alta mortalidade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicamento essencial para o tratamento efetivo em pacientes com critérios clínicos e laboratoriais de HPN e SHUa, infelizmente seme outra medicação disponível de mesma eficiência terapêutica</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
25/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo do parece. Esta explicado no arquivo de evidências científicas. Trata-se de uma doença ultra rara onde a análise forma da medicina baseada em evidências deve ser adaptada.</p> <p>2ª - Sim, Contribuição em anexo</p> <p>3ª - Sim, Os custos estimados para a terapia convencional estão subestimados. O custo de um transplante renal no primeiro ano pode chegar a R\$100.000 reais devido a custo com medicamentos de alto custo (imunossupressores) e reinternações. O custo da plasmaferese com infusão de plasma supera em muito o valor ressarcido pela tabela SUS. Seria necessário refazer as análises de custo-efetividade considerando estes novos valores.</p> <p>4ª - Sim, A maioria dos pacientes é estimada como sendo crianças e na SHUa 60% dos casos são pacientes adultos</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
25/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou mãe de uma paciente que faz uso desse medicamento a mais de 5 anos, e se ela não tomar o mesmo pode ocasionar danos graves a saúde dela é por isso que eu discordo e não só ela como várias vidas necessitam dessa medicação .pois sem ela muitos podem vim a óbito,pois quem vai ter dinheiro pra continuar o tratamento ?</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
25/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. No momento, não há outra medicação ou tratamento que substituam o Eculizumabe, portanto a sua incorporação é extremamente necessária para o tratamento de uma doença grave que, se não tratada adequadamente, mata ou leva à doença renal crônica, que também apresenta diversas complicações.</p> <p>2ª - Sim, Evidências clínicas robustas em doenças raras não são fáceis de serem demonstradas. Tenho experiência clínica pessoal de acompanhar pacientes com Síndrome hemolítico urêmica na "era pré Eculizumabe" e na atualidade, com diferença muito impactante, Antigamente, grande parte dos pacientes considerados atípicos faleciam. Nos pacientes em acompanhamento atual, em uso de Eculizumabe, a apresentação clínica inicial era gravíssima, necessitaram de diálise e, após ser iniciado o tratamento com Eculizumabe, houve melhora da função renal, com possibilidade de interrupção da diálise, Anexo 1 dos casos acompanhados , publicado como relato de caso - página 12 do arquivo anexado</p> <p>3ª - Sim, A medicação é muito cara, mas é difícil mensurar a perda de uma vida por falta de acesso a um tratamento existente,</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como médico nefrologista, é impossível concordar com um parecer que entrega a vida de centenas de pacientes a morte ou, na melhor das hipóteses a terapia de substituição renal. Colocar como opções ao Eculizumab a plasmáfereze (cujos resultados são desprezíveis; qualquer nefrologista sabe disso) ou transplante de órgãos é de uma desonestidade incomensurável. O papel tudo aceita. Argumentos pró e contra sempre existirão. Agora me parece muito exagerado, chega a ser estranho, tamanha veemência em negar os benefícios da droga. Hoje, graças a judicialização, qualquer residente de nefrologista em formação já pode acompanhar casos de recuperação de pacientes com SHUa submetidos ao tratamento com Eculizumabe. Casos que outrora estarão fadados a morte ou a doença renal crônica. Por tudo isso, reforço minha opinião de contrariedade com essa não aprovação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Sem dúvida o tratamento é caro. Mas sem dúvida que o MS tem meios de reduzir esses custo. Já vimos isso com outras doenças.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A paciente necessita dessa medicacao para viver. Direito de todo ser humano. 2ª - Sim, Paciente jovem, com filho para criar. Muito bem fundamentada a necessidade da medicacao. 3ª - Sim, Muito bem fundamentada! 4ª - Sim, A vida não tem preço. 5ª - Não	
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A paciente precisa da medicacao para viver. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, A vida não tem preço 5ª - Não	
26/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esse remédio é essencial para a vida desses pacientes que tem uma doença rara. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/07/2019	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
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa é uma doença rara e a vida das pessoas não tem preço!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/07/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É o medicamento de escolha pra o tratamento de doenças raras que DEVE ser incorporado ao tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculizumab é o único tratamento eficaz para os pacientes portadores da SHUa. Sendo assim, Ainda que seja uma condição rara, aqueles que são portadores não podem em hipótese alguma ficarem descobertos desse tratamento. Não existe preço que seja maior e mais importante que a vida de um ser humano.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente porque a vida do paciente portador dessa síndrome rara depende totalmente desse medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente porque a vida do paciente portador dessa síndrome rara depende totalmente desse medicamento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um medicamento essencial para a vida desses pacientes. Não se pode colocar um preço na vida de alguém! 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há um medicamento com eficiência comprovada e várias pessoas com a síndrome, com risco de morte se não utilizarem o medicamento . 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O acesso à saúde é um direito do cidadão. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A vida de muitos pacientes dependem dessa medicação 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, Mediação muito cara que a maioria da populacao não tem condições de pagar 5ª - Não	
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação essencial para a sobrevida dessa doença raríssima (SHUa), com poucos efeitos colaterais. Como medida de desespero, um paciente necessitaria de hemodiálise e transfusões sanguíneas frequentes para remediar os efeitos da anemia microangiopatica e da insuficiência renal, piorando mais ainda a morbimortalidade em decorrência da doença. Mesmo sendo de alto custo, o SUS precisa arcar com a medicação para garantir sobrevida a esses doentes e cumprir o seu dever de garantir saúde aos constituintes. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um medicamento essencial para a vida destes pacientes. É uma doença rara e que tem poucos efeitos colaterais e não podemos colocar um preço na vida de ninguém</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Conheço duas pessoas que tiveram sua função renal estabilizada totalmente com o uso de Eculizumab e que tinham o diagnóstico real de SHUa!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Entendo que o uso do Eculizumab evita o transplante renal.</p> <p>5ª - Não</p>	
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esse medicamento trás a possibilidade de vida que muitos brasileiros estão vendo não ter mais opções. Como enfermeira vivo diariamente a luta de cada paciente que anseia por VIVER.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é essencial e seu valor é inacessível à população.</p> <p>2ª - Sim, Medicação eficaz e de poucos efeitos colaterais.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Muitos pacientes que possuem a doença não tem condições financeiras de arcar com o tratamento, e sem o mesmo, o que fazer aguardar até o óbito? Se é um medicamento importante para o tratamento o SUS deve oferecer para estes pacientes que não tem como comprar.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Será que a vida de uma pessoa tem que ter preço para ser considerada importante</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Ciente de que o eculizumabe é o tratamento eficaz da SHU atípica não há como aceitar a não aprovação. Mesmo ciente do alto custo, como médica que lida com doentes graves e viáveis, como a maioria dos que necessitam de droga, sou favorável a aprovação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Impossível uma pessoa ter condições de fazer esse tratamento sem ajuda financeira Federal/ Estado</p> <p>5ª - Não</p>	
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É direito de todos a vida, o estado deve fornecer esse medicamento tão essencial para quem precisa!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É uma medicação essencial para esse tipo de síndrome rara, a vida não tem preço</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicamento essencial para vida de portadores da SHUa, uma doença rara mas pode ser tratada com esse medicamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O medicamento existe para salvar vidas e a renda brasileira não condiz com o valor cobrado pela droga, então, como pagamos um dos maiores impostos do MUNDO, o governo tem o dever de ajudar os menos favorecidos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O custeio do medicamento pelo paciente é inviável, impossibilitando o tratamento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A SHU atípica é uma doença rara e com tratamento gold standars muito caro e inacessível para a maior parte da população. A vida nao pode ter preço 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa medicação é muito importante para muitas pessoas, essa decisão deve ser reavaliada. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
27/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não podemos estipular um a valor para vida de ninguém. Isso é um absurdo. Muitas pessoas vão morrer sem este medicamento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pelo que sei, não é um medicamento acessível, não se pode ir na farmácia mas próxima comprar, mesmo que fosse um medicamento financeiramente acessível para as pessoas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Saúde é um direito universal. Não deve-se colocar um preço na vida de ninguém. Por isso, qualquer tratamento que possa curar ou trazer melhora na qualidade de vida de um paciente deve ser totalmente oferecido pelo nosso sistema de saúde.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Se é o unico tratamento possivel da doença e o estado diz proporcionar saude universal aos pacientes, nao é justo que alguem morra por falta dessa medicacao.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esse medicamento é essencial para o tratamento dos pacientes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação indispensável para o tratamento e sobre vida de pacientes, com poucos efeitos colaterais.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Uma medicação com preço exorbitante, que inviabiliza que portadores dessas doenças raras , síndrome hemolítica uremica e hemoglobinúria paroxística noturna, tenham chance de ter um tratamento, sendo que as duas doenças são raras, porém graves e com alta morbimortalidade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é essencial para a vida destes pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
27/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
27/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é de suma importância para esses pacientes que são portadores de uma doença rara e necessitam de tratamento para sobreviver . 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
27/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
27/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Saúde para TODOS sem distinção, princípios do SUS!!!!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A preliminar não favorável à liberação de tal medicação, vai contra os princípios básicos do SUS. Considerando que tal medicação é tão cara e primordial a vida daqueles que dela necessitam. E contra a constituição, todos temos direito a vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Se esse é o tratamento indicado, é dever do Estado fornecer o medicamento, independente do valor. É uma vida, no caso, jovem que necessita sob risco de óbito.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Ter um remédio com poucos efeitos colaterais e efetivo para o tratamento de uma doença grave é imprescindível.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa medicacao é crucial para que os pacientes sobrevivam</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trata-se de uma patologia com risco de complicações graves até mesmo óbito se não tratada e que responde satisfatoriamente a terapia com eculizumabe evitando o desfecho clínico desfavorável. Porém seu alto custo impede o acesso ao tratamento para a maioria de nossa população.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trata-se de uma patologia com risco de complicações graves até mesmo óbito se não tratada e que responde satisfatoriamente a terapia com eculizumabe evitando o desfecho clínico desfavorável. Porém seu alto custo impede o acesso ao tratamento para a maioria de nossa população.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A decisão de não incorporação do eculizumabe para pacientes com Síndrome hemolítica uremica atípica atinge em cheio diversos pacientes desta rara doença. Vemos no dia dia a luta destes pacientes para obter por meio judicial a medicação. Muitos conseguem rapidamente, no entanto, alguns processos são mais lentos e o paciente fica sem a possibilidade de fazer a medicação. AO eculizumabe mudou a evolução clínica dos pacientes com SHUa. Antes dele, praticamente todos os pacientes evoluíam para doença renal crônica, com necessidade de terapia renal substitutiva. O tratamento padrão, que era a plasmaterapia, conseguia tratar bem os sintomas hematológicos, no entanto tem pouco ou nenhum efeito sobre a lesão renal. Após a introdução do eculizumabe vemos uma resposta considerável, com recuperação de função renal e vitalidade de dialise/transplante. Mesmo pacientes já transplantados e que desenvolviam doença no rim enxertado, o eculizumabe protege a função no novo rim. Com relação a questão dos efeitos adversos. Poucos são realmente vistos na prática. Em geral é um medicamento muito bem tolerado pelos pacientes. O aumento de suscetibilidade a infecção por meningococo é facilmente resolvido com a vacinação e com antibioticoprofilaxia, o que não impede o uso do eculizumabe nem gera muitos impactos na vida do paciente (ao contrário da DRC com necessidade de terapia renal substitutiva).O impacto econômico é uma questão complexa. Sim, o medicamento é caro, no entanto, a doença leva a impactos socioeconômicos elevados para o SUS, pois quase que na totalidade dos pacientes evolui para lesão renal crônica (diretos, como necessidade de medicamentos de alto custo, gastos com dialise e transplante, além de internações, e indiretos, como aposentadoria precoce), o que é reduzido com o uso do medicamento. Concluindo, é um medicamento eficaz para a doença, poucos efeitos adversos, não há outras terapias disponíveis e possui impacto econômico questionável quando comparado aos gastos que o paciente sem o medicamento também gera. Minha opinião é pela inclusão do eculizumabe ao SUS para pacientes com Síndrome hemolítico-uremica atípica.</p> <p>2ª - Sim, Infelizmente não temos, como dito no relatório da CONITEC, ensaios clínicos randomizado. No entanto, isso se deve as características da doença. Por ser uma doença rara, é difícil realizar um estudo do tipo. Além disso, com a comprovada superioridade a outras terapias, seria desumano manter um paciente em tratamentos inferiores para comprovar que o eculizumabe é eficaz. Neste artigo do NEJM (https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1208981) vemos que há sim eficácia do eculizumab para pacientes com SHUa.Neste outro artigo (https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5854840/#__ffn_sectitle), do Korean Journal of Pediatrics, vemos diversas evidências de que o medicamento é eficaz e deve ser iniciado o quanto antes para evitar os desfechos renais.Concluindo, vemos que há evidências científicas para o uso do medicamento para SHUa.</p> <p>3ª - Sim, Como dito anteriormente, o Impacto econômico é avaliado por si só no relatório.Não foi considerado que este paciente, em uso do eculizumabe, tem maior chance de recuperar função renal e deixa de dar diversos gastos ao SUS, como os abaixo listados.- Medicamentos: eritropoietina, ferro injetável, imunossupressores diversos para pacientes transplantados.- Gastos com internações- Gastos com procedimentos e cirurgias relacionadas a terapia renal substitutiva (colocação de cateter de hemodiálise, cirurgias para fistulas arteriovenosas, cirurgia para colocação de cateter de Tenckhoff, gastos e cirurgia para</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>transplante renal. Além destes gastos diretos, temos os gastos indiretos, como faltas ao trabalho e aposentadoria precoce, onerando o já tão onerado sistema previdenciário.</p> <p>4ª - Sim, Muito paciente já levam a estes gastos, pois grande parte acaba conseguindo a medicação por meio judicial. Temos visto que o entendimento do STF é de conceder o medicamento aos pacientes. Isso leva a gastos não previstos pelo governo federal e ministério da Saúde. Com a incorporação, os gastos serão previstos, facilitando a organização orçamentária.</p> <p>5ª - Sim, Não podemos colocar um preço na saúde. São poucos os pacientes com SHUa, é uma doença rara, mas cada um desses pacientes tem sua individualidade. Não incorporar o medicamento ao SUS, um medicamento comprovadamente eficaz, com evidências científicas e amplamente recomendado em diversos países (inclusive disponibilizado gratuitamente em diversos países), uma atitude que vai contra os princípios do SUS. O SUS deve atender a todos de forma UNIVERSAL, deve ser INTEGRAL no seu atendimento e deve respeitar a EQUIDADE, pois pacientes diferentes devem ser tratados de forma diferente, como é neste caso. Se o SUS dá o direito a vida a pacientes sem esta doença, ou com outras doenças, deve também por EQUIDADE, dar este direito a pacientes com SHUa, mesmo que os gastos sejam altos.</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um medicamento essencial para a vida de muitos pacientes. Contem poucos efeitos colaterais e ótimos resultados.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculuzumabi é um medicamento importantíssimo para os pacientes que necessitam, pois salva a vida de muitas pessoas e tem poucos efeitos colaterais. Sem ele muitas pessoas vão morrer! A vida dos pacientes não podem ter um preço!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação em questão é essencial ao tratamento de quem sofre da moléstia em questão, o que o torna um medicamento ímpar. Assim sendo, e direito de quem precisa ser tratado, ter acesso rápido e efetivo ao medicamento, otimizando a resposta terapêutica e a recuperação do paciente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O imunobiológico em questão é essencial no tratamento da SHU atípica, que embora seja rara tem alto risco de morbi-mortalidade, o que torna o tratamento adequado imprescindível</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O impacto orçamentário das internações por descompensação da doença, períodos de recuperação, períodos de inatividade (com risco de afastamento pelo INSS), é maior que o impacto do fornecimento da medicação.</p> <p>5ª - Não</p>	
27/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
28/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
28/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. é um medicamento essencial para a vida destes pacientes, que é uma doença rara, que tem poucos efeitos colaterais e que não podemos colocar um preço na vida de ninguém 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
28/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Devido ser uma doença rara precisamos dessa medicação para dar qualidade de vida aos nossos amados pacientes.uma vida não há preço que pague por ela. Estamos confiantes que iremos lograr êxito nessa batalha. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
28/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
28/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esta medicação é fundamental!!!! 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicamento eficaz com poucos efeitos colaterais no controle da SHUa</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
28/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
28/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação que custa 160mil por mês e é impossível de adquirir sem ajuda do governo. Paciente depende do medicamento para sobreviver</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação proposta para tratamento de SHUa pode mudar o prognostico do paciente podendo pemanece-lo em terapia de seguimento de necessidade de dialise</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicamento carissimo e essencial para os portadores dessa doença, sem ajuda do governo as pessoas não terão chance de tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Shua leva ao dano orgânico crônico, principalmente renal, que impacta diretamente na qualidade de vida do paciente, capacidade laboral e risco de vida, que pode ser evitado com o tratamento adequado. A divulgação da doença e dos sintomas aumentaria a suspeição clínica e mais pacientes poderiam ser beneficiados com diagnóstico precoce e reversão do quadro.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Acredito que na avaliação econômica tem que ser levada em conta também os gastos referentes à necessidade de diálise, uso crônico de outros medicamentos de alto custo com eritropoetina, paricalcitol, cinacalcete, sevelamer, transplante renal e imunossupressores. A chance de perder um enxerto renal sem o uso de eculizumabe é alto.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Apesar do grande impacto orçamentário, não existem dados suficientes sobre eficácia e segurança. Por ser uma doença de baixa incidência, seriam necessários mais casos para uma avaliação mais completa, além de avaliação de casos de vida real. Vários estudos relatam melhor qualidade de vida destas pessoas, o que não pode ser desconsiderado.</p> <p>2ª - Sim, Estudo de revisão, 2019.</p> <p>3ª - Sim, Faço pesquisa com medicamentos da hepatite C e meus resultados demonstraram que, da proposta de valores dos medicamentos pela indústria (2015), até 2018, houve uma redução de 30% no que foi efetivamente pago. Negociação com a indústria e centralização das compras. o exemplo pode ser seguido em medicamentos de alto custo. O resumo do meu trabalho está disponível no site do HTAi Annual Meeting de 2019.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Este medicamento já está disponível em outros países. O Reino Unido é um exemplo, onde são bem criteriosos com a incorporação de tecnologias. Além disso, deve-se considerar o direito ao tratamento destas pessoas, a sua qualidade de vida. Diálise e transplante interferem na qualidade de vida, em custos diretos ao sistema de saúde e indiretos à sociedade.</p>	<p>Clique aqui</p>
29/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Ser restrito a centros de referência/ quaternarios</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Porque é um medicamento essencial pra vida desses pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Diversos casos de Síndrome Hemolítica Urêmica Atípica e Hemoglobinúria Paroxística Noturna, doenças de difícil manejo e prognóstico ruim, apresentam excelente resposta clínica e laboratorial com o uso do Eculizumab. O Eculizumab é eficaz e mantém remissão a longo prazo de tais patologias, evitando medidas invasivas como a plasmaferese, a qual resolve apenas parcialmente o quadro.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um medicamento essencial para a vida destes pacientes, que é uma doença rara, que tem poucos efeitos colaterais e não podemos colocar um preço na vida de ninguém.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um medicamento essencial para a vida destes pacientes, que é uma doença rara, que tem poucos efeitos colaterais e não podemos colocar um preço na vida de ninguém.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Até o momento não há alternativa terapêutica para portadores de síndrome hemolítica urêmica atípica</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/07/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Eculizumabe única droga aprovada e comprovada cientificamente para o tratamento da Shua</p> <p>3ª - Sim, Redução de custos diretos e indiretos causados pela. Morbimortalidade causada pela Shua Redução do impacto social e laboral causado pela patologia</p> <p>4ª - Sim, SHUA DOENÇA diagnosticada clínica e laboratorial mente, sendo que os pacientes diagnosticados de maneira correta - redução dos custos para ministério da saude</p> <p>5ª - Não</p>	
30/07/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É necessário o medicamento Eculizumabe para tratamento da Shua pela alta morbidade e mortalidade causados por esta patologia. Há pacientes que acabam perdendo o transplante renal devido a falta do medicamento, visto que a doença de base - Shua, não está sendo tratada. Existem as lesões sistêmicas em vários órgãos provocadas por esta patologia de maneira devastadora.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Redução dos custos hospitalares, de forma direta e indireta. Os danos provocados pela patologia faz com que haja perda de transplante renal, internações, impacto na vida social e psicológica dos pacientes. A inclusão deste medicamento no Ministério da Saúde, além de promover a qualidade de vida e redução dos danos causados pela Shua, extremamente importante a análise da inclusão do Eculizumabe, no intuito de reduzir os custos provocados pela doença ao sistema de Saude</p> <p>4ª - Sim, Extremamente importante a análise da inclusão do Eculizumabe, no intuito de reduzir os custos provocados pela doença ao sistema de Saude. Paciente certo, diagnosticado de maneira correta com o tratamento adequado</p> <p>5ª - Sim, Os pacientes com doença rara, principalmente SHUa sofrem muito pelos sinais e sintomas da patologia. Ao descobrir a doença, o paciente fica abalado pelos sintomas, pelo lado psicologico de que não uma droga disponvível de maneira mais facilitada para o tratamento</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Doença Rara como Shua necessita da inclusão do Eculizumabe no Ministério da Saude, devido a alta mortalidade e morbidade, além da redução da qualidade de vida. Importante analisar todos os estudos científicos, que comprovam a eficácia do tratamento do Eculizumabe na SHua</p>	
30/07/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Importancia do registro global de Shua. Não necessario um estudo controlado com placebo, pois os pacientes com SHUa sofrem com os sintomas da doença - que provoca alta mortalidade e morbidade. A comprovação da segurança e eficacia do Eculizumabe estao comprovados em diversos estudos e na vida real. Importante lembrar que o numero de pacientes com doença rara para se realizar qualquer tipo de estudo ,é um numero pequeno. Ref: Shaefer 2018 / Socie 2019 /Mene 2019</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Nao existe uma metodologia para analise de custo efetividade ate o momento. Ocorre redução de custos diretos e indiretos com a inclusão do eculizumabe no sistema de saude</p> <p>5ª - Não</p>	
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esse medicamento é essencial para a vida de muitos pacientes!!!!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. É uma doença rara,e tem pessoas que depende desse medicamento para sobreviver.viver não tem preço.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. É uma doença rara, e tem pessoas que dependem desse medicamento para sobreviver. viver não tem preço.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Importante o tratamento da Shua pelas lesões sistêmicas, agravamento da doença renal. Paciente tem benefícios clínicos com o tratamento contínuo</p> <p>2ª - Sim, Vários artigos científicos que relatam o benefício do tratamento independente da idade, população pediatria e adulta</p> <p>3ª - Sim, importante a inclusão do medicamento do ministério da saúde apesar de ser um número pequeno de pacientes com essa doença rara. Quando diagnosticado de maneira correta é um número pequeno de pacientes, porém paciente tem benefícios na sua vida.</p> <p>4ª - Sim, Quando tem uma excelente avaliação para o paciente diagnosticado com Schua, e tem um tratamento adequado o paciente não apresenta lesões sistêmicas. O paciente não precisa ficar internado assim reduzindo os custos ao sistema de saúde (SUS).</p> <p>5ª - Sim, De modo geral todos os pacientes se beneficiam do Eculizumab, conforme citado acima conforme as referências. Muitos pacientes perderam a função renal por falta de diagnóstico e nestes casos o paciente fica livre das sessões de hemodialise.</p>	
30/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O soliris é um medicamento essencial para manutenção das vidas desses pacientes além de possuir poucos efeitos adversos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Ao revisar a literatura medica disponível atual sobre o tema o tratamento com Eculizumab emerge como unica terapia comprovada para tratamento de casos de síndrome hemolítico urêmica atípica, logo, urge a liberação do mesmo para o tratamento dos pacientes com tal patologia.Referencia: Laurence 2016</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/07/2019	Paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo totalmente da recomendação da CONITEC. O direito a vida é um direito fundamental de todo ser humano, incluindo pessoas com uma doença rara. Estes devem ser protegidos pelo Estado. O Sistema Único de Saúde deve sim ser responsável pelo tratamento desta doença. Sem este tratamento, a evolução natural é a doença renal crônica com necessidade de terapia renal substitutiva e até a morte em possíveis agudizações , que são comuns na ausência do medicamento. O remédio é salvador para centenas de pessoas que vivem na agonia da morte iminente.</p> <p>2ª - Sim, Existem diversos artigos científicos que mostram evidências de resposta favorável do eculizumabe para pessoas com síndrome Hemolítico-urêmica atípica, tanto adultos quanto crianças. A inexistência de estudos randomizados se da pelo número reduzido de casos em nosso meio, por se tratar de uma doença extremamente rara. No entanto, diversos outros estudos e metanalises mostram a eficácia do eculizumabe no tratamento da SHUA, com resposta significativa na recuperação da função renal, na interrupção de hemolise e na manutenção do paciente evitando novas crises.</p> <p>3ª - Sim, O custo deste medicamento não pode ser um fator determinante para definir se o medicamento deve ou não ser incorporado. Todos tem direito a vida, incluindo pacientes portadores festa doença. Cabe ao SUS fornecer o tratamento para que essa vida seja garantida. Além disso, são poucos os casos no Brasil, o que não impacta tanto economicamente. No entanto, a falta do medicamento Par a um paciente com SHUa pode determinar o fim de sua vida.</p> <p>4ª - Sim, Considerando que muitos pacientes com SHUa tem fornecimento do medicamento através de judicialização, algo que impede uma organização orçamentária do SUS, a incorporação do medicamento vem para auxiliar nesta organização orçamentária, permitindo uma maior noção de quem tem necessidade do medicamento.</p> <p>5ª - Sim, É importante deixar claro que pacientes com SHUa não dispõe de outros medicamento que impedem novas crises e que tratem e evitem evolução para eventos mórbidos. Plasmaterapia, corticoterapia, anticoagulação, antiagregantes plaquetarios, todos estes foram testados e falharam na terapia. A demora nos processos judiciais é um suplício para os pacientes. Muitos evoluem para doença renal crônica e acabam tendo que ser submetidos a hemodiálise e transplante renal, o que pode ser evitado com o início rápido do eculizumabe.</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/07/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A IMPORTANCIA DO TRATAMENTO DA DOENÇA RARA SHUA PELA ALTA MORBIDADE E MORTALIDADE - DISFUNÇÃO RENAL - PACIENTES PARA HEMODIALISEACOMETE TODAS AS FAIXAS ETARIAS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O PACIENTE SENDO DIAGNOSTICADO CORRETAMENTE DA DOENÇA - AVALIAÇÃO CLINICA E RESULTADO DE EXAMES LABORATORIAIS - EVITA-SE INTERNAÇÕES, MORBIDADES COM DIMINUIÇÃO DOS CUSTOS PARA OS GESTORES</p> <p>5ª - Sim, DIMINUIÇÃO DO IMPACTO SOCIAL COM MELHORIA DE QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES QUANDO ENCONTRA-SE DISPONIVEL PARA OS PACIENTES O TRATAMENTO ADEQUADO PARA ESTA CONDIÇÃO RARA</p>	
30/07/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tivemos vários paciente com SHUa que utilizaram o medicamento e apresentaram melhora;Precisa facilitar o acesso ao paciente Raro para que ele tenha uma melhora qualidade de vida, menos morbi-mortalidade;O impacto do paciente não ser tratado é maior aos cofres publicos pois esse paciente não poderá ser produtivo ficará refém de hemodialise, apresentar lesões sistemicas que é muito oneroso aos estados e município.</p> <p>2ª - Sim, FDA E EMA já aprovaram o medicamento após os estudo. Acho injusto o fato de que poucos pacientes possuírem a doença obriga esse paciente a sofrer sem tratamento e até mesmo o risco de morte.O benefício da droga já foi comprovado não havendo necessidade de estudo comparativo.Existe um registro global de SHUa de extensão d elongo prazo que beneficiam o tratamento.Exemplos -Schaefer 2018-Siedlecki 2018-Menne 2019+</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, a analise de custo pela CONITEC não tem uma metodologia para avaliar o impacto da Doença Rara e e não tem nenhum outro comparador que trate a base dessa doença e mesmo pacientes que fazem plasmnaferese e apresentam melhora podem desenvolver Doença Renal Crônica e levar a morte e nem todos lugares possuem plasmaferese.</p> <p>5ª - Sim, Os Centro de Doenças Raras são de suma importância para o atendimento humano do paveciente porém para isso temos que ter acesso ao medicamento através de PCDTs.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/07/2019	Secretaria Municipal de Saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tivemos vários paciente com SHUa que utilizaram o medicamento e apresentaram melhora;Precisa facilitar o acesso ao paciente Raro para que ele tenha uma melhora qualidade de vida, menos morbi-mortalidade;O impacto do paciente não ser tratado é maior aos cofres publicos pois esse paciente não poderá ser produtivo ficará refém de hemodialise, apresentar lesões sistemicas que é muito oneroso aos estados e município.</p> <p>2ª - Sim, Dioversos artigos científico trazem a eficácia do tratamento para os pacientes acometidos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Não existe uma metodologia especifica pelo CONITEC que traga os custos com aas doenças raras mas sabemos que o custo de não tratar a doença de base são altissimos aos cofres publicos visto que a hemodialise é um procedimento muito caro.Há dificuldades também de acesso a plasmaferese</p> <p>5ª - Sim, A importância d eter o medicamento disponível para doença Rara como SHUa ele traz eficácia e segurança , são mais de 10 anos de acompanhamento que vários eventos adversos não são relacionados ao medicamento.Existem vários relatos de casos e estudos restropectivos e excelentes resultados forma demonstrados em diferentes faixas etáreas, e muito dos pacientes que fazem TX Renal e perdem o enxerto e por doença de base não determinada por isso a importância de tratar a doença de base.*A doença de Base indeterminada pode ser a SHUa e o tratamento precoce que pode recuperar a função renal e frazer o paciente ficar livre de hemodiálise.</p>	
30/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicamente essencial para a sobrevida do Paciente grandes efeitos colaterais e com alta taxa de sucesso terapêutico.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Esse medicamento é essencial para que se determine a vida de uma pesso, sendo assim sugiro seguirmos o artigo V da constituição.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/07/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. medicamento essencial para a vida destes pacientes, que é uma doença rara, que tem poucos efeitos colaterais e que não podemos colocar um preço na vida de ninguém</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, tive um paciente com SHUa que estava em dialise peritoneal após inicio da medicação teve recuperação ão da função renal.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	
30/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É a única medicação comprovadamente eficaz o tratamento dessa doença grave. Tem custo muito elevado e por isso merece protocolos bem definidos para o tratamento, mas sem sombra de dúvida é a salvação para os pacientes com essa condição.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/07/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trata-se de uma doença rara, com tratamento disponível na comunidade científica. A vida humana não tem preço e o acesso ao SUS é universal. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo parcialmente da recomendação preliminar. Entendemos que devido a raridade da prevalência da doença será impossível realizar um estudo de fase III ou ate mesmo mesmo um estudo randomizado e controlado, pois talvez envolvam questões éticas na não utilização da medicação no grupo controle . Mas quero deixar minha sugestão para a possibilidade de alguns pacientes que apresentam casos recorrentes da doença, inclusive com perdas de enxertos renais e /ou que apresentem as mutações associadas a maior gravidade como Fator H e receptor de Fator H , ou ainda mutações menos prevalentes mas com antecedentes de quadros graves com risco de vida e associadas a perdas do transplante renal (mutações Fator I, C3 e MCP) possam ter a oportunidade de poder usar a medicação, pois nesses casos o beneficio da sobrevida do paciente e do enxerto são bem evidentes , alem de apresentarem taxas elevadas de recorrência da doença >80%. Assim sugiro a disponibilização de realizar a pesquisa de mutações para casos específicos : casos recorrentes e casos graves que geraram risco de vida para tentar confirmar a presença ou não de uma mutação d maior gravidade com Fator H e de seu receptor.</p> <p>2ª - Sim, Entendemos que devido a raridade da prevalência da doença será impossível realizar um estudo de fase III ou ate mesmo mesmo um estudo randomizado e controlado, pois talvez envolvam questões éticas na não utilização da medicação no grupo controle . Mas quero deixar minha sugestão para a possibilidade de alguns pacientes que apresentam casos recorrentes da doença, inclusive com perdas de enxertos renais e /ou que apresentem as mutações associadas a maior gravidade como Fator H e receptor de Fator H , ou ainda mutações menos prevalentes mas com antecedentes de quadros graves com risco de vida e associadas a perdas do transplante renal (mutações Fator I, C3 e MCP) possam ter a oportunidade de poder usar a medicação, pois nesses casos o beneficio da sobrevida do paciente e do enxerto são bem evidentes , alem de apresentarem taxas elevadas de recorrência da doença >80%. Assim sugiro a disponibilização de realizar a pesquisa de mutações para casos específicos : casos recorrentes e casos graves que geraram risco de vida para tentar confirmar a presença ou não de uma mutação d maior gravidade com Fator H e de seu receptor.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Sabemos do impacte orçamentário e por isso defendo a pesquisa d mutação para casos graves com risco de vida ou recorrentes e a manutenção da medicação em casos confirmados da mutação de Fator H e receptor de fator H.</p> <p>5ª - Sim, Entendemos que devido a raridade da prevalência da doença será impossível realizar um estudo de fase III ou ate mesmo mesmo um estudo randomizado e controlado, pois talvez envolvam questões éticas na não utilização da medicação no grupo controle . Mas quero deixar minha sugestão para a possibilidade de alguns pacientes que apresentam casos recorrentes da doença, inclusive com perdas de enxertos renais e /ou que apresentem as mutações associadas a maior gravidade como Fator H e receptor de Fator H , ou ainda mutações menos prevalentes mas com antecedentes de quadros graves com risco de vida e associadas a perdas do transplante renal (mutações Fator I, C3 e MCP) possam ter a oportunidade de poder usar a medicação, pois nesses casos o beneficio da sobrevida do paciente e do enxerto são bem evidentes , alem de apresentarem taxas elevadas de recorrência da doença >80%. Assim sugiro a disponibilização de realizar a pesquisa de mutações para casos específicos : casos recorrentes e casos graves que geraram risco de vida</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		para tentar confirmar a presença ou não de uma mutação d maior gravidade com Fator H e de seu receptor.	
31/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Estudar doenças raras é muito difícil, pois o número de casos nos trabalhos será sempre muito pequeno. Já tive oportunidade de fazer diagnóstico de SHUA em 5 crianças, sendo uma pós transplante renal. Os outros 4 pacientes chegaram ao hospital criticamente enfermos, gravíssimos, com necessidade de múltiplas transfusões e de diálise. Os 4 recuperaram a função renal e conseguiram sair do quadro crítico, após a segunda dose da medicação. O diagnóstico desta patologia nem sempre é fácil, mas o tratamento adequado faz a diferença entre sobrevivência e mortalidade. O paciente transplantado ficou alguns meses sem a medicação e já apresentou piora da função renal, que se recuperou após o retorno do tratamento. Vários estudos com uso de eculizumabe mostraram eficácia e segurança com o uso da medicação, assim como melhora hematológica e da função renal, com altas taxas de descontinuação de terapia renal substitutiva.</p> <p>3ª - Sim, É muito difícil definir valores aceitáveis quando se trata de salvar vidas. Alternativas de tratamento, como plasmaferese, além de pouco acessíveis (nem todos os centros possuem), também tem custo elevado e não tem impacto significativo na melhora da função renal.</p> <p>4ª - Sim, Embora o tratamento dialítico seja mais barato, quando comparado ao tratamento com eculizumabe, não há como comparar a qualidade de vida de pacientes em diálise, com pacientes sem diálise. A doença renal crônica traz um grande impacto, seja por reduzir a produtividade do paciente, por dificuldade de encontrar emprego ou frequentar a escola, no caso das crianças, seja pelo número de comorbidades, cardiovasculares, infecciosas, ósseo minerais, anemia. O número de internações, outros tratamentos necessários, como eritropoetina, quelantes de fósforo, por exemplo, não estão contabilizados no relatório. Deve ainda levar em conta que, no caso do tratamento com eculizumabe não ser realizado, os pacientes com SHUa tem risco constante de desenvolver microangiopatias trombóticas, que podem ocasionar, AVC, IAM, Lesão renal aguda, complicações na gestação, entre outros.</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/07/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Importante ter um medicamento para doença SHua, devido alta mortalidade provocado pela doença, morbidade e alteração na qualidade de vida do paciente. É uma doença que não atinge somente o sistema renal mas provoca lesões sistêmicas que podem levar a morte como por exemplo: sintomas neurológicos, confusões, AVC, comprometimento renal podendo levar o paciente para hemodiálise, alteração da hipertensão arterial, sintomas cardiovasculares como infarto, estenose, sintomas pulmonares, dispnéia, edema e mesmo sintomas oculares como dor, visão borrada, hemorragia ocular. Pacientes que realizam o transplante e possui a doença determina SHua, perderam o enxerto se não houver o medicamento para ser utilizado no tratamento do SHua.</p> <p>2ª - Sim, Diversos artigos científicos que comprovam a eficácia e segurança do eculizumabe no tratamento da SHUa. Existem um registro global de Shua que reafirma tal eficácia e segurança do medicamento. *** Schaeffer,2019*** Licht</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Analise de custo e efetividade de doença rara fica muito complicada pois não tem uma metodologia definida, o importante que os pacientes diagnosticado de forma correta com tratamento adequado serão beneficiados com a melhora dos sintomas clínicos, melhora de qualidade de vida, não ocorrerá internações hospitalares. Ou seja, a redução de custos diretos e indiretos para o sistema de saúde, quando há disponibilidade e um acesso mais rápido de como um exemplo eculizumabe para o tratamento da Shua.</p> <p>5ª - Sim, A fundação Pró Rim se preocupa com os pacientes com doença rara principalmente com a doença Shua, e a pesquisa clínica e equipe multidisciplinar buscam realizar o diagnóstico de Shua de maneira precoce, no entanto não se tem a disponibilidade do medicamento para os pacientes.</p>	
31/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Sou a Favor da Vida e uma Vida não Tem Preço!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/07/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Síndrome Hemolítica Uremica atípica (SHUa) é uma doença que afeta crianças e adultos, levando a doença renal terminal crônica, lesões sistêmicas afetando todos os órgãos vitais - com complicações fatais por ser uma doença que leva a uma lesão endotelial; observando-se sintomas neurológicos, comprometimento renal, sintomas gastrointestinais, sintomas cardiovasculares, sintomas pulmonares e sintomas visuais. Patologia que leva a uma desordem do sistema complemento, resultando em anemia hemolítica microangiopática. Extremamente importante que haja um medicamento como Eculizumabe para o tratamento de uma doença rara como a SHUa. Relevante a análise de incorporação do Eculizumabe no Ministério da Saúde, e facilitar a sua disponibilidade e acesso, aos pacientes que sofrem, quando diagnosticados com esta patologia.</p> <p>2ª - Sim, Os artigos científicos comprovam a eficácia e segurança do Eculizumabe no tratamento da SHUa. O início do tratamento de maneira precoce favorece a melhor resposta do medicamento. O diagnóstico de SHUa é clínico e laboratorial; excluindo outras patologias que possam levar à Microangiopatia Trombótica</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Uma doença rara possui um número pequeno de pacientes, quando comparado às outras patologias. Por isto a dificuldade de se realizar estudos, análises de questões farmacoeconômicas e custo efetividade. O importante que ao tratar o paciente, reduzindo o número de internações / UTI / todos os custos diretos e indiretos envolvidos serão reduzidos, além de oferecer uma nova vida ao paciente.</p> <p>5ª - Sim, Eculizumabe é uma droga aprovada pela Anvisa, FDA e EMEA, pois foram comprovadas a sua segurança e eficácia no tratamento de uma doença que apresenta uma alta taxa de morbidade e mortalidade. SHUa é uma doença genética e imprevisível, e os pacientes podem ir a óbito ou progredirem para uma doença renal terminal crônica. Muitos pacientes que são transplantados perdem o enxerto devido à presença da SHUa, sendo que o início de tratamento de maneira precoce em pacientes transplantados e que são diagnosticados com SHUa, há uma melhora da recuperação da função renal Artigos Legendre 2017 Siedlecki 2018 Goodship 2018</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/07/2019	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O ministerio da Saude deve analisar a aquisição do Eculizumabe, pois a Síndrome Hemolítica Uremica Atípica, é uma doença que provoca dano endotelial, lesões sistêmicas e comprometimento ou perda da função renal. O paciente apresenta uma Trombocitopenia e Hemólise Microangiopática e acometimento de diversos órgãos vitais: AVC, pressão arterial elevada, sintomas gastrointestinais, infarto ou estenose arterial, dispnéia e edema pulmonar e sintomas visuais (hemorragia ocular/visão borrada)</p> <p>2ª - Sim, A medicina baseada em evidências, artigos científicos e o conhecimento do diagnóstico diferencial da SHUa; evidenciam o benefício do uso do Eculizumabe no tratamento da Síndrome Hemolítica Uremica Atípica. Os órgãos regulatórios tanto no Brasil como em outros Países, aprovaram o medicamento, e foram confirmadas, através de diversos estudos a sua segurança e eficácia. Registro Global de SHUa, estudos de extensão a longo prazo; além da vivência e acompanhamento dos pacientes que foram diagnosticados com SHUa, e ao serem tratados, apresentaram melhora dos sintomas clínicos, resultados laboratoriais e qualidade de vida. Pela gravidade da doença, melhora dos sintomas com Eculizumabe, não se torna necessário realizar estudos com controle de placebo - Os pacientes estão sob risco de morte, devido à alta taxa de mortalidade apresentada pela Doença. ** Shaefer 2018 ** Siedlecki 2018 ** Fakhouri 2018</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Fica complicado o estudo da farmacoeconomia, custo efetividade, custo utilidade; em doenças raras; e como exemplo a SHUa, pois não há uma metodologia específica que avalia o impacto em doenças raras. Em muitos locais é difícil o acesso à plasmáfereze e somente centros especializados podem realizar. O importante é que ao possibilitar o acesso de um medicamento como Eculizumabe para uma doença que apresenta uma alta taxa de mortalidade e morbidade; evita-se que os pacientes sofram com os sintomas, fiquem internados nos hospitais, UTI, apresentando assim um alto custo ao sistema de saúde.</p> <p>5ª - Sim, Importante reforçar que diversos artigos comprovam a eficácia e segurança do Eculizumabe no tratamento da Shua. O paciente diagnosticado e tratado de maneira precoce apresenta melhores resultados. A doença atinge qualquer faixa etária; e são visíveis os benefícios clínicos, a melhora dos parâmetros hematológicos e renais com o tratamento da SHUa com Eculizumabe. A facilidade de acesso ao Eculizumabe no tratamento de uma doença no qual, mais de 70% dos pacientes com SHUa estão em risco de Doença Renal crônica terminal e morte* Laurence 2016 ** Azoulay 2017</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/07/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Muitas doenças raras necessitam de medicamento para que a doença seja tratada. O Eculizumabe deve estar disponível para que muitos pacientes sejam tratados e tenham vida normal, com qualidade e saúde</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Acredito que seja possível, o Ministério da saúde reavaliar os seus conceitos sobre doença rara como a SHUa, e disponibilizar o medicamento para os pacientes que são diagnosticados com esta patologia</p>	
31/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como profissional de saúde, observo o quanto os pacientes com doença rara, sofrem sem ter acesso aos medicamentos. O Eculizumabe deve estar disponível e fácil acesso aos pacientes com a doença SHUa. Patologia que apresenta alta taxa de mortalidade</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Que o ministério da saúde, possa reanalisar o pedido de incorporação do Eculizumabe no tratamento da SHUA. Pacientes precisam ter acesso aos melhores tratamentos, e assim ficarem livres dos sintomas da doença, e apresentarem uma melhor qualidade de vida</p>	
31/07/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Importante ter o conhecimento da patologia Shua, saber a gravidade desta doença, a alta taxa de mortalidade e todas consequências fatais e destruidoras da Microangiopatia Trombótica mediada pelo complemento na SHUa. Praticamente 80% dos pacientes morrem, necessitam de diálise ou terão lesão renal permanente em 03 anos. A equipe médica possui um grande desafio em diagnosticar de maneira precoce, e iniciar o tratamento com Eculizumabe.</p> <p>2ª - Sim, Os benefícios clínicos observados pelo Eculizumabe nos portadores de Shua, são demonstrados em diversos artigos científicos. Eficácia e segurança que oferece Eculizumabe no tratamento da Síndrome Hemolítica Uremica Atípica.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Os pacientes com SHUa têm risco de complicações sistêmicas, súbitas e que podem levar a morte. Como foi citado, a patologia apresenta uma alta taxa de morbimortalidade. O número de pacientes com doença rara, como exemplo Shua são internados muitas vezes nos hospitais, utilizam UTI, e com gastos ao sistema de saúde, que poderiam ser evitados, com a disponibilidade e fácil acesso do Eculizumabe.</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/07/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/07/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Extremamente importante a incorporação do Eculizumabe no Ministerio da Saude, para o tratamento da Síndrome Hemolítica Uremica Atípica. Eculizumabe é o primeiro e unico tratamento indicado para adultos e crianças com SHUa. Eficácia e segurança comprovadas através dos estudos e artigos científicos, sendo que pacientes apresentaram melhora ou normalização hematologica, melhora da função renal.</p> <p>2ª - Sim, O número de pacientes com doença rara, em especial SHUa, é pequeno. Órgãos regulatórios como FDA ou mesmo Anvisa aprovaram o Eculizumabe - Medicina baseada em evidências. Importante ressaltar o registro Global de SHUa, além de estudos de extensão de longo prazo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
01/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/08/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Fundação Pro Rim se preocupa com os pacientes com doenças raras, buscando um melhor diagnóstico e melhor tratamento. O Eculizumabe deve ser incorporado no Ministério da Saúde no tratamento da SHUA.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A instituição se preocupa com o tratamento de doenças raras em pacientes renais crônicos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A incorporação da medicação é importante devido as altas taxas de mortalidades relacionadas a doença.</p>	
01/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Meu filho tem cinco anos é portador de SHUa e precisa do medicamento de forma contínua para continuar tendo uma vida plena e saudável!!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O SUS, como sistema Único de saúde para os Brasileiros, deve fornecer a população todos os recursos necessários para a melhora da saúde e da qualidade de vida, principalmente nesse aspecto, quando se trata de uma medicação Vital e que nenhuma pessoa tem condições de arcar com os custos para sua manutenção.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Maiores verbas governamentais devem ser destinadas a arcar com os gastos da Saúde do país, a qual deve ser uma prioridade em qualquer lugar.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Por ser tratar de doença rara, o número da amostra dos estudos são limitados.</p> <p>3ª - Sim, Dificil quantificar porém gastos com UTI e outras medicações durante internação devem ser contadas no custo total.</p> <p>4ª - Sim, Melhorar o tratamento dos pacientes para reduzir morbi-mortalidades e custos com complicações</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa é uma doença extremamente grave , onde a medicação salva a vida dos pa pentes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Não há outra terapia para esta patologia tão grave</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Temos pacientes que saíram de hemodiálise após uso do Eculizumabe após diagnostico de SHUa por biopsia renal. A biopsia traz muitas informações a respeito da viabilidade do rim e a maioria dos estudos nao leva em consideração a biopsia renal. Sendo bem indicado e principalmente nos casos de SHUa pos transplante renal, ha relação custo-beneficio favorável. Sem mencionar qualidade e quantidade de vida que eh infinitamente melhor e maior fora de hemodiálise.</p> <p>2ª - Sim, Nao podemos desprezar as evidencias benéficas dos artigos feitos por pesquisadores renomados somente por ter sido patrocinado pela industria, visto que em decorrência do custo seria impossível fazer de outra maneira.</p> <p>3ª - Sim, Na analise de custo nao se incluiu o gasto com hemodiálise. Vide referência em anexo.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Já existe autorização de órgãos reguladores como o FDA autorizando o uso do Eculizumab para tratamento da SHUA. Não tem como fazer estudos randomizados controlados por placebo nessa situação pois seria antiético, além do número de pacientes ser muito pequeno pela doença ser rara. Este documento deconsiderou artigos científicos importantes como Menne 2019, Shaefer 2018, Siedlecki 2018 e Socie 2019. Tenho paciente em acompanhamento com após a gravidez desenvolveu SHUA com necessidade de hemodiálise, e graças ao tratamento ter sido iniciado rapidamente, teve a função renal recuperada e saiu da necessidade de diálise. Se não tivesse sido tratada, estaria em hemodiálise até hoje. O risco de óbito, já demonstrado por evidencia científica nos pacientes sem tratamento com SHUA é de 70% em 1 ano. Existe sim, forma de diferenciar SHUA de PTT e STEC-SHUA. Além disso, os benefícios clínicos comprovados são: melhora da taxa de filtração glomerular, descontinuação da diálise e melhora da parte hematológica. Além da segurança já estar também comprovada. Existem artigos mostrando que a taxa de eventos adversos graves é pequena, e esses artigos não foram considerados no documento</p> <p>2ª - Sim, 1) Eculizumab in paroxysmal nocturnal haemoglobinuria and atypical haemolytic uraemic syndrome: 10-year pharmacovigilance analysis 2) Eculizumab prevents thrombotic microangiopathy in patients with atypical haemolytic uraemic syndrome in a long-term observational study</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
01/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eculizumabe é a única medicação com ação comprovada no tratamento da patologia</p> <p>2ª - Sim, https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/26880462</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
01/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Consideramos a importância da inclusão do eculizumab para o tratamento da Shua por ser uma patologia com alto índice de mortalidade levando a doenças sistêmicas incluindo a IRC ou até mesmo óbito.</p> <p>2ª - Sim, diversos artigos comprovam a evidência clínica</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Em considerando o cuidado individualizado do paciente acometido pela doença há significância ficando com internações alongadas em ambientes de cuidados intensivos com recursos sendo dispensado ao mesmo. A inclusão do medicamento portanto reduz os custos diretos e indiretos no tratamento.</p> <p>5ª - Sim, ver artigo</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Importancia do medicamento para tratamento da doença rara SHUa, visto que a doença leva a um alto indice de mortalidade e morbidade. As lesoes sistemicas provocadas pela patologia e lesãp renal,podem causar a perda da função renal, necessitando tratamento dialítco.</p> <p>2ª - Sim, Diversos artigos cientificos comprovam que o Eculizumabe possui eficacia e segurança no tratamento</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O custo beneficio do medicamento é adequado para a recuperação da saude dos pacientes acomentidos pela SHUa.</p> <p>5ª - Sim, Importante analisar os beneficios que o medicamento oferece. A doença rara SHUa acomete crianças e adultos, por isto o acesso facilitado ao uso do Eculizumabe, salvará muitas vidas e oferecera qualidade de vida</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/08/2019	Sociedade médica	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Sociedade Catarinense de Nefrologia solicita a inclusão do Eculizumabe no tratamento da Síndrome Hemolítica Uremica Atípica (SHUa). Uma doença devastadora que acomete crianças e adultos. Não é uma doença que afeta somente a função renal, com lesões sistêmicas causando dano a órgãos vitais. Shua leva a uma desordem do sistema complemento, resultando em anemia hemolítica microangiopática. Importante salientar que quase 80% dos pacientes morrem, necessitam de diálise ou apresentam lesão renal permanente em 03 anos. Outro dado que 33% a 40% de todos os pacientes morrem ou evoluem para doença renal terminal com a primeira manifestação clínica apesar de Plasmaférese ou infusão de Plasma (PE/PI). Reforçando que na SHUa a atividade crônica e descontrolada do complemento causa microangiopatia trombótica, a piora progressiva da função de órgãos vitais e insuficiência de múltiplos órgãos. É necessário e urgente a incorporação do Eculizumabe para o tratamento da doença rara SHUa. O diagnóstico e o tratamento de maneira adequada, e a utilização do Eculizumabe, preferencialmente de forma precoce; melhores resultados serão observados.</p> <p>2ª - Sim, Os estudos ocorrem em uma pequena população, e há uma grande variabilidade da apresentação clínica - Heterogeneidade- ao longo do curso da doença. Todos os órgãos regulatórios aprovaram o medicamento, reforçando a sua eficácia e segurança. Há um registro global de SHUa apresentando dados interessantes e relevantes para análise do Ministério da Saúde. * Shaefer 2018 * Menne 2019 Socie 2019</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Até o presente momento não há um consenso sobre a metodologia ideal ou adequada na avaliação do impacto orçamentário para a doença rara SHUa. Há limitações evidentes para análise de custo efetividade, custo utilidade e/ou análises farmacoeconômicas para esta patologia. Visto que o paciente com doença SHUa necessitará de internações hospitalares, utilização da UTI, outros medicamentos etc... Seguramente haverá redução dos custos de uma maneira geral, ocorrendo a disponibilidade e facilidade de acesso do Eculizumabe.</p> <p>5ª - Sim, SHUa é uma doença genética crônica e imprevisível, e os pacientes estão em risco de sofrer as consequências da microangiopatia trombótica. Como foi citado acomete pacientes adultos e pediátricos; o estudo cita que 17% dos pacientes pediátricos progrediram para doença renal terminal crônica após a primeira manifestação da microangiopatia trombótica e 36% progrediram para a Doença renal terminal crônica ou óbito dentro de 05 anos. Há uma diferenciação de SHUa de outras condições clínicas que apresentam Microangiopatia trombótica.No paciente transplantado, a microangiopatia trombótica pós-transplante ocorre em aproximadamente 68% dos pacientes com SHUa, como também a perda do enxerto. Ou seja, , existia uma doença de base determinada (SHUa) que não foi diagnosticada e tratada, o que levou a perda do enxerto. Segundo o registro Global de SHUa, o risco aumentado da necessidade de diálise e pior função do enxerto, estão associados ao atraso no tratamento com Eculizumabe.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
01/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa é uma doença extremamente grave , onde a medicação salva a vida dos pa pentes 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/08/2019	Secretaria Estadual de Saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Estado de Pernambuco atualmente já tem pacientes fazendo o uso da medicação eculizumabe para o tratamento da síndrome hemolítica urêmica com resposta positiva. A inclusão do medicamento vai melhorar o acesso aos pacientes. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/08/2019	Empresa	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. importante o medicamento incorporado ao tratamento da SHUA 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Nós brasileiros na maior parte dos casos copiamos a experiência de centros e países mais desenvolvidos e referências científicas internacionais. NIH, Soc europeia, japonesa estabelecem o eculizumab como tratamento de escolha para a SHUa. Na prática, não há tratamento alternativo. Apesar da dificuldade do diagnóstico de certeza, é uma doença gravíssima e aguda em que se suspeitada, as medidas devem ser tomadas em poucas horas. O tratamento funciona bem e tem base fisiopatológica pertinente. O CONITEC e o Ministério da Saúde, na minha opinião, se omitem em estabelecer a alternativa e a orientação terapêutica para a SHUa.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculizumabe é o unico medicamento aprovado pelos órgãos regulatórios para o tratamento da Síndrome Hemolítica Uremica Atípica (SHUA). O diagnostico quando realizado precocemente, e um inicio mais rápido do tratamento, levam a melhores resultados dos pacientes portdores da doença rara Shua.Os artigos científicos comprovam a eficácia e segurança da droga e baixo indice de eventos adversos. A pesquisa na busca de medicamentos para doenças raras, e tendo como exemplo SHUa, são bastante complexas, tendo em vista que um número reduzidos de pacientes (n) serão incluídos para análise dos beneficios clinicos e segurança a longo prazo. Será um avanço importante para o tratamento da doença rara citada, a incorporação do Eculizumabe no Ministerio da Saude, visto que muitos pacientes sofrem com a patologia, poderão ir para diálise ou a óbito, devido a gravidade da doença.</p> <p>2ª - Sim, Como foi mencionado, diversos estudos clinicos e artigos científicos publicados demonstram a eficácia e segurança do Eculizumabe no tratamento da SHUa. Estudos pivotais e estudos terapêuticos adicionais envolvendo pacientes com SHUa - pediaticos e adultos - mostram resultados relevantes na melhora dos parametros hematológicos e renais, além da segurança e tolerabilidade, ou seja, os desfechos primários e secundários comprovando a necessidade do tratamento com Eculizumabe ** Diagnostico e tratamento precoce**</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Eculizumabe é o único tratamento indicado para crianças e adultos com Síndrome Hemolítica Uremica Atípica (SHUa). Devido a atividade persistente do complemento terminal e desregulação genética da via alternativa em pacientes com SHUa; Eculizumabe inibe a Microangiopatia trombótica mediada pelo complemento. Aproximadamente 90% dos pacientes tiveram melhora ou normalização hematologica em 02 anos. O tratamento contínuo com Eculizumabe levou à melhora da função renal ao longo de 02 anos. A intervenção precoce aumenta os beneficios clinicos, menor necessidade de diálise. ** A diálise foi eliminada em até 83% dos pacientes durante 26 semanas de tratamento com Eculizumabe.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Na Síndrome Hemolítica Uremica atípica, há uma atividade contínua e descontrolada do sistema complemento, resultando em lesão endotelial e microangiopatia trombótica. As lesões sistêmicas provocam danos irreversíveis aos órgãos vitais. Uma doença com alto grau de mortalidade que atinge crianças e adultos. Os estudos comprovam a eficácia e segurança do medicamento. A incorporação do Eculizumabe e seu acesso aos pacientes é necessária, pois muitas vidas podem ser salvas, quando diagnosticadas e tratadas o mais rápido possível.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
02/08/2019	Empresa	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Resposta satisfatória nos casos atendidos na prática clínica, com impacto positivo na sobrevivência dos pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Resposta clínica satisfatória nos casos de SHUa em renais agudos, crônicos e transplantados renais.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
02/08/2019	Instituição de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
03/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pois é uma medicação que melhora a qualidade de vida do paciente 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
03/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes com SHUA são graves com pouca opção terapêutica. O uso dessa medicação poderá reduzir riscos e complicações 2ª - Sim, Estudos demonstram segurança e eficácia 3ª - Sim, Os custos são elevados, mais pode salvar vidas 4ª - Não 5ª - Sim, São poucos os casos, considero que possa haver opções terapêuticas eficazes para reduzir complicações e salvar vidas nas doenças raras.	
03/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação tem efeito importante nessa condição rara; o uso adequado modifica a evolução clínica dos pacientes. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A SHUa é uma doença rara grave sistêmica e devastadora. O único medicamento disponível atualmente é o eculizumabe. Para nós médicos que temos pacientes com este diagnóstico é uma situação agonizante diagnosticá-los e não poder tratá-los adequadamente, sabendo da gravidade da doença e, já termos perdidos pacientes na mesma condição.</p> <p>2ª - Sim, Meu nome é Maria Helena Vaisbich CRM-SP 49436 e tenho inclusive uma publicação citada no relatório da CONITEC. Na esperança de colaborar, segue em anexo meu parecer sobre o relatório e minhas sugestões para a tomada de decisão final por esta Comissão.</p> <p>3ª - Sim, Minha única sugestão é avaliar comparativamente os gastos financeiros e os danos sociais de incorporação do eculizumabe para o tratamento da SHUa e a manutenção da aquisição do medicamento via judicialização. Certamente, os administradores são melhor qualificados para avaliar esta questão e fazer os acordos necessários para que este tratamento possa ser realizado com base em protocolo nacional.</p> <p>4ª - Sim, Nesta avaliação foram considerados valores das terapias de suporte muito aquém dos valores de custo real e não pôde ser avaliado um potencial acordo entre a indústria e o governo para um ajuste racional no preço da medicação.</p> <p>5ª - Não</p>	
05/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A única medicação disponível para tratamento desta doença é o eculizumab. Vários autores como Fakhouri, Zuber, Langman, dentre outros publicaram diversos artigos demonstrando a eficácia e segurança da medicação. O parecer técnico da conitec está mal embasado e não condiz com a realidade da prática clínica. A incorporação desta medicação é essencial para estes pacientes e para prática médica, somente assim, nós médicos poderemos implantar protocolos de tratamento eficazes e evitar mais pacientes evoluindo para óbito.</p> <p>2ª - Sim, Relato de caso de paciente brasileira que se beneficiou e meta análise</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Dificil mensurar o valor de uma vida</p> <p>5ª - Sim, É essencial que estas drogas de alto custo sejam incorporadas, pois só assim o sus pode negociar custo com os laboratórios e acabar com as judicializações</p>	<p>Clique aqui</p>
05/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. pacientes com SHUa e HPN tem indicação do uso de eculizumabe, uma vez que este medicamento aumenta sobrevida e diminui risco de obito por complicações relacionadas a doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Anemia Hemolitica urêmica atípica, doença rara cujo os portadores se beneficiam com o uso do Eculizumab evitando a morte.</p> <p>2ª - Sim, Como nefrologista atuando há muitos anos tanto na área de nefrologia clínica e transplante renal, nos deparamos, por vezes com pacientes portadores de SHUA que evoluíram para óbito e/ou perda do enxerto, porém mais recentemente com o uso da droga em questão, conseguimos que sobrevivam e, se transplantados, mantenham o rim.</p> <p>3ª - Sim, Considerando que o paciente com SHUA fique em programa dialítico evidentemente recebendo medicação que recupere sua função renal, resulta em economia para o estado.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
05/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, JÁ TRATEI 4 PACIENTES COM SÍNDROME HEMOLITICO URÊMICA COM O ECULIZUMABE E A RESPOSTA AO TRATAMENTO É INCRÍVEL; SALVEI A VIDA DE TODOS E EM 3 CASOS RETIREI DA NECESSIDADE DE TRATAMENTO HEMODIÁLITICO.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, PARA NÓS MÉDICOS, É FRUSTRANTE QUANDO NÃO CONSEGUIMOS TRATAR/DIMINUIR A MORBIMORTALIDADE DE PACIENTE JOVENS E COM DOENÇA RARA. DIAGNOSTICAR UMA SINDROME HEMOLÍTICO URÊMICA NÃO É DIFÍCIL PARA MUITOS, O TRATAMENTO É QUE SE TORNA DIFÍCIL VISTO A INDISPONIBILIDADE DA MEDICAÇÃO.</p>	
05/08/2019	Secretaria Municipal de Saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Trata-se de síndrome grave com altíssima mortalidade e a medicação eculizumabe representa a única modalidade terapêutica eficaz, devendo ser iniciada tão logo haja o diagnóstico</p> <p>2ª - Sim, Por tratar-se de síndrome grave e devastadora, antes sem tratamentos totalmente eficazes, o uso do eculizumabe trouxe novos rumos para o tratamento, mostrando ser bastante eficaz no controle da hemólise, dos eventos tromboticos e evitando a perda da função renal</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pela sua gravidade e potencial de evolução com dano renal permanente, pacientes com SHUa devem ser considerados para tratamento com eculizumabe, e na nossa experiência com casos no RJ, tivemos boa resposta, em paciente que de outra sorte evoluiriam para necessidade de diálise por longo tempo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
05/08/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. E urgente a incorporação do medicamento eculizumabe para o tratamento dessa doença rara Síndrome hemolítica uremica atípica. Altos índices de mortalidade devido a dificuldade ao acesso.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
05/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. eculizumabe é o melhor tratamento para SHUa</p> <p>2ª - Sim, Os tratamentos para SHUa são plasmaferese e ECULIZUMAbE. Entretanto o resultado com eculizumabe é muito superior, e a experiência clínica que temos corrobora toda literatura vigente nesta doença rara, mas de alta mortalidade</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
05/08/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. E dever do Ministério da Saude incorporar o medicamento eculizumabe para essa doença rara que na Constituição todos temos direito a saúde e acesso ao medicamento que já foi aprovado em diversos órgãos regulatórios no Brasil e em outros países.</p> <p>2ª - Sim, Conforme já citado e os diversos artigos científicos publicados são comprovados os benefícios do medicamento na melhora dos sintomas clínicos da doença .Qualquer cidadão possui o direito de acesso ao medicamento e uma qualidade de vida que somente com o uso dessa droga isso e possível.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, As doenças raras quando não tratadas causam custos maiores ao orcamento da união.O uso correto do eculizumabe no tratamento da SHUa promove a redução dos custos diretos e indiretos ao ministério da Saude.</p> <p>5ª - Sim, Reafirmo a importância de uma análise cuidadosa do Ministério da Saude para a incorporação de um medicamento que salva vidas.</p>	<p>Clique aqui</p>
05/08/2019	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. São diversas pesquisas no campo de doenças raras e que resultam em medicamentos de alta qualidade, que reduzem a mortalidade e a morbidade e melhorando a qualidade de vida dos portadores de uma determinada doença rara. O Ministério da Saúde deve incorporar o Eculizumabe no tratamento da síndrome hemolítica urêmica atípica, pois há comprovação científica, artigos técnicos publicadas em revistas de alto fator de impacto. A eficácia e segurança do medicamento em doenças raras estão largamente comprovadas.</p> <p>2ª - Sim, É um desafio realizar estudos clínicos em doenças raras devido a um pequeno números de população clínica, e devido a grande variabilidade dos sinais clínicos. Diversos órgãos regulatórios aprovaram o medicamento e reforçando as suas evidencias clínicas. Estudos pivotais/registro global/estudo de extensão a longo prazo demonstram os benefícios do uso do medicamento</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Não há uma metodologia específica e que analise o custo efetividade/fármaco economia no impacto orçamentário das doenças raras, não existe um comparador que trate a causa de base da doença. Porém pode se levar em conta que o medicamento eculizumabe reduzirá os custos de internações, dias de UTI e outros gastos que são observados para o tratamento da doença.</p> <p>5ª - Sim, São vários anos de acompanhamento de Eculizumabe em muitos pacientes em diversos países. Demonstra um perfil de segurança/fármacos vigilância.SOCIE 2019MENNE 2019LEGENDRE 2013</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculizumabe é a única medicação atual para a SHUa. Não há disponibilidade de estudos de Fase 3 por não haver medicamento para o braço comparador. Acompanho uma paciente jovem com SHUa que internou no pós parto com necessidade de diálise e a resposta ao Eculizumabe foi fundamental para evitar evolução para insuficiência renal terminal e óbito. Nesse contexto, não há dúvidas sobre a relação custo-benefício da medicação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
06/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Síndrome Hemolítica Urêmica atípica é uma doença rara porém tem uma gravidade muito intensa podendo acarretar a morte do paciente e/ou acarretar uma sobrevida insatisfatória com baixa qualidade de vida</p> <p>2ª - Sim, Sou nefrologista pediátrico do serviço de Nefrologia/IPPMG/UFRJ, onde tivemos alguns casos de SHUa, que tiveram desfechos insatisfatórios , inclusive a morte. Esses pacientes com certeza teriam um tratamento mais digno ,inclusive com desfechos bem diferentes, caso tivessem a sua disposição essa medicação, já comprovadamente útil para essa doença.</p> <p>3ª - Sim, Acredito que os gastos com pacientes que evoluíram para tratamento dialítico e para as famílias que perderam entes queridos, gerando tb uma perda econômica justificariam o gasto com a medicação.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
06/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. MUITO IMPORTANTE OS MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, SAO DIVERSOS PACIENTES BENEFICIADOS PELA INCORPORACAO DO MEDICAMENTO PELO MS.OS DIVERSOS ARTIGOS CIENTIFICOS COMPROVARAM A SEGURANCA E EFICACIA DO MEDICAMENTO, TANTO CRIANCAS COMO ADULTOS PODERAO SER SALVOS E APRESENTAR UMA EXELENTE QUALIDADE DE VIDA.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A SHUa OS PACIENTES ADULTOS E CRIANÇAS ESTÃO EM RISCO IMEDIATO DE SOFRER AS CONSEQUENCIAS FATAIS DA MICRO ANGIOPATIA TROMBÓTICA, MEDIADA PELO COMPLEMENTO. ESTA ATIVIDADE CRÔNICA E DESCONTROLADA DO COMPLEMENTO DA SHUa CAUSA LESÃO ENDOTELIAL DE MANEIRA CONITINUA , LESÕES SISTEMICAS COM DANOS AOS ORGÃOS VITAIS LESÃO RENAL E MORTE SUBITA.IMPORTANTE . INCORPORAÇÃO ECULIZUMABE QUE POSUE SEGURANÇA E EFICÁCIA COMPROVADA E MELHORA A QUALIDADE DE VIDA.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, COMO JÁ FOI MENCIONADO QUE A MEDICINA BASEADA EM EVDÊNCIA BENEFICIOS CLINICOS COM O USO DO ECULIZUMABE É RELEVANTE A ANÁLISE NA REDUÇÃO DOS CUSTOS DIRETO E INDIRETO PROVIDOS PELO ECULIZUMABE AO TRATARO PACIENTE DIAGNÓSTICADO CORRETAMENTE COM OUM MEDICAMENTO DISPONIVEL PELO MS.</p>	
06/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Relatório inconsistente, feito por pessoas que não conhecem a doença sem experiência clínica e sem mostrar as reais evidências da medicação.Faço parte de um grupo, com 5 especialistas qu tems muita experiência com a doença e estamos publicando o primeiro registro brasileiro em shua. Deve ser pulicado ainda este ano.www.shuabrasil.com.br</p> <p>2ª - Sim, Doença rara n tem como fazer estudo controlado randomizado, ainda mais quando se tem um medicamento que é o único tratamento. seria hoje em dia anti ético.Existem várias publicações com evidências fortes sore a eficácia na doença. Sou nefrologista, e dentro das novas medicações da nefrologia, esta foi a única que realmente fez diferença na evolução de uma doença. Tenho um ambulatório de doenças raras com vários pacientes com shua e todos se beneficiaram muito!!!E quando ficam sem a medicação, vários apresentam sintomas como cansaço, fadiga...A chance de recidiva aumenta e estes pacientes ficam expostos a um risco muito alto de vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Deve-se pensar que estes pacientes se tratando adequadamente e sobrevivendo, saindo da dependência de hemodiálise vão participar da renda familiar, não fará uma família desestruturar, contribui p estabilidade da familia, fica sem depender de beneficios da previdência ou aposentadoria. Estes são custos indiretos que não contabilizam no custo.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
06/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Como nefropediatra em contato direto com pacientes portadores de SHUa do Instituto da Criança do Hospital das Clínicas da FMUSP, considero as respostas clínicas e laboratoriais eficazes, bem como uma droga segura. A droga (eculizumabe) mudou o prognóstico de vários pacientes que acompanho.</p> <p>2ª - Sim, vide artigos científicos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Segue artigo com trial multicêntrico 2 anos seguimento pacientes em uso de eculizumabe (resultados e efeitos adversos)</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
06/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. As evidências para tratamento de doenças raras são escassas e necessitam de muitos anos de uso da medicação para que se consigam resultados num número adequado de pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, A análise de custo das terapias renais substitutivas não levou em conta os custos das complicações - internações. Os dados sobre os custos e gastos destes tratamentos são escassos/inexistentes no país e os apresentados foram colhidos por opinião de especialistas.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
06/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Tenho três pacientes que responderam muito bem ao tratamento com eculizumab inclusive saindo da hemodiálise.</p> <p>2ª - Sim, Baseada em evidência clínica</p> <p>3ª - Sim, Impacto financeiro em 3 pacientes fora da hemodiálise</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
07/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. é a única medicação disponível e eficaz no tratamento desta patologia</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
07/08/2019	Instituição de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicacao importante no tratamento da SHUa. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
07/08/2019	Secretaria Estadual de Saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, O tratamento adequado reduz os custos nao computados das complicacoes da doenca. Exemplo : evita necessidade de hemodialise 5ª - Não	
07/08/2019	Instituição de ensino	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, Os custos com as complicações dos pacientes que não são tratados com eculizumab não são computados nas análises. 5ª - Não	
07/08/2019	Interessado no tema	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
07/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É o único disponível no mundo para a doença. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
07/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes necessitam do tratamento para prevenção da necessidade de diálise nos casos em que a doença afeta os rins.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
08/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sugiro a incorporação do eculizumabe para grupos selecionados de pacientes com SHUa</p> <p>2ª - Sim, O documento faz uma conclusão baseado no fato de que não há evidencias robustas demonstrando benefício do seu uso. Evidencias robustas sao compreendidas como clinical trials randomizados, cegos, com amostra adequada, etc e revisões sistemáticas.No entanto, há de se considerar que esta é uma doença rara, o que dificulta este tipo de estudo. Além disso, os desfechos são muito diversos: mortalidade, lesão renal, AVC, etc.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
08/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação em questão é descrita em vários trabalhos nacionais e internacionais na literatura medica como sendo a melhor opção no tratamento da síndrome hemolítico urêmica atípica. Tenho experiencia no tratamento de duas pacientes com a referida doença que obtiveram melhora importante do quadro clinico, inclusive com suspensão da necessidade de realizar hemodialise, impactando diretamente em mortalidade e morbidade dos pacientes. Alem disto, o custo se justifica pela economia no longo prazo por evitar complicações renais, evitando custos com terapia renal substitutiva, tais como hemodialise e transplante renal.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
08/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Síndrome hemolítica urêmica atípica é uma das causas de síndrome de microangiopatia trombótica (MAT). Antigamente várias doenças causadoras de MAT eram tratadas da mesma forma, com plasmaférese, com resultados conflitantes. Desde 1998 com conhecimento da fisiopatologia da Púrpura trombocitopenica trombótica e incorporação da ADAMTS13 na prática clínica vimos que os pacientes com esta doença respondem bem a plasmáfere e outros não. Há cerca de 20 anos passamos a entender a fisiopatologia da Síndrome Hemolítica Urêmica atípica e o bloqueio do complemento final com o eculizimabe modificou a história natural destes pacientes com redução da mortalidade e possibilitando melhora da função renal.</p> <p>2ª - Sim, A Síndrome Hemolítica Urêmica atípica é uma doença rara, que acomete crianças e adultos com grave consequência a saúde inclusive morte. Uma coorte francesa com documentou 5% de mortalidade e uma italiana 19%. Nesta mesma coorte francesa 56% dos pacientes evoluíram com doença renal crônica terminal, ou seja, com necessidade de hemodiálise no primeiro ano de doença. Um grave problema também é a grande possibilidade de recidiva no pós transplante renal, que a depender da mutação pode chegar 70-80% dos casos com perda do enxerto renal podendo atingir 93% dos pacientes. A doença é causada por uma desregulação na via alternativa do complemento levando a ativação do complemento terminal, mais precisamente com formação de chamado Complexo de Ataque a Membrana (CAM) que culmina com dano endotelial grave e trombose microvascular com lesão isquêmica aos órgão acometidos. A medicação eculizumabe é um anticorpo que se liga ao C5 e bloqueia a formação deste CAM, esfriando o processo e permitindo a recuperação tecidual. Por sua eficiência e segurança documentada já foi aprovada e liberada para tratamento desta doença por órgãos controladores como FDA e ANVISA.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
08/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. São diversos estudos clínicos e evidências científicas, órgãos regulatórios que aprovaram Eculizumabe, evidenciando a segurança e eficácia do tratamento da SHUa. Por ser doença rara o número de pacientes é pequeno obviamente e há uma grande variabilidade de apresentações clínicas ao ser diagnosticada a doença.</p> <p>2ª - Sim, *MENNE 2019;*Shaefer 2018;* Siedlecki 2018</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O tratamento de uma doença rara como SHUa se tiver a facilidade de acesso com Eculizumabe o paciente apresentará benefícios clínicos, melhorando a qualidade de vida, Não sofrendo internações, reduzindo assim os custos. Não haverá redução de custos para o Ministério com a liberação do medicamento?</p> <p>5ª - Sim, Sugestão de literatura: 1. Laurence 2016; 2. Shaefer 2016; 3. Fakhouri 2018; 4. Azoulay 2017</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
08/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação é fundamental para manter a vida dos pacientes. Pelos princípios do SUS a saúde deve ser universal (um direito de TODOS, a incluir pacientes com doenças raras, e cabe ao Estado assegurar esse direito), ter equidade (tratar desigualmente os desiguais, investindo mais onde a carência é maior) e por fim integral (garantida do nível mais básico e preventivo as necessidades de mais complexidade).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
08/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A SHU atípica faz parte dos diagnósticos diferenciais em nossa prática clínica. Acompanho 3 pacientes com esta patologia. Houve estabilização do quadro somente após início do eculizumabe. Experimentaram plasmaferese (com dificuldade para obter esta última) sem sucesso. Porém recomendo individualização desta terapia:1) intervalo com base na eculizumabemia. Não manter dose preconizada 15-15 dias. 2) disponibilizar estudo mutacional para definir prognóstico/dose e intervalo adequado. Ou utilizar marcadores de hemólise pra definir intervalos.</p> <p>2ª - Sim, A SHU atípica faz parte dos diagnósticos diferenciais em nossa prática clínica. Acompanho 3 pacientes com esta patologia. Houve estabilização do quadro somente após início do eculizumabe. Experimentaram plasmaferese (com dificuldade para obter esta última) sem sucesso. Porém recomendo individualização desta terapia:1) intervalo com base na eculizumabemia. Não manter dose preconizada 15-15 dias. 2) disponibilizar estudo mutacional para definir prognóstico/dose e intervalo adequado. Ou utilizar marcadores de hemólise pra definir intervalos.</p> <p>3ª - Sim, A SHU atípica faz parte dos diagnósticos diferenciais em nossa prática clínica. Acompanho 3 pacientes com esta patologia. Houve estabilização do quadro somente após início do eculizumabe. Experimentaram plasmaferese (com dificuldade para obter esta última) sem sucesso. Porém recomendo individualização desta terapia:1) intervalo com base na eculizumabemia. Não manter dose preconizada 15-15 dias. 2) disponibilizar estudo mutacional para definir prognóstico/dose e intervalo adequado. Ou utilizar marcadores de hemólise pra definir intervalos.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A SHU atípica faz parte dos diagnósticos diferenciais em nossa prática clínica. Acompanho 3 pacientes com esta patologia. Houve estabilização do quadro somente após início do eculizumabe. Experimentaram plasmaferese (com dificuldade para obter esta última) sem sucesso. Porém recomendo individualização desta terapia:1) intervalo com base na eculizumabemia. Não manter dose preconizada 15-15 dias. 2) disponibilizar estudo mutacional para definir prognóstico/dose e intervalo adequado. Ou utilizar marcadores de hemólise pra definir intervalos.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
08/08/2019	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Muitas crianças e adultos sofrem com a doença SHUa, e nao conseguem o medicamento, que ja está aprovado em diversos Países. Quando o medico faz a pesquisa e observa que excluiu todas as outras doenças; fica dificil fazer uso do Eculizumabe. Peço que o ministerio da Saude facilite aos pacientes que sofrem muita com a doença, e podem morrer subitamente.</p> <p>2ª - Sim, Como foi dito, a SHUa atinge qualquer faixa etária. Na maioria das vezes ja ocorre na infancia, sendo que muitas crianças podem ir a obito, ou doença renal terminal cronica, se nao tiverem facilidade de conseguir o medicamento , ao ser diagnostica a doença.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
08/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Há três pontos importantes: a SHU atípica é doença rara, portanto não temos como ter ensaios clinicos randomizados. Segundo, as infecções meningocócicas podem ser prevenidas com antibiótico junto com a dose do eculizumab e vacina. terceiro, concordo que trata-se de medicação onerosa, contudo o número descritti de pacientes previstos para uso da drogas está super-estimado, baseado nas publicações de diversos países sobre a prevalência.</p> <p>2ª - Sim, Paciente fdo sexo feminino, 28 anos com SHU atípica (grave quadro de insuficiência renal aguda, anemia hemolítica microangipática, plaquetopenia) sem resposta as terapias disponíveis , iniciou eculizumab com recuperação cl[ínica. Já passou por período críticos sem recorrência da deonaça com a terapia.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
09/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação está comprovadamente relacionada a única medida eficaz na redução da morbimortalidade da patologia em questão, diminuindo está forma custos relativos a internações e diminuição da capacidade laborativa dos pacientes. Desta forma, necessita ser incorporada.</p> <p>2ª - Sim, A medicação está comprovadamente relacionada a única medida eficaz na redução da morbimortalidade da patologia em questão, diminuindo está forma custos relativos a internações e diminuição da capacidade laborativa dos pacientes.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes se beneficiam de terapia desde que utilizado precocemente. Patologia col altíssimo grau de morbidade. 2ª - Sim, Resposta terapêutica boa na grande maioria dos pacientes , a depender a fase que se inicia a terapêutica. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Gostaria de contribuir para que se encontre um modo racional de uso do medicamento, único tratamento eficaz conhecido e já disponível em varios países para o tratamento da SHUa.</p> <p>2ª - Sim, Considerando a recomendação prévia de não incorporação ao SUS do medicamento Eculizumabe para o tratamento de pacientes com Síndrome Hemolítico Urêmica, encaminho à CONITEC algumas considerações no intuito de contribuir para que se encontre um modo racional de uso do medicamento, único tratamento eficaz conhecido e já disponível em vários países para o tratamento da SHUa.:Do ponto de vista das evidências clinicas, a de se considerar as publicações existentes até 2019, que demostram que pacientes com SHUa que não são tratados tem risco vitalício de comprometimento renal, evolução da doença renal para estágio terminal, complicações extremas e morte prematura (Noris M et al. Clin J Am Soc Nephrol. 2010; 5:1844–1859).Evidências existem de que o manejo com a troca de plasma / infusão de plasma pode melhorar os parâmetros hematológicos temporariamente, mas não no longo prazo (Fremeaux-Bacchi V et al. Clin J Am Soc Nephrol. 2013; 8:554–562). O único tratamento aprovado para SHUa até o momento, que mostra efetivo controle da doença foi o Eculizumabe. (Noris M et al (2010) Clin J Am Soc Nephrol 5:1844–1859) Mais recentemente, os conceituados jornais Clin J Am Soc Nephrol, no seu volume 13, de 2018. (https://doi.org/10.2215/CJN.00620117), e Pediatric Nephrology (Loirat C et al. Pediatr Nephrol 31: 15–39, 2016 e NEJM (Legendre CM et al. N Engl J Med 368: 2169–2181, 2013), revisaram as evidências publicadas nos últimos anos, sobre a indicação de uso de Eculizumabe no tratamento da síndrome hemolítico urêmica em adultos e crianças, detectando impacto altamente positivo na evolução desses pacientes, com dados relevantes de eficácia e segurança.Embora muitos sejam estudos de braço único não randomizados e controlados (característicos de estudos com doenças raras), os resultados historicamente pobres do tratamento dessa patologia, que mostram que 77% dos pacientes com mutações por CFH morreram ou evoluíram para doença renal terminal em 3 a 5 anos antes do uso da droga (Fremeaux-Bacchi V et al, Clin J Am Soc Nephrol 8: 554–562, 2013; Noris M et al. Clin J Am Soc Nephrol 5: 1844–1859, 2010), justificam que se observem esses estudos de modo diferenciado.Os achados de beneficio de uso de Eculizumabe foram replicados em estudos posteriores, de extensão (Licht C et al. Kidney Int 87: 1061–1073, 2015), em estudos prospectivos não randomizados (Fakhouri F et al. Am J Kidney Dis 68: 84–93, 2016 e Greenbaum LA et al. Kidney Int 89:701–711, 2016) e, em análises de coorte. (Sheerinet al. QJM 109: 27–33, 2016). Nos estudos prospectivos, a resposta completa da microangiopatia ao Eculizumabe foi alcançada em aproximadamente 65% dos casos após 26 semanas de terapia em adultos (Legendre CM et al. N Engl J Med 368: 2169–2181, 2013) e em crianças Greenbaum LA et al. Kidney Int 89: 701–711, 2016), população particularmente difícil pelas dificuldades do uso de plasmaferese e riscos de sequelas de longo prazo. Estudo de Kibriya Fidan et al. (Pediatric Nephrology 33(6):1-9) teve como objetivo estudar as manifestações extra-renais de SHUa na infância e incluiu 70 crianças do Registro Nacional de SHUa da Turquia. A manifestação extra renal mais comum foi o envolvimento do sistema neurológico (27%), seguido de gastrointestinal (11,8%), cardiovasculares (7%) e respiratória (7%). O envolvimento renal teve uma maior taxa de mortalidade e pior filtração glomerular O tratamento com eculizumabe (com ou sem permuta de plasma / infusão de plasma) melhorou a função renal e as taxas de recuperação dessas crianças, quando comparado com dados</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>históricos. Nilgun Çakar et al. (Nephron DOI: 10.1159/000487609) estudaram crianças com SHUa diagnosticada antes dos 2 anos de idade, e mostrou que entre 146 pacientes incluídos no Registro, a doença ocorreu antes de 1 ano em 29 dos pacientes e com presença de distúrbios neurológicos em 40%. Mutações causadoras de doença foram observadas em 36% dos pacientes nos quais a análise genética foi realizada. Terapia com plasmaferese foi realizada em 79% dos pacientes; e terapia com eculizumabe foi administrada em 62% pacientes e em 5 pacientes como terapia de primeira linha. No total, 72% dos pacientes receberam terapia de substituição renal (TRS), 6% morreram devido a doença aguda, e 4 (8%) receberam alta hospitalar com recuperação total. Outra população, seriamente atingida pela SHUa e seu tratamento pregresso, é a de transplantados renais. Uma análise post hoc foi conduzida e publicada recentemente (Legendre C. <i>Transpl Int.</i> 2017 Dec;30(12):1275-1283) compilando os resultados agrupados de quatro estudos prospectivos, abertos, não randomizados, de braço único, multicêntricos, de fase 2 (NCT00844545/NCT00844844eNCT00838513/NCT00844428, NCT01193348 e NCT01194973). Estes ensaios avaliaram a eficácia e segurança do eculizumab em pacientes com SHUa, sendo 74 com rins nativos e 26 com rins transplantados. Após 26 semanas de tratamento, a média da taxa de filtração glomerular estimada aumentou nos dois subgrupos. Somente dois pacientes desenvolveram infecções meningocócicas; ambos se recuperaram. O eculizumabe melhorou os resultados hematológicos e renais em ambos os subgrupos. Em doentes com história de perda múltipla de enxerto por recidiva de SHUa, o eculizumab protegeu o transplante renal e sua função.</p> <p>3ª - Sim, Em relação aos aspectos econômicos, devemos considerar que a licença atual para o eculizumabe foi dada em muitos países para uso ao longo da vida, mas isso não foi baseado em evidências. Um estudo recente, prospectivo de longo prazo (Menne et al. <i>BMC Nephrology</i> 2019) 20:125 (doi.org/10.1186/s12882-019-1314-1), confirmou a eficácia e segurança do eculizumabe no tratamento de SHUa, especialmente no que se referiu à melhoria e manutenção de função renal estável ao longo de 6 anos, com taxa muito baixa de recidiva de microangiopatia no período. Estudou também, os pacientes que descontinuaram a droga ao longo do tempo e observou que a mesma esteve associada a um maior risco de microangiopatia e tendência de piora da função renal ao longo do tempo. Esses achados confirmam uma análise semelhante realizada recentemente na população do Registro Global SHUa (Schaefer F. <i>Kidney Int.</i> 2018 Aug;94(2):408-418. doi: 10.1016/j.kint.2018.02.029). Os subgrupos identificados com o maior risco de recidiva pós-descontinuação da droga foram identificados e incluíram idade jovem e presença de anormalidades genéticas e de autoimunidade. Esses dados podem colaborar na melhor definição dos casos em que a interrupção do tratamento seria possível e menos arriscada.</p> <p>4ª - Sim, As Diretrizes da International Society for Pharmacoeconomics e Outcomes Research recomenda a busca sistemática de dados clínicos e econômicos e a aplicação de metodologias robustas para a inclusão de novas tecnologias em saúde. Em doenças raras, no entanto, vários fatores podem afetar a capacidade de cumprir essas boas recomendações práticas. A SHUa apresenta, além da sua raridade e prevalência em população infantil, o risco alto de morte em algumas formas de apresentação inicial (comprometimento gestacional, pulmonar, cardiovascular etc.) e o risco de sequelas importantes, como doença renal crônica,</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>lesões neurológicas irreversíveis e perda de transplantes renais. E em função da severidade e gravidade, mister é que se observe a melhor evolução dos pacientes quando comparados com os poucos tratamentos disponíveis previamente, a saber, plasmaferese, que além de baixa eficácia, tem custo elevado e riscos a ela associados, particularmente em crianças. Em função do alto custo do tratamento, o National Institute for Health and Care Excellence (NICE) da Inglaterra, publicou em 2015, o seu guia de uso de Eculizumabe no tratamento de SHUa, disponível em (https://www.nice.org.uk/guidance/hst1) e propõe que o financiamento de eculizumabe para tratamento crônico de SHUa, ocorra desde que seguidas as seguintes orientações: coordenação de prescrição por centros especializados, implantação e monitoramento de registros do número de pessoas com diagnóstico de SHUa, doses e tempo de tratamento, estabelecimento de diretrizes nacionais para início e suspensão do tratamento por razões clínicas e estímulo ‘a pesquisa para avaliar ajustes de dose e suspensão do medicamento. Além desses itens, que poderiam ser aplicados no Brasil para racionalizar o uso de Eculizumabe, cumpre ressaltar que o Brasil necessita ainda garantir acesso, em centros especializados a:1. exames diagnósticos para diferenciar PTT, SHU típica e outras formas de microangiopatia trombótica2. dosagens de atividade do complemento e pesquisa de mutações, para que se possa melhor definir indicações, tempo de uso e suspensão eventual da droga3. acesso emergencial ao medicamento em casos com risco de vida e de sequelas graves, ou com transplante renal iminente, e em caso de recidiva da doença pós suspensão da droga. 4. vacinação completa para meningite e acesso antibiótico para proteção de infecções por Neisseria.</p> <p>5ª - Não</p>	
09/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Importante para o tratamento de pacientes com Shua</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Com a medicação disponível e o tratamento adequado os pacientes tem menos internações por complicações da doença</p> <p>4ª - Sim, Não fica precisando internar e utilizar o SUS</p> <p>5ª - Sim, O paciente tem qualidade de vida</p>	Clique aqui
09/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Importante para o tratamento de pacientes portadores de Shua</p> <p>2ª - Sim, Vários artigos científicos que trazem o seu benefício.</p> <p>3ª - Sim, Menos internações hospitalares</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Importante ao tratamento de pacientes portadores de Shua 2ª - Sim, 3ª - Sim, Menos gastos ao SUS 4ª - Sim, 5ª - Não	Clique aqui Clique aqui
09/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A experiência brasileira com o uso da medicação é muito boa e tem impacto drástico sobre a morbi-mortalidade nos pacientes pediátricos. 2ª - Sim, Experiência clínica com bons resultados e pacientes em ótimo estafo de saúde e desenvolvimento. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
09/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Importante para o tratamento e o agravamento da doença 2ª - Sim, Evidencias mostram a importância do tratamento 3ª - Sim, Quando diagnosticada corretamente tem benefícios aos pacientes 4ª - Sim, Economia para o SUS 5ª - Sim,	Clique aqui Clique aqui
09/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Sim, 4ª - Não 5ª - Não	Clique aqui Clique aqui
09/08/2019	Instituição de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Sim, 4ª - Não 5ª - Não	Clique aqui Clique aqui

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Sim, 4ª - Não 5ª - Não	Clique aqui Clique aqui
09/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Sim, 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	Clique aqui
09/08/2019	Instituição de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Há diversas evidências mostrando a melhora clínica dos pacientes com uso de Eculizumab e a melhora renal se o início é precoce. Minha experiência clínica também vai de encontro com a literatura mundial, principalmente na faixa etária pediátrica. 2ª - Sim, Tenho 5 pacientes em terapia, todos com remissão completa da MAT 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim,	Clique aqui Clique aqui
09/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A SHU atípica é uma entidade clínica de elevada morbimortalidade, e o tratamento com eculizumab é altamente benéfico. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
09/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou pediatra, nefrologista pediátrico e intensivista pediátrico formado pela universidade de são paulo há mais de 15 anos e acomanhei pacientes com síndrome hemolítico uremica atípica nas eras pré e pos bloqueadores do comlemento terminal, sendo indiscutível a superioridade deste tratamento em relação aos demais métodos terapeuticos disponiveis. Ademais, integro o grupo de estudo brasileiro de síndrome hemolitio-uremica atípica, compartilhando da experiencia de diversos outros pprofissionais com experiencia nesta patologia.</p> <p>2ª - Sim, Discordo veementemente da crítica sobre disponibilidade de evidencia científica que corrobore a superioridade de eficácia do eculizumabe em relação a outras terapeuticas. As regras de validação científica para doenças raras não pode ser uma extensão das regras utilizadas nas doenças em geral. iHá extensa bibliografia atestando a ineficacia da plasmaferese ou infusão de plasma em evitar os desfechos de insuficiencia renal e obito na shua. Além de evidentemente a morbimortalidade do transplante rim e figado tornar esta alternativa proibitiva. Tenho um paciente em tratamento com eculizumabe desde 2013. Paciente pediátrico que saiu da diálise peritoneal apos 27 dias com a primeira infusão do medicamento. Unico momento em que o mesmo apresentou sinais de descompensação da doença foi por desabastecimento e descontinuação temporária do tratamento. Em 6 anos, seguindo os protocolos de profilaxia e vacinação, não houve um único evento adverso grave, o que está em consonancia com a literatura e contrapoe a mensagem do relatorio de que os eventos adversos graves são frequentes. Anexo artigos e texto escrito por mim recentemente para prvtocolo interno do serviço de nefrologia que integro, corroborandoe embasandominha visão.</p> <p>3ª - Sim, Considero que pacientes com a pouca sorte de serem acometidos por esta doença rara nao podem ser privados de um tratamento com tamanho impacto em suas vidas. A incorporação do medicamento permitirá a formulação de protocolos que racionalizem a indicação e suspensao do eculizumabe, tornando-o economicamente viavel frente a opcoes como uma vida de dialise e transplantes recidivados</p> <p>4ª - Sim, Acredito que o NICE é o órgão com maior rigor expertise em determinar viabilidade economica de um produto e acredito que transportando os argumentos da mesmo para nossa realidade, o impacto economico da incorporação seria ainda maior em uma sociedade com estrutura juridica tão imprevisivel</p> <p>5ª - Sim, A impressão que tive é que o parecer tecnico que embasou a recomendação preliminar do Conitec foi formulado por profissionais que não conhecem a realidade das doenças ultra raras e tampouco foram expostos a realidade do tratamento da shua nas eras pré e ppos bloqueadores do complemento terminal</p>	<p>Clique aqui</p>
10/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordo pelo fato de já termos diversas publicações médicas na literatura, que mostram a eficiência da medicação no tratamento desta patologia.</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
10/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação não deixar de ser incorporada pois é um tratamento que tem boa resposta clínica numa doença com alta morbimortalidade.</p> <p>2ª - Sim, Fiz acompanhamento de uma pacte que fez tratamento pós transplante com boa resposta clínica.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	Clique aqui
10/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, As limitações dos estudos clínicos relatadas no relatório como: ser ensaio clínico de fase II, retrospectivo, sem comparador, aberto, não-randomizado, braço único, e de pequeno tamanho amostral, não são consistentes e apropriadas como limitações quando se trata de análise de estudos de doenças raras.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O estudos mostram um claro benefício do eculizumab no tratamento da SHUa, reduzindo a possibilidade de que os pacientes evoluam para diálise. Os custos com a medicação contrapoe-se a grande economia em relação aos elevados custos no longo prazo do procidimento dialítico e das complicações dos pacintes com doença renal crônica terminal.</p> <p>5ª - Não</p>	
10/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
10/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Essa medicação é indispensável para o tratamento do paciente e sem esse remédio o paciente pode vir a óbito</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
10/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. É um medicamento essencial para o tratamento da síndrome hemolítica urêmica atípica, que salva a vida desses pacientes, que de outro modo não receberiam tratamento satisfatório</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
10/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Este é o único tratamento efetivo para síndrome hemolítica urêmica. O uso desta medicação pode reverter o comprometimento renal, evitando a progressão para doença renal crônica.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. o eculizumabe tem se mostrado uma droga importante no tratamento e recuperação da função renal em pacientes com Síndrome hemolítica atípica</p> <p>2ª - Sim, sou médica na santa casa de são paulo e já fizemos uso da medicação com excelentes resultados e retirando paciente do tratamento dialítico e prevenindo a necessidade de transplante renal e óbito</p> <p>3ª - Sim, a maioria da nossa população não tem condições financeiras de manter o uso da medicação</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicamento necessário para pctes com hpn 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
11/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. DISCORDO do parecer da CONITEC, pois não existe dúvida sobre a eficácia do eculizumabe na SHUa. A SHU é uma doença muito grave, de alta mortalidade, alta morbidade com complicações muito sérias. O paciente que sobrevive, pode ter doença renal crônica que afeta de maneira muito séria a qualidade de vida e tem uma mortalidade bruta de 17% ao ano, tem alta complexidade e alto custo. Além disto os resultados do transplante renal em SHUa são muito ruins. O uso do eculizumabe muda este quadro, reverte a microangiopatia trombótica, previa e recupera a função renal e permite a realização de transplante renal. A doença é muito rara, mas quem já acompanhou casos de SHUa, quem já usou eculizumabe em pacientes com SHUa e quem revisou a literatura pertinente sabe que a medicação é extremamente efetiva e modifica de maneira dramática a vida destes pacientes. Em relação as reações adversas graves, não são comparáveis com as manifestações e consequências da SHUa.</p> <p>2ª - Sim, O UpToDate é uma das referências médicas mais importantes e atualizadas no mundo. Esta claramente escrito que a decisão de usar terapia anti-complemento deve ser baseada no diagnóstico presuntivo de microangiopatia trombótica mediada por complemento, pois os testes confirmatórios não estão prontamente disponíveis. Quando suspeitamos de microangiopatia trombótica mediada por complemento a terapia anti-complemento (ECULIZUMABE) deve ser iniciada O MAIS CEDO POSSÍVEL , e de preferência dentro de 24 a 48 horas. O objetivo é evitar lesão renal irreversível (pproach to the patient with suspected TTP, HUS, or other thrombotic microangiopathy (TMA).O UpToDate também confirma que o eculizumabe é em geral bem tolerado. (Approach to the patient with suspected TTP, HUS, or other thrombotic microangiopathy (TMA). www.uptodate.com ©2019 UpToDate, Inc)</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Tenho experiência com o uso do eculizumabe. É impressionante o efeito no quadro da paciente. O uso do eculizumabe inclusive permitiu realizar transplante renal mesmo com mutação que impedia a realização de transplante renal anteriormente. O efeito é muito claro e quando o fornecimento da medicação foi interrompido ocorreu recidiva da doença e quase perda de enxerto renal. O uso do eculizumabe permitiu a retirada da paciente de diálise, permitiu transplante renal e atualmente temos uma profissional trabalhadora, produtiva, integrada a sociedade e família e com casamento marcada. Se eu tivesse familiar com SHUa eu não teria a mínima dúvida em buscar todos os meios para usar eculizumabe. Portanto, penso o mesmo para os meus pacientes.</p>	
11/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação traz benefícios inquestionáveis aos portadores de SHUA</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Apesar do alto custo, trata-se de doença rara e o benefício é claro e inquestionável</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
11/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Sou nefrologista pediátrica e já tive pacientes com SHUAtípica que fizeram o eculizumabe com boa resposta clínica e recuperação da função renal após seu uso inclusiva saído da terapia dialítica.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/08/2019	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>	
11/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A SHUa é uma doença rara e tem tratamento com o medicamento eculizumab. Não é possível privar pessoas do tratamento por causa do custo do mesmo. Muitos medicamentos imunossupressores tem efeitos colaterais preveníveis e esse pode ser prevenível. com vacinação prévia. O medicamento deve ser liberado para tratar a doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
11/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculizumab tem sua indicação bem específica e para tanto, a investigação da SHUa necessita ser bem realizada. Considero que a não utilização do mesmo, quando indicada terá mais malefícios.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, O Eculizumab é uma medicação cara, mas poderá ter seu valor reduzido a depender das políticas farmacêuticas adotadas.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A única alternativa para o paciente com SHUa recuperar a função renal, se diagnóstico firmado, é através do anticorpo monoclonal ano C5.</p> <p>2ª - Sim, Tenho 3 pacientes que saíram de Dialise ao utilizar o eculizumab.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Para formas graves esta medicação e a que controla a doença</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A medicação tem embasamento científico suficiente para sustentar a redução da morbimortalidade em pacientes com Síndrome Hemolítica Urêmica Atípica.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Apesar do alto custo da medicação, é importante a avaliação do impacto da redução dos custos hospitalares. Pacientes com SHUA, quando não recebendo a medicação Eculizumabe acrescentam significativo às instituições no tocante à terapia dialítica e terapia intensiva. Estes custos impactam de maneira significativa para as instituições que prestam serviço ao SUS.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Sociedade médica	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, A Sociedade Brasileira de Nefrologia deseja contribuir com informação científica contida no documento em anexo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Por ser a SHUA uma doença extremamente grave e com potencial altíssimo de complicações é direito constitucional da população ter acesso ao tratamento 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A síndrome hemolítica urêmica atípica (SHUa) é uma microangiopatia trombótica rara e letal. A SHUa resulta da ativação crônica e descontrolada da via alternativa do complemento, que ativa as plaquetas e causa danos ao endotélio. Quando tratada de forma inadequada, a SHUa apresenta um alto grau de morbidade e mortalidade. Atualmente o único tratamento disponível pelo SUS para pacientes com SHUa é a plasmaférese. A troca ou infusão de plasma é capaz de manter temporariamente níveis normais de plaquetas e de desidrogenase láctica em alguns pacientes, mas não é capaz de eliminar a desregulação do complemento e os processos microangiopáticos trombóticos subjacentes. A doença renal crônica terminal ou o óbito ocorrem em aproximadamente 33 a 40% dos pacientes durante a primeira manifestação clínica da Síndrome Hemolítico-Urêmica atípica. Um ano após o diagnóstico dessa síndrome, até 65% dos pacientes tratados somente com troca ou infusão de plasma apresentam lesões renais permanentes, progridem para Doença Renal Crônica Terminal ou morrem. (Legendre CM1, Licht C, Muus P, Greenbaum LA, Babu S, Bedrosian C, Bingham C, Cohen DJ, Delmas Y, Douglas K, Eitner F, Feldkamp T, Fouque D, Furman RR, Gaber O, Herthelius M, Hourmant M, Karpman D, Lebranchu Y, Mariat C, Menne J, Moulin B, Nürnberger J, Ogawa M, Remuzzi G, Richard T, Sberro-Soussan R, Severino B, Sheerin NS, Trivelli A, Zimmerhackl LB, Goodship T, Loirat C. Terminal complement inhibitor eculizumab in atypical hemolytic-uremic syndrome. N Engl J Med. 2013 Jun 6;368(23):2169-81. Sabe-se com base em estudos científicos que a maioria dos pacientes com SHUa tratada com plasmaférese isoladamente pode apresentar remissão hematológica completa ou quase completa e ainda assim desenvolver Insuficiência renal crônica terminal ou morrer. A terapia com plasma não desempenha nenhum papel no tratamento em longo prazo da SHUa. Numa revisão retrospectiva da Universidade de Duke de 2007 a 2013, do grupo de 22 pacientes com microangiopatia trombótica sem deficiência de ADAMTS13, ou seja, o que seria reconhecido hoje em dia como uma SHUa, cinco pacientes morreram no período de acompanhamento de 21 dias. (Pishko AM, Arepally GM. Predicting the temporal course of laboratory abnormality resolution in patients with thrombotic microangiopathy. Blood 2014; 124). O Eculizumab é um inibidor do complemento terminal, um anticorpo monoclonal humanizado que se liga com alta afinidade ao complemento humano C5 e bloqueia a geração de C5a e C5b-9 pró inflamatórias. Dados de estudos clínicos indicam que a inibição do complemento terminal com eculizumab inibe a microangiopatia trombótica mediada pelo complemento, melhora significativamente a contagem de plaquetas e a função renal entre os grupos de pacientes e está associada à recuperação substancial dos rins e melhores desfechos clínicos em pacientes com Síndrome Hemolítico-Urêmica atípica. Nos Estados Unidos essa medicação é utilizada com aval do FDA desde 2007 para o tratamento de hemoglobinúria paroxística noturna, e desde setembro de 2011 para o tratamento de pacientes com Síndrome Hemolítico-Urêmica Atípica. Os resultados da terapia com Eculizumab representam um avanço substancial no tratamento de pacientes que têm essa doença sistêmica grave e potencialmente fatal.</p> <p>2ª - Sim, Em 10 de agosto de 2016 recebemos na clínica de hemodiálise UNIRIM a paciente T.K.A., de 25 anos, encaminhada para dar seguimento ao tratamento de hemodiálise iniciado durante sua internação hospitalar. Durante a internação foram realizados uma série de exames laboratoriais que mostravam anemia hemolítica e plaquetopenia associado a quadro de insuficiência renal aguda. Posteriormente, veio o resultado</p>	

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

da biópsia renal com diagnóstico histopatológico de microangiopatia trombótica. Ao avaliar todo o quadro clínico e laboratorial da paciente foi concluído que a mesma era portadora de Síndrome Hemolítica Urêmica Atípica (SHUa). Devido na ocasião não haver a medicação Eculizumab disponível na rede pública e nem tampouco disponível para venda, foi dada entrada no processo para que a paciente recebesse a medicação por doação. A paciente fez a primeira infusão de 900mg de Eculizumab em 13 de setembro de 2016, realizando infusões semanais por quatro semanas, a chamada fase de indução. Depois desse período passou a receber 1200mg a cada quinze dias, a chamada fase de manutenção. A paciente apresentou melhora dos níveis de hemoglobina e hematócrito, e normalização dos níveis de plaquetas, cerca de 20 dias após o início da medicação. Apresentou ainda redução progressiva nos níveis pressóricos, com diminuição na dose e na quantidade de medicamentos anti-hipertensivos. Apresentou uma redução progressiva nos níveis de uréia e creatinina, e em 23 de dezembro de 2016 foi tentado interromper o tratamento dialítico. Porém em 06 de janeiro de 2017 necessitou reiniciar hemodiálise. A paciente permaneceu em hemodiálise até 23 de maio de 2017 quando apresentou recuperação da função renal e foi interrompido o tratamento dialítico por completo com sucesso.

3ª - Não

4ª - Não

5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O serviço de nefrologia do hospital Federal de Bonsucesso discorda completamente do parecer da conitec. O nosso serviço é referência para o tratamento desta doença, Tem cerca de 12 pacientes em acompanhamento, todos tiveram benefício no uso do eculizumab. melhora da função renal, saindo da hemodiálise.É essencial para que estes pacientes tenham esta medicação incorporada, só assim evita-se a judicialização para uso de medicação.</p> <p>2ª - Sim, segurança para o paciente, eficácia. 87% dos pacientes evoluíram com recuperação da função renal</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Tem que avaliar o impacto economico na vida dos pacientes, o quanto estes pacientes custam para previdencia com beneficios, custo de hemodiálise e o impacto economico na renda familiar dos apcientes que param de trabalhar, pais que ficam sem conseguir trabalhar para acompanhar seu filhos</p> <p>5ª - Sim, Para as instituições publicas é essencial incorporar estas medicações, pois assim trataremos estes pacientes da melhor forma, com segurança e poderemos montar protocolos de tratamento, inclusive avaliando espaçamento de dose, diminuição e inclusive parada de medicação nos que tiverem remissão de doença, mas tendo disponível a medicação em qualquer momento para retorno caso o paciente tenha uma recidiva. isso poderá diminuir muito o custo da medicação para o governo, viabilizando tratar os pacientes e economizar dinheiro do sus.Descreveremos dois relatos abaixo, que tratamos, para mostrar a importância da incorporação:Caso 1Lactente de 10 meses, sexo masculino, previamente hígido, admitido no Hospital Federal de Bonsucesso em 19/02/2014 com história de três dias de evolução de diarreia pastosa com muco sem sangue associada a febre baixa intermitente, náusea, prostração e palidez. Evoluiu com anemia e insuficiência renal aguda, além de hematúria macroscópica, edema e oliguria. Possui história familiar de microangiopatia trombótica materna confirmada por biopsia renal e irmão materno com história de SHU atípica falecido por encefalopatia hipertensiva aos cinco anos.Com 36 horas de internação foi transferido para CTI e iniciada hemodiálise intermitente para melhor manejo volêmico e de uremia. Mantinha hematúria macroscópica, IRA oligúrica, hipertensão e hemólise em franca atividade mantendo LDH aumentado e esquizócitos em lamina periférica. Em 27/02/14 foi realizada primeira dose de Eculizumab® (300mg) evoluindo com resposta satisfatória: queda do LDH, estabilização do hematócrito, normalização de plaquetas e recuperação da diurese e função renal. As doses foram repetidas a cada 14 dias, sendo a segunda feita em 6/3/14 e a terceira em 20/03/14. Evoluiu com aumento do débito urinário progressiva com última hemodiálise em 15/03/14 (total de 13 sessões). Neste momento já apresentava débito urinário satisfatório e ausência de edema. Recebe alta hospitalar para seguimento ambulatorial e desde então faz Eculizumab® a cada 14 dias mantendo diurese adequada e sem suporte dialítico até os dias atuais. Caso 2 Paciente, em agosto de 2017, iniciou quadro de edema, oligoanúria e petéquias, exames laboratorias com anemia hemolítica, plaquetopenia , elevação de escórias e complemento baixo (C3) , feito diagnóstico de Síndrome Hemolítica Uremica atípica . Iniciado terapia substitutiva renal (hemodiálise) e infusão de plasma devido a hemólise grave . Em setembro de 2017, foi transferido para o H.Federal de Bonsucesso onde permaneceu em hemodiálise diária e com infusão de plasma pois não disponibilizávamos da medicação para infusão . Em 06 de outubro de 2016, faz a primeira dose do Eculizumab (600mg) , segue com mais três doses (13/10; 27/10;</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>10/11) e fica novamente sem a medicação pois as doses anteriores foram doações . Em 08/11/2018 apresentou quadro de edema agudo de pulmão e IAM com alteração no ECO (hipocinesia de paredes anterior , antero-septal e segmentos basais) e elevação de enzimas cardíacas . Na ocasião apresentava diurese (4ml/kg/h) , chegou a ser suspenso a hemodiálise , porém , por problemas na importação do Eculizumab, fica sem a medicação por 01 mês , retorna para a hemodiálise por anúria, faz mais uma dose da medicação em 14/12/2017 e permanece sem a medicação por mais 02 meses . Em 07/02/2018 reinicia o tratamento com Eculizumab nas doses de 300mg a cada 02 semanas e progressivamente vai melhorando a diurese, porém mantinha anemia. Em 25/05/2018 faz nova indução e em 15/06/2018 a diálise é suspensa por boa diurese e controle metabólico. Hoje, o paciente encontra-se bem clinicamente, peso de 20,3 kgs, boa diurese, sem distúrbio metabólico, com escórias ainda elevadas, porém progressivamente melhores. Ainda hipertenso, em uso de três anti-hipertensivos. Em 10/08/2018 foi ajustada a dose da medicação para 600mg conforme o peso .</p>	
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Apesar de uma medicação de alto custo o benefício para o paciente é muito importante.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Sociedade médica	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Sociedade Catarinense de Pediatria -SCP - solicita ao Ministério da Saúde, a incorporação do Eculizumabe, no tratamento da Síndrome Hemolítica Urêmica Atípica (SHUa).A doença quando não reconhecida ou tratada de forma inadequada, causa uma alta taxa de morbidade e mortalidade, sendo que o Eculizumabe é o primeiro e único tratamento indicado para adultos e crianças com a SHUa atípica.A taxa de mortalidade é mais alta nos pacientes diagnosticados na infância, visto que é uma doença que não causa somente danos à função renal, mas sim lesões sistêmicas em todos órgãos alvos. Diversos Estudos clinicos abertos, multicêntricos, prospectivos demonstraram eficácia e segurança do medicamento. A intervenção precoce com o Eculizumabe, em pacientes adultos e pediátricos, aumentam os benefícios clínicos. O Eculizumabe é uma nova era no tratamento da SHUa, surgiu como esperança no prognóstico em curto e longo prazo, aos pacientes que sofrem com esta doença devastadora. Atualmente tem sido recomendado como primeira escolha no tratamento da Síndrome Hemolítica Urêmica Atípica.</p>	
		<p>2ª - Sim, Os Estudos pivotais e Terapêuticos adicionais, relatam os benefícios do diagnóstico e tratamento precoce; em pacientes adultos e pediátricos. Normalização dos parâmetros hematológicos e melhora da função renal. SHUa é uma doença associada a risco crônico de Microangiopatia Trombótica(MAT)mediada pelo complemento e com conseqüências ameaçadoras à vida.Na SHUa um elevado percentual de pacientes morrem, necessitam diálise ou têm lesão renal permanente. Há um número pequeno de pacientes nos Estudos clinicos, e grande variabilidade de apresentação clínica durante o acompanhamento da doença. O registro Global de SHUa,é um registro observacional,multicêntrico com informações demográficas, clinicas e genéticas dos pacientes portadores da patologia.</p>	Clique aqui
		<p>3ª - Não</p>	Clique aqui
		<p>4ª - Sim, Análise Farmacoeconômica (custo efetividade e custo utilidade) de doenças raras, tem diversas limitações, pois não há uma melhor metodologia ou consenso sobre o impacto orçamentário em doenças raras. Importante ressaltar que com ao facilitar o acesso ao Eculizumabe, ocorrerão menos internações hospitalares ou uso de UTI - redução dos custos diretos e indiretos com o tratamento adequado e disponível pelo Ministerio da Saúde.</p>	
		<p>5ª - Sim, Há uma diferenciação da Síndrome Hemolítica Urêmica Atípica de outras condições clínicas que apresentam microangiopatia Trombótica. Um dado relevante, é que 33% a 40% de todos os pacientes morrem ou evoluem para doença renal terminal com a primeira manifestação clinica apesar de Plasmaférese ou Infusão de Plasma (PE/PI). Como foi citado, o Eculizumabe promove uma melhora da função renal, normalização hematológica e redução ou eliminação da PE/PI.Certamente com a disponibilidade do Eculizumabe, muitas vidas poderão ser salvas.</p>	Clique aqui

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Baseado na análise crítica de diversas publicações da literatura, associado ao fato que em doenças raras a Efetividade (benefícios de tecnologia em condições próximas do mundo real) seja tão relevante quanto a Eficácia (benefícios de tecnologia em condições ideais), defendo que o eculizumabe seja incorporado para tratamento da SHUa no SUS. Os pacientes são poucos em número pois trata-se de uma doença rara e os desfechos podem ser muito piores e mais honerosos que o tratamento.</p> <p>2ª - Sim, Já fiz minha contribuição como Diretora do Departamento de Nefrologia Pediátrica da Sociedade Brasileira de Nefrologia.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Outra	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Posicionamento do serviço de nefrologia pediátrica do hospital barão de lucena -PE, onde há atendimento ambulatorial e de uregencia de nefrologia pediátrica no ambito do SUS</p> <p>2ª - Sim, Há extensa evidenncia favoravel ao bloqueio do complemento terminal frente a outros métodos de tratamento da síndrome hemolitico uremica atipica. Esperar pela realização estudos multicentricos randomizados dupol-cegos em doenças utlrrarraras, quando a experiencia de especialistas, as evidencias recolhidas nas series de casos e as recomendações das principais sociedades de nefrologia do mundo apontam segurança e beneficio do medicamento, pode levar ao prejuizo, inclusive perda definitiva de função renal ou mesmo da vida de crianças e adultos. Incorporar e regulamentar as indicações e a suspensao do eculizumabe é indiscutivelmente o melhor caminho neste momentopara garantir a sobrevida e o bem-estar dos pacientes acometidos.</p> <p>3ª - Sim, Incorporar e regulamenrtar o bloqueador de complemento, permitindo precificação, criação de protocolos e surgimento da cocorrência é o caminho economicamente mais sensato, evitando os custos e a imprevisibilidade da regulamentação.,Por entender que o paciente do SUS não deve ser privado de um tratamento superior aos ora disponiveis e que independente de em que hospital esteja o paciente, não devemos decidir individualmete a viabilidade economica de um ato prescritivo; nos do serviço de nefrologia pediátrica do hospital Barão de Lucena indicamos o eculizumab nos casos de síndrome hemolitico uremica atipica, conforme recomendação da literatura médica e protocolo do serviço</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O eculizumab muda drasticamente a evolução da doença. Todos os casos em que ele foi usado os pacientes tiveram impacto estatisticamente significativo na sobrevida de forma positiva.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Pacientes jovens deveriam se beneficiar de uma prova terapêutica diante do enorme impacto positivo em suas vidas nos casos de uma resposta satisfatória.</p> <p>2ª - Sim, Tenho uma paciente jovem com SHUa que iniciou tratamento dialítico após a gestação e recuperou a função renal com o uso da medicação.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
12/08/2019	Outra	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Departamento científico de Nefrologia pediátrica demonstra preocupação frente a posição da Consulta Pública CONITEC/SCTIE Nº 40/2019 referente a Opinião pelo uso de Eculizumabe para síndrome hemolítica urêmica atípica. A posição preliminar da CONITEC foi pela não incorporação desta medicação e a consulta pública aberta até a primeira quinzena de agosto visa obter dados para que ocorra ou não a reversão para a incorporação desta medicação. A síndrome hemolítica urêmica atípica é uma doença rara que decorre da incapacidade do organismo de regular a cascata do sistema complemento com a formação do complexo de ataque a membrana e lesão endotelial acarretando a microangiopatia trombótica de curso grave. Os membros do Departamento tiveram a oportunidade de acompanhar cerca de 10 (dez) crianças portadoras de síndrome hemolítica urêmica em nosso estado com um curso da doença grave com morte ou sequelas graves na maioria destas crianças. A utilização da droga bloqueadora da ativação da cascata do complemento até os estágios de ataque a membrana celular, Eculizumabe em algumas destas crianças mudou o curso desta doença nestas crianças, com melhora importante do desfecho e prognóstico desta doença. Por este motivo, solicitamos o posicionamento da Sociedade de Pediatria do Estado do Rio de Janeiro para DISCORDAR da não incorporação do Eculizumabe para pacientes portadores de síndrome hemolítica urêmica atípica que necessitam desta medicação</p> <p>Departamento Científico Nefrologia Pediátrica SOPERJ</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
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A Síndrome hemolítica urêmica é uma doença rara, mas que se não for adequadamente tratada apresenta altas taxas de letalidade. O uso de Eculizumabe proporciona o controle clínico da enfermidade, com recuperação laborativa e da saúde do paciente, conforme demonstrado nos Estudos clínicos.</p> <p>2ª - Sim, Estudos clínicos tem demonstrado efetividade do Eculizumabe no controle clínico da Síndrome Hemolítica urêmica atípica (N Engl J Med 2013; 368: 2169-2181 e Kidney Int 2015; 87:1061-1073.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A SHUa é uma doença rara e se não controlada pode levar a morte</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
12/08/2019	Sociedade médica	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. SOMAPE - Sociedade Matogrossense de Pediatria, solicita à Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde, a incorporação do Eculizumabe no Tratamento da Síndrome Hemolítica Urêmica Atípica. O mecanismo de transparência da Consulta Pública, e a participação da Sociedade na tomada de decisões da CONITEC; possibilita o pedido com urgência da inclusão do Eculizumabe no Tratamento da SHUa. Os pacientes diagnosticados com SHUa apresentam risco imediato e contínuo das complicações da doença (lesões sistêmicas e renal); sendo que um grande percentual dos pacientes, necessitarão de diálise ou apresentarão lesão renal permanente ou iram a óbito. A Atividade contínua e descontrolada do complemento, resultará em lesão endotelial e risco de Microangiopatia Trombótica. Outro dado importante, que metade dos pacientes com SHUa evoluem para dano renal permanente ou morte quando não tratados adequadamente. Há diversos estudos clínicos comprovando a eficácia e segurança do medicamento no tratamento da SHUa, Como foi citado, SHUa doença rara que causa complicações progressivas e potencialmente fatais. Eculizumabe foi aprovado pelos órgãos regulatórios, sendo a única droga recomendada como primeira escolha no tratamento da SHUa para adultos e crianças. Quando o paciente é diagnosticado e tratado de maneira precoce, melhores resultados serão observados.</p> <p>2ª - Sim, Os estudos clínicos demonstraram a eficácia e segurança do Eculizumabe, sendo aprovado pelos órgãos regulatórios em diversos Países. Importante ressaltar que apesar de um número pequeno de pacientes nos estudos clínicos - SHUa é doença rara - Há um registro Global (Schaefer 2018) que relata os preditores clínicos e genéticos do fenótipo da SHUa e seus desfechos. Um registro observacional, não intervencional, multicêntrico, apresentando informações demográficas, clínicas e genéticas dos pacientes com SHUa. Registros Internacionais, aumentam o conhecimento a respeito da doença, avaliação e eficácia das práticas terapêuticas e a segurança dos medicamentos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, O Diagnóstico de forma correta, e o uso do Eculizumabe de maneira adequada, farão com que menos pacientes sejam internados, utilização de UTI, ou seja redução dos custos em geral. Existe dificuldade de análise farmacoeconômica em doenças raras. Não há metodologia específica ou de senso comum para análise do custo efetividade. O importante que com a viabilização do Eculizumabe, muitas vidas serão salvas, além de redução de vários custos provocados pela doença.</p> <p>5ª - Sim, A SOMAPE reforça a necessidade de a Incorporação do Eculizumabe no tratamento da SHUa. A doença atinge qualquer faixa etária, com grande mortalidade em crianças. São 10 anos de acompanhamento de dados de segurança em pacientes com SHUa. A segurança e eficácia com Eculizumabe em crianças foram documentados no estudo de Greembaum incluindo pacientes na faixa etária de 5 meses e 17 anos. O Registro Global relataram mais de 380 pacientes que tiveram apresentação inicial da doença na faixa etária pediátrica.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Uma medicação que é pilar no tratamento do HPN</p> <p>2ª - Sim, Doença rara que causa grande morbidade aos paciente risco de trombose e óbito do mesmo</p> <p>3ª - Sim, Como é para doença rara não há grande repercussão para economia quando agente observa gastos não situações não apropriadas.</p> <p>4ª - Sim, Doença rara</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. o eculizumabe tem modificado o prognóstico destes pacientes em relação a sobrevida, principalmente em relação a doença renal associada. A recuperação da função renal nestes pacientes já tem sido descrita em vários artigos e experiência relatada.</p> <p>2ª - Sim, experiência própria de criança com internações frequentes e duas com necessidade de diálise por insuficiência renal, após iniciar eculizumabe não mas apresentou insuficiência renal, nem necessitou de internações.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O Eculizumab é a melhor forma para controle da Síndrome Hemolítico Urêmica atípica. Não faz o menor sentido retirar tal medicamento da lista do SUS, ou não incluí-lo nesta recomendação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim, Tivemos no nosso serviço de pediatria um paciente portador de shua que recuperou função renal após uso do eculizumabe e saiu da diálise.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Apesar do alto custo da medicação, o custo com seu não uso é ainda maior, com impacto crônico na vida do paciente, necessidade de diálise, internações frequentes e muitas vezes levando ao óbito.</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. acompanhamos pacientes no Hospital Federal de Bonsucesso que parecem ter obtido melhor prognostico com o uso da medicação em discussao.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
12/08/2019	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>	
12/08/2019	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>	
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Dos casos acompanhados e diagnósticas precocemente e que estão em uso de Eculizumab, a maioria mantém boa resposta com controle da doença e recuperação da função renal. São poucos casos, mas com impacto importante para vida desses pacientes.</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
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. PORQUE EM CASOS DE SÍNDROME HEMOLÍTICO URÊMICO ATÍPICA É O ÚNICO TRATAMENTO EFICAZ</p> <p>2ª - Sim, Síndrome hemolítico urêmica é uma doença devastadora e pode ser controlada com o uso da medicação eculizumab</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	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>	
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Até o advento do eculizumabe o tratamento da síndrome hemolítico urêmica atípica era incerto com sucessivas tentativas de eficácia incerta como plasmaférese que também são muito dispendiosas e incorrem em risco de infecção por imunossupressão excessiva sem trazer claro benefício. O eculizumabe mudou a história natural da SHUa.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	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
12/08/2019	Instituição de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A doença atinge pessoas jovens e pode trazer sequelas graves com altos custos socio-econômicos pessoais e para as instituições de saúde 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	Clique aqui
12/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Medicação reconhecida na literatura médica como tratamento de primeira linha para a Síndrome Hemolítica Urêmica. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Eculizumabe é eficaz para tratamento da síndrome hemolítica urêmica atípica. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. O tratamento com eculizumabe é capaz de proporcionar benefício imensurável ao paciente, impedindo a cronificação da doença e retirando-o da hemodiálise. É visto que este benefício é proporcional ao tempo de início da medicação, ou seja, quando mais rápido iniciar o tratamento específico, maior chance de evitar a continuidade de hemólise e recuperar a função renal. Desse modo, a incorporação do Eculizumabe para tratar SHUa se faz necessária e urgente.</p> <p>2ª - Sim, O relatório técnico da CONITEC considera que “existem incertezas sobre a eficácia do eculizumabe”. Segundo a literatura internacional¹, a SHUa possui consequências potencialmente fatais que a difere quanto a gravidade e evolução clínica da SHU. A SHUa pode resultar em morte e lesão renal progressiva; 33-40% dos pacientes morrem ou evoluem para doença renal terminal com a primeira manifestação, apesar de plasmaférese/infusão de plasma; 79% dos pacientes com SHUa, após três anos de evolução clínica, vão a óbito, necessitam de diálise ou têm lesão renal permanente. Os estudos evidenciam que o uso da plasmaférese é recomendado para normalizar os padrões hematológicos, porém não recuperam a função renal. Estudo internacional (An audit analysis of a guideline for the investigation and initial therapy of diarrhea negative (atypical) hemolytic uremic syndrome, 2014) disponível no Uptodate.com.br evidencia inicialmente bons resultados com o uso da plasmaférese para tratar SHUa. Porém, outro estudo disponível em Pubmed.gov.br (Evaluación crítica de eculizumab para el síndrome hemolítico urémico atípico, 2016) analisou um grupo de 273 pacientes com SHUa tratados com plasmaférese, durante 3 anos, resultou em 2/3 de pacientes adultos que evoluíram para hemodiálise ou óbito. Ao acompanhar pacientes com SHUa, observei por meio do cálculo do Chronic Kidney Disease Epidemiology Collaboration houve recuperação renal somente após o uso do medicamento Eculizumabe em comparação ao uso da plasmaférese. Sabe-se que a plasmaférese terapêutica proporciona melhora transitória do quadro clínico, porém não recupera a perda da função renal nem tão pouco reduz o risco de cronificação do quadro renal por não tratar a causa base do problema. Deste modo, o tratamento com eculizumabe é capaz de proporcionar benefício imensurável ao paciente, impedindo a cronificação da doença e retirando-o da hemodiálise. É visto que este benefício é proporcional ao tempo de início da medicação, ou seja, quando mais rápido iniciar o tratamento específico, maior chance de evitar a continuidade de hemólise e recuperar a função renal.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Segundo a literatura internacional (Atypical Hemolytic Uremic Syndrome (aHUS): Essential Aspects of na Accurate Diagnosis, 2016), que aborda os critérios diagnósticos em SHUa, afirma que os exames genéticos ainda não são capazes de confirmar o diagnóstico de SHUa uma vez que 30% das mutações ainda não foram identificadas e registradas. O quadro clínico clássico de SHUa e exclusão diagnóstica de outras doenças parecem ser fortes indicadores para a conclusão diagnóstica e condução do tratamento.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Instituição de ensino	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. A possibilidade de reconhecimento e manejo da SHUa representa uma alternativa ao emprego continuado de diálise em pacientes selecionados, e redução das morbidades associadas e melhora da qualidade de vida. 2ª - Sim, A SHUa deve ser diagnosticada com o rigor previsto na literatura (Legendre et al, NEJM, 2013; Laurence et al, Clin Adv Hemat & Oncol, 2016; Licht et al, Kidney Int, 2015), e a seleção de pacientes deve levar indicadores clínicos de resposta em consideração para elegibilidade. Nos estudos acima, não ocorreram meningococemias conforme apontado no relatório da Conitec. Além disso, a resposta de ~80% é clinicamente relevante. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/08/2019	Instituição de saúde	1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/08/2019	Profissional de saúde	1ª - Discordo parcialmente da recomendação preliminar. Indicação do Eculizumab é clara para pacientes com diagnóstico de SHU atípica na sua fase aguda e em pacientes com SHU atípica que serão submetidos a transplante renal. 2ª - Sim, Necessario dados com especialistas sobre uso em paciente com Doença renal cronoca secundária a SHUa em dialise crônica 3ª - Sim, Necessário esforços para abaixar o custo da medicação. 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo totalmente com a recomendação preliminar. Não favorável à incorporação só Sus</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A SHUa, principalmente a microangiopatia trombotica após transplante de células-tronco hematopoiéticas, tem elevadíssima letalidade e o eculizumabe é a única estratégia terapêutica com resposta satisfatória e que proporciona chance de sobrevida aos pacientes.</p> <p>2ª - Sim, A microangiopatia trombotica após Transplante de Células-tronco hematopoiéticas é uma complicação extremamente graveA sobrevida para pacientes tratados com o bloqueador do complemento terminal eculizumab ("Tratado", n = 30) e controles históricos de estudo observacional prospectivo TA-TMA com as mesmas características de alto risco da TMA que fizeram não receber eculizumab ("Untreated", n = 11) foram calculados usando Kaplan-Meier e log rank testes começando no diagnóstico TA-TMA para avaliar a significância estatística. Os pacientes com TA-TMA de alto risco que receberam terapia com eculizumab tiveram 62% de sobrevida, comparado com 9% nos não tratados (p = 0,0007).Ref: Sonata Jodele,a,* Christopher E. Dandoy,a Kasiani C. Myers,a Javier El-Bietar,a Adam Nelson,a Gregory Wallace,a and Benjamin L. Laskin.New approaches in the diagnosis, pathophysiology, and treatment of pediatric hematopoietic stem cell transplantation-associated thrombotic microangiopathy.Transfus Apher Sci. 2016 Apr; 54(2): 181–190.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Prezado senhor: a microangiopatia trombotica após transplante de células-tronco hematopoiéticas é uma das formas mais graves de SHUa, com consequências catastróficas para os pacientes e resposta pífia a quaisquer métodos alternativos que não a inibição de complemento. Estes pacientes já foram submetidos ao transplante, procedimento de alto custo, e a falta de tratamento adequado da microangiopatia trás risco iminente de morte para estes pacientes já tão doentes. Pedimos, assim, a sua consideração na aprovação para a indicação de microangiopatia após transplante de células-tronco hematopoiéticas, uma vez que o impacto econômico é mínimo, pelo número restrito de pacientes, e o benefício imenso.</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Discordamos como instituição de ensino e pela casuística do nosso hospital com alguns casos já diagnosticados e tratados com sucesso com Eculizumabe. O medicamento tem aprovação da ANVISA e órgãos internacionais de renome como FDA (Food and Drug Administration) e EMA (European Medicines Agency) e como os pacientes portadores de SHUA estão em risco de morte ou de desenvolver Doença Renal Crônica seria antiético realizar estudos comparativos à placebo. A SHUA é uma doença genética sistêmica e crônica e imprevisível e é causada por uma MAT (microangiopatia trombótica) não imune, caracterizada por hemólise, trombocitopenia e dano a órgão alvo. A doença deve ser diferenciada das outras causas principais de MAT para se fechar o diagnóstico. Quando a SHUA é desmascarada após o Transplante Renal a taxa de perda do enxerto em 5 anos é de 64%, sendo que o KDIGO recomenda o uso profilático de Eculizumabe para os pacientes com alto risco de recorrência da doença após o transplante. Os estudos pivotais demonstram eficácia do medicamento tanto em adultos como em crianças, com melhora da TGFα (Taxa de Filtração Glomerular Estimada) em 26 semanas de 54% para os pacientes adultos e 86% para os pediátricos. Socie (2019) e Menne (2019) apresentam dados de eficácia e segurança no longo prazo com 10 e 6 anos respectivamente de acompanhamento de farmacovigilância, confirmando o perfil favorável do uso do Eculizumabe, inclusive em crianças. Sabe-se que a SHUA é uma doença crônica e o tratamento com plasma (infusão de plasma ou plasmaferese) em longo-prazo determina alta taxa de novos eventos de MAT, evolução para DRCT e óbito (Roumenina LT). Portanto a incorporação deste medicamento seria primordial para se ter acesso rápido no tratamento dos casos de SHUA pela importância do início precoce para se preservar a vida ou evitar que o paciente desenvolva Doença Renal Crônica e necessite realizar sessões de Hemodiálise, 3 vezes por semana durante 4 horas cada, comprometendo a sua vida social, laboral e sua auto-estima.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
12/08/2019	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. As pesquisas para o tratamento de doenças raras trazem resultados positivos e medicamentos inovadores. O Eculizumabe é a única droga indicada e recomendada para o tratamento síndrome hemolítica urêmica atípica. Diversos artigos científicos comprovam a eficácia e a segurança de seu uso. Por isso que o Ministério da Saúde reavalie a incorporação para o tratamento de doenças raras que causam alta mortalidade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. Hoje o Eculizumab é a medicação de escolha para o tratamento da IRA na SHUa, com impacto recuperação da função renal se iniciado de forma precoce.</p> <p>2ª - Sim, DOI: 10.1056/NEJMoa1208981DOI: 10.1038/ki.2014.423</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
12/08/2019	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A SHUA é uma doença devastadora e decorrente de uma ativação crônica descontrolada da via alternativa do complemento, causando dano endotelial. O prognóstico nestes casos é reservado. Na primeira manifestação clínica, cerca de 33% a 40% dos pacientes vão a óbito ou progridem para DRCT(Doença Renal Crônica Terminal) e 65% dos pacientes vão a óbito, requerem diálise ou apresentam dano renal permanente no primeiro ano após o diagnóstico, apesar de plasmaferese e/ou infusão de plasma.Eculizumabe é o único inibidor de complemento aprovado pela ANVISA para uso em SHUA com resultados comprovados por estudos científicos.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo totalmente da recomendação preliminar. A doença é ultrarara. Existem ~200 pacientes no Brasil em tratamento. Eculizumabe é , por enquanto , a única medicação eficaz no controle da doença. Plasmaferese pode ter benefício em alguns pacientes na fase aguda. Dependendo do genótipo, a resposta pode ser excelente ou nenhuma. Plasmaferese / imunossuppressores são o tratamento de escolha na presença do anticorpo anti fator H (não dosado no Brasil atualmente) , e responsável por ~10% dos casos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Existem na literatura diversas publicações , não consideradas no parecer inicial , que demonstram resultados favoráveis após suspensão do tratamento e acompanhamento dos pacientes para recidiva da doença. Provavelmente a maioria dos pacientes que seriam elegíveis para descontinuação do tratamento , não usarão este recurso pelo receio de que , se tiverem um recidiva da doença , não terão acesso novamente ao medicamento , senão , por demanda judicial. Garantir o acesso no caso da apresentação inicial e da recidiva facilitaria a proposta de suspensão do medicamento.</p> <p>4ª - Sim, O Brasil deveria seguir as diretrizes do National Institute for Care and Excellence (NICE), do Reino Unido, usando incorporação da tecnologia para o tratamento da SHUa nas seguintes condições:1.Coordenação do uso de eculizumabe por meio de um sistema de monitoramento decentros especializados para registrar o número de pessoas com diagnóstico e em uso de eculizumabe, bem como o regime posológico e duração do tratamento; 2.Elaboração de um protocolo clínico nacional para uso do medicamento3.Programa de pesquisa, financiado pelo governo, para avaliar a necessidades de manutenção da dose e interrupção do tratamento.</p> <p>5ª - Sim, Investimento inicial para investigação de anticorpos anti-CFH , (aproximadamente 10% do total de casos) , exame disponível sob importação , pode modificar o tratamento de longo prazo , usando-se imunossuppressores (rituximab) por tempo limitado. Investimento inicial para investigação genética de todos os pacientes em tratamento , pode permitir selecionar aqueles pacientes elegíveis para descontinuação do tratamento . Centogene (Alemanha) , custo ~ 5000 euros / paciente .</p>	