

Contribuições da Consulta Pública - PCDT- Mucopolissacaridose Tipo VI (Maroteaux-Lamy) - CONITEC

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Gostaria de alterar o aspecto que exclui do tratamento os pacientes que tem limitações com mobilidade, pois a TRE não é apenas para melhorar a locomoção do portador da síndrome, mas também todo o sistema cardio respiratório, o sistema imunológico, a audição e os que fazem transplante de córnea e imprescindível a medicação para que não haja novos acúmulos de GAGs, bem como manter a pressão intracraniana estável, ou seja, a medicação é necessária para todos os sistemas do corpo humano e retirar a medicação dos pacientes que não tem a locomoção conforme a prevista na proposta em tela, seria como uma verdadeira sentença de morte.	A medicação é imprescindível para que seja mantida uma boa qualidade de vida aos pacientes. Sou mãe de uma portadora e ela faz o uso da TRE a mais de 10 anos. Ela tem 14 anos, cursa o nono ano do ensino fundamental, faz natação e pilates e tem uma vida social ativa. Sem o tratamento ela não teria condições de ter uma vida praticamente normal.	
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Tenho acompanhamento e visto como estes pacientes tem melhorado. Conversem com a famílias e pacientes para ouvir relato deles		
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Tenho duas filhas com mps VI e com a medicação melhorou muito a qualidade de vida delas	
31/07/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Todos os pacientes necessitam da medicação independente da idade para realizar o tratamento e ter qualidade de vida.		
31/07/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
31/07/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Os critérios de exclusão não estão claros o suficiente.	A presente PCDT não se refere à Hidradenite Supurativa.	
31/07/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Os critérios impostos são excludentes aos pacientes que necessitam de tratamento, uma vez que nem todos alcançaram os metros durante o tempo imposto, o que impossibilitará o acesso de terapia a eles.		
31/07/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
01/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
01/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Que atendesse a todas as pessoas com a doença.	Que houvesse mais informações e divulgação sobre a doença	
01/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
01/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Sim, PODERIA ABRANGER CRIANÇAS MAIS NOVAS DIAGNOSTICADAS		
01/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
01/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Sim, Todos os pacientes devem receber o remédio independente da idade.Todos têm direito a vida.O texto indica transplante de medula, porém estudos mostram que esse tipo de tratamento é ineficaz.Quanto mais cedo se inicia a reposição enzimática mais chances o paciente tem, pois o processo de depósito não acontece. Vide abaixo o exemplo da minha filha.	Minha filha tem MPS tipo 6, recebe a reposição enzimática desde os 4 anos de idade, este ano completa 10 anos de tratamento e o remédio é fundamental para parar a evolução da doença.Todos os exames dela não apresentaram sinais de evolução da doença após o início do tratamento. Ela tem diversos problemas, ou sequelas digamos assim, porém estão controlados devido à terapia de reposição enzimática.Ela é extremamente inteligente, se destaca na escola, porém seu corpo sofreu inúmeras deformidades em função do depósito causado pela doença.A enzima mantém controlada a doença e faz com que ela tenha uma qualidade de vida muito boa.Essa doença é extremamente agressiva, causa cegueira, Incapacitação física, problemas cardíacos, ósseos entre outros.	
01/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Sim, O tratamento deve ser oferecido para todas as idades, sem exclusão para maiores de 6 anos.	A terapia de reposição enzimática é comprovadamente eficaz, no tratamento da MPS VI, evitando assim, a progressão fatal da doença.	
01/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
02/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
02/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
02/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
02/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
02/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
02/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
02/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, No que tange CRITÉRIOS DE INCLUSÃO PARA TRE (5.3) inciso b.A exclusão de pacientes que não sejam ambulantes e capazes de percorrer, semajuda, pelo menos 5 metros nos 6 primeiros minutos do Teste da Caminhada de 12 minutos não corrobora para a promoção de saúde e qualidade de vida dos mesmos, considerando que a Mucopolissacaridose tipo VI caracteriza-se por doença multissistêmica e engloba acometimentos cardíacos e oculares principalmente.	Considero o preenchimento das informações sobre SEXO. ORIENTAÇÃO SEXUAL, IDENTIDADE DE GÊNERO e ETNIA irrelevantes para a opinião pública sobretudo por tratar-se de documento técnico-científico sobre o qual tais informações não interferem.	
03/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente				
04/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
04/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Não		
04/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
04/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	Não	Esse protocolo deixa de abranger crianças menores que poderiam se beneficiar	
04/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	Não	Esse protocolo deixa de abranger crianças menores que poderiam se beneficiar	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
04/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	Não	Esse protocolo deixa de abranger crianças menores que poderiam se beneficiar	
05/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
05/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
05/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
05/08/2019	Grupos/associação/organização de pacientes	Muito ruim	Sim, Acredito que todos os pacientes de todas idades podem ser beneficiados com tratamento medicamentoso inclusive tenho relato de pacientes beneficiados em idade até adulto.	Médicos relatam melhorias do paciente temos atualmente pacientes fazendo faculdade Coisa que não acontecia antes de ter medicamento.	
05/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
05/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Os critérios de exclusão para garantir o tratamento da doença é absurdo.	
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
06/08/2019		Muito ruim			
06/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	Os critérios de inclusão não são justos com os pacientes que não se encaixam nesse perfil.	
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
06/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	Essa proposta é injusta com os pacientes que apresentam a doença e não se inserem nos critérios .	
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
06/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
06/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não		
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	A TERAPIA DE REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA APRESENTA ÓTIMAS RESPOSTAS PARA O TRATAMENTO DO PACIENTE REALIZADA COM GALSUFASE .	
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
06/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
06/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Sim, A restrição da TRE aos pacientes acima de 6 anos não é inclusiva por não beneficiar justamente a faixa etária que apresenta mais suspeita clínica e confirmação de diagnóstico. Sugiro ampliação da TRE ao considerar os benefícios e qualidade de vida destes pacientes		
06/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	os critérios de exclusão beneficiam apenas um grupo de pacientes.	
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, SOLICITO ALTERAÇÃO NOS CRITÉRIOS DE ENCLUSÃO PARA TRE .a terapia deve ser possível liberada para todos os pacinetes independente da idade ou mobilidade,sabendo que e significativo a melhor cardio respitaria consequentemente na qualidade de vida deses pacientes.	sou proficional de saude que acompanha a paciente com mps tipo VI em tratamento com NAGLAZINE que apresenta melhora com a terapia em varios aspectos caminhada, melhora da respiração , menas internações por infecção respiratoria , melhor controle cardiologico, maior mobilidade e interação social .	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
06/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, 5.2.2.1 Critérios de Inclusão para TRE:As deformidades ósseas progressivas da doença, como joelhos valgos e deformidades de quadril são limitações importantes para a locomoção dos pacientes. Desta forma, considero sem sentido este ser tomado como o único critério de inclusão para tratamento em pacientes mais velhos. Diversos estudos (em anexo), apontam benefícios globais para a vida dos pacientes, que são maiores que apenas a mobilidade. A qualidade de vida é positivamente afetada pela melhora do sono, diminuição das infecções pelo menor acúmulo em partes moles, desde a língua até infiltração em faringe por exemplo. Além da melhora na morbimortalidade, cujas maiores complicações são as questões respiratórias.		Clique aqui
07/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, O TRATAMENTO PARA TODOS OS PACIENTES É FUNDAMENTAL PARA A MANUTENÇÃO DA SAÚDE E DA QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES	É INADMISSÍVEL O ACEITE DESSE PROTOCOLO	
07/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Sim, Medicação para todos os pacientes	As MPSs podem causar limitações articulares, que levam à mobilidade reduzida. Em alguns casos, os pacientes necessitam de cadeiras de rodas ou outro tipo de suporte para auxiliá-los, gerando inclusão social e qualidade de vida.	
07/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Gostaria de ampliar a faixa etária para o uso da terapêutica, visando contemplar pacientes acima de 18 anos e aqueles que já se encontram com limitações osteoarticulares.	O foco foi dado exclusivamente nas complicações osteoarticulares e no entanto, a terapêutica é eficaz no manejo das complicações cardiopulmonares, que são responsáveis pelo aumento da mortalidade nesses pacientes.	
07/08/2019	Interessado no tema	Ruim	Não	é inadmissível que essa proposta seja aceita. Todos os pacientes tem direito a medicação	
07/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Boa	Sim, Sugiro incluir manter a TRE nos pacientes não deambulantes que já estavam em tratamento pelo outros benefícios como por exemplo, a melhora das dores articulares relatadas pelos pacientes.	Nao	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
07/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Não	Sou pediatra prescritora desses medicamentos e não concordo com esse tipo de limitação de idade. Tratamos em nosso setor um alto numero de pacientes com diversas faixas etárias e é o que mantém os pacientes com qualidade de vida.	
07/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Injusto parar de tratar quem esta bem	
07/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Para continuar o tratamento sem restrições	
07/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Nós como profissionais de saúde, observamos melhoras no quadro geral dos pacientes tratados com a enzima até mesmo aqueles que não deambulam e isso se confirma através de exames que os pacientes realizam e relatos dos familiares.	Sim o critério de exclusão é totalmente irreal, porque o paciente que não deambula ele tem direito ao tratamento sim, porque são cidadãos que estudam, trabalham, casados e o dever da união é promover a saúde a todos.	
07/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Sim o critério de exclusão é totalmente irreal, porque o paciente que não deambula ele tem direito ao tratamento sim, porque são cidadãos que estudam, trabalham, casados e o dever da união é promover a saúde a todos.	
07/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Nós amigos de Pacientes, observamos melhoras no quadro geral dos pacientes tratados com a enzima até mesmo aqueles que não deambulam e isso se confirma através de exames que os pacientes realizam e relatos dos familiares.	Sim o critério de exclusão é totalmente irreal, porque o paciente que não deambula ele tem direito ao tratamento sim, porque são cidadãos que estudam, trabalham, casados e o dever da união é promover a saúde a todos.	
07/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não	
07/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não	
07/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
07/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Eu como paciente observo melhoras no quadro geral com o tratamento com a enzima.	
07/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Deveria ser liberado a todos .nós queremos viver	Sim vcs deveriam toma vergonha na cara	
07/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Como mãe de paciente vejo o progresso da minha filha com esse tratamento na parte respiratória motora entre tantos que são comprovados por exames feitos periodicamente.	A vida da minha filha não tem preço e esse critério de exclusão não condiz com a realidade de vários pacientes hoje no Brasil.	
07/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Eu sou paciente de Mps e a medicação mim proporciona qualidade de vida, sem ela posso até morrer e meu número de internações aumenta.	A minha vida não tem preço, tenho sonhos projetos e desejo realizar eu sou importante sim para meus familiares e amigos, todo tem necessidade desses medicamentos os que andam os que não andam crianças e adultos.	
07/08/2019	Interessado no tema	Ruim	Não	é inadmissível que essa proposta seja aceita. Todos os pacientes tem direito a medicação	
07/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Eu como amigo de pacientes observei melhoras no quadro geral das minhas amigas ao estar se tratando com a enzima, ate mesmo aqueles que não deambulam, e isso se confirma através de exames que os pacientes realizam e relatos dos familiares e meus como amigo.	O corte desse medicamento para os pacientes e para minhas amigas seria aterrorizante e fatal em muitos dos casos, pois pela minha convivência sei a necessidade que essa medicação se faz necessário nas vidas das pessoas com Mucopolissacaridose	
07/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não quero comentar	
08/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não	comentar sobre ganhos funcionais dos pacientes submetidos a TRE e as coadjuvantes;diminuindo morbidades e melhorando qualidade de vida.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, TODOS OS PACIENTES PRECISAM DO MEDICAMENTO	O MEDICAMENTO DEVE SER DIREITO DE TODOS	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Atender a todos os pacientes com diagnóstico da patologia.	Deixar pacientes que não conseguem andar é uma injustiça com quem mais precisa. E força a continuidade da judiciação da compra do medicamento que o encarece e não atende ao paciente em tempo hábil.	
08/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Solicito alteração dos critérios de inclusão para TRE incluindo para pacientes de todas as idades, mesmo que estejam cadeirantes pois podem se beneficiar muito da terapia mesmo dentro destas condições. Os benefícios da TRE vão muito além dos aferidos pelo teste da caminhada. A MPS IV A é uma doença multissistêmica e os benefícios da terapia sobre as funções cardíacas, pulmonar ócio molecular e de qualidade de vida são muito significativos. Ainda que a indicação de transplante de medula de até 6 anos de idade não deverá ser obrigatória , apenas sugestão.	Vários pacientes de tipo VI , alguns deles sem possibilidade de caminhar , mais mesmo assim se beneficiam muito com o tratamento no que diz respeito a questões cardiorrespiratórias , força muscular e qualidade de vida.	Clique aqui
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, gente vamos ser mais humanos,não tirem o direito desses pacientes que precisa desse medicamento para viver,vocês só querem fazer isso por que vocês não por problemas assim,eles tem direito de viver igual todos nois... SOMOS TODOS RARO	Sem comentários.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, gente vamos ser mais humanos,não tirem o direito desses pacientes que precisa desse medicamento para viver,vocês só querem fazer isso por que vocês não por problemas assim,eles tem direito de viver igual todos nois... SOMOS TODOS RARO	sem comentários.....	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, gente vamos ser mais humanos,não tirem o direito desses pacientes que precisa desse medicamento para viver,vocês só querem fazer isso por que vocês não por problemas assim,eles tem direito de viver igual todos nois... SOMOS TODOS RARO	sem comentários.....	
08/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	Nao	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
08/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Gostaria de deixar registrado que hoje não há como rastrear a liberação de um medicamento para o paciente. Aceito que deveria haver um sistema de monitoramento a fim de os profissionais saberem em qual status encontr-se a liberação das doses.	
08/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, A importância desse medicamento na vida desses pacientes é imensa, visto que, com o uso da enzima é ofertado também uma melhor qualidade de vida a essas pessoas. Lido com pacientes de diversas idades, desde escolar até adulto. Inclusive adultos que conseguem uma melhor interação social, pois por usarem de forma correta e assídua não são acometidos por infecções recorrentes e intercorrências levando muitas vezes a internamentos.	Só a nível de informação, quando esses pacientes crianças e adultos faltam a infusão por motivos pessoais já sentem diferença a nível respiratório principalmente. E sentem muitas dores ósseas.	
08/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Não levar em conta apenas o teste de caminhada e GAGs urinarios, mas a melhora da qualidade de vida do paciente, respiratorio, cardiaco, etc... quando estão fazendo uso da medicação.	Não	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
08/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Solicito alteração dos critérios de inclusão para TRE incluindo para pacientes de todas as idades, mesmo que estejam cadeirantes pois podem se beneficiar muito da terapia mesmo dentro destas condições. Os benefícios da TRE vão muito além dos aferidos pelo teste da caminhada. A MPS IV A é uma doença multissistêmica e os benefícios da terapia sobre as funções cardíacas, pulmonar ócio molecular e de qualidade de vida são muito significativos.	sou paciente tipo VI em tratamento e não podemos perder o direito a medicação. É ela que nos garante a sobrevida!	
08/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Que seja liberado o tratamento medicamentoso para todos os pacientes diagnosticados, para todas as idades.	O medicamento apresenta uma melhora significativa na qualidade de vida dos pacientes.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Solicito alteração dos critérios de inclusão para TRE incluindo para pacientes de todas as idades, mesmo que estejam cadeirantes pois podem se beneficiar muito da terapia mesmo dentro destas condições. Os benefícios da TRE vão muito além dos aferidos pelo teste da caminhada. A MPS IV A é uma doença multissistêmica e os benefícios da terapia sobre as funções cardíacas, pulmonar ócio molecular e de qualidade de vida são muito significativos.	Sou mãe de paciente que obteve melhoras significativas no tratamento de mps VI e somos várias mãe lutando pela vida dos nossos filhos. A medicação é de suma importancia !	
08/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Todos os pacientes com mucopolissacaridose tipo IV A devem ser beneficiados com a terapia, visto que, promove uma melhor qualidade de vida.	não	
08/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Sim, Revisão dos critérios de exclusão e de inclusão, no que tange à avaliação pelo teste de Caminhada: Não utilizar o teste de caminhada de 12 minutos como medida de avaliação para inclusão ou descontinuidade da TRE. Um paciente maior de 7anos pode não conseguir o que foi determinado inicialmente e depois de um tempo com a TRE, conseguir cumprir este requisito. Jamais iremos saber se o paciente não estiver em TRE. Minha paciente atualmente com 28 anos, começou a TRE aos 15 anos e a capacidade dela em aumentar a metragem no teste de caminhada foi de fato observada. Atualmente está na faculdade e futuramente será uma trabalhadora (assistente social). Sem a TRE isto não teria acontecido.	Acompanho alguns pacientes com esta doença desde 2006 e o fato de excluir os que não forem "aprovados" no Teste de Caminhada é um critério bastante restritivo, pois sabemos que, como esta doença é multissistêmica, benefícios da TRE para outros sistemas continuam e assim conferem melhor qualidade de vida para os pacientes. Além de colocar o paciente em melhor condição clínica para que possa ser submetido a um procedimento cirúrgico cuja resolução possa auxiliar na deambulação. Outra observação digna de nota é a seguinte: não há grande disponibilidade no SUS a realização dos testes de caminhada - ou seja, não é uma medida prática a ser incluída na prática clínica. Como a cognição é preservada, apesar de um paciente não poder cumprir o critério estabelecido, ainda pode contribuir intelectualmente para a sociedade e isto deve ser considerado. Sem a TRE, a longevidade irá diminuir e uma pessoa não pode ser resumida a uma medida que é de certa forma, limitada.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Para o paciente ter uma qualidade de vida melhor, pois eles precisam dessa medição, pois só com essa medicação e tem mais tempo de sobrevivência. Quanto mais da medicação a chance de vida é maior.	Esses medicamentos deveriam ser liberados sem tanta burocracia, pois os pacientes necessitam desses medicamentos.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Para o paciente ter uma qualidade de vida melhor, pois eles precisam dessa medição, pois só com essa medicação e tem mais tempo de sobrevivência. Quanto mais da medicação a chance de vida é maior.	Esses medicamentos deveriam ser liberados sem tanta burocracia, pois os pacientes necessitam desses medicamentos.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Os pacientes precisam dessa medicação para sobreviver, o que vocês estão fazendo, não é certo!	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, A proposta restritiva prejudica pacientes já assistidos.	A proposta restritiva prejudica pacientes já assistidos.	
08/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, O texto exclui quatro dados extremamente importantes: 1) Os indivíduos com MPS6 normalmente não apresentam comprometimento neurocognitivo; 2) A idade média de diagnóstico dos MPS6 é superior aos 5 anos; 3) Entre os diversos sistemas afetados pela doença, um dos que apresentam melhora mais rápida e significativa é o respiratório, ajudando no cardiovascular e nos outros; 4) O que define a gravidade de qualquer quadro clínico, em especial os erros inatos do metabolismo, é o grau de comprometimento dos dois sistemas orgânicos mais importantes à vida, que são o neurocognitivo e o cardiorespiratório.	A iniciativa da inclusão da TRE para MPS6 na lista de medicamentos de alto custo é excelente por reduzir a judicialização e acelerar o processo de tratamento dos pacientes. Por outro lado, as limitações colocadas para esse tratamento apresentam falhas graves. Baseado no que apontei acima, gostaria de questionar a comissão que elaborou esse PCDT: 1) Qual a porcentagem dos casos diagnosticados eles esperam que receba tratamento, visto que o intervalo entre o diagnóstico e o tratamento é muito curto; 2) Em qual lugar do país, excetuando a cidade de Monte Santo/BA, existe triagem neonatal para MPS6 permitindo que haja o máximo de tempo hábil para o tratamento; 3) Por que pessoas que não andam, mas têm cognitivo normal (cadeirantes), devem ser discriminadas e ficar sem tratamento; 4) Se ocorrer descontinuidade do tratamento por falta de fornecimento do tratamento por parte do governo (algo corriqueiro neste país) e o(a) paciente perder a marcha, mas mantiver o cognitivo, perderá o direito ao tratamento.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
09/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	Sim, EM RELAÇÃO AO HSCT, A RELAÇÃO RISCO BENEFICIO AO PACIENTE É MENOS CLARA SE COMPARARMOS AOS OUTROS TIPOS DE MPS. OS RISCOS PODEM SER ALTOS EM CENTROS COM MENOR EXPERIENCIA PARA TAL PROCEDIMENTO.	COM RELAÇÃO AOS CRITERIOS DE INCLUSÃO, ACREDITO QUE MESMO OS PACIENTES QUE NÃO DEAMBULAM PODEM SE BENEFICIAR DA TRE. PREVENINDO O APARECIEMTNO E/OU PROGRESSÃO DE ANORMALIDADES CARDIACAS VALVARES. MELHORA DA MOBILIDADE E DIMINUIÇÃO DAS DORES ARTICULARES, PROMOVENDO MELHORA DA QUALIDADE DE VIDA. TAMBÉM HÁ MELHORA DA FUNÇÃO PULMONAR COM A TRE, SENDO QUE TODOS ESTES FATORES IMPACTAM NA DIMINUIÇÃO FREQUENCIA DAS INTERNAÇÕES DESTES PACIENTES,	Clique aqui
09/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Nós pacientes precisamos muito desse tratamento.	
09/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Alteração do texto para não restringir cadeirante ou pessoa com deficiência.	A proposta do PDCT está restringindo acesso a pacientes que hoje já se beneficiam. Tem que incluir pessoas com mobilidade reduzida e cadeirantes.	
09/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	Não	
09/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito boa	Não	OS NOVOS CRITERIOS DE INCLUSAO DEVERIAM SER ESTABELECIDOS APENAS PARA OS NOVOS PACIENTES DIAGNOSTICADOS.	Clique aqui
09/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não	A aprovação do PCDT pode modificar de forma positiva a vida dos pacientes portadores de MPS tipo VI	
09/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Não	Estes pareceres restritivos que podem excluir um terc#807;o de toda a populac#807;a#771;o de pacientes com MPS VI	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
09/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Os benefícios da terapia de reposição enzimática para pacientes com MPS VI vão muito além da caminhada, desta forma não seria ético excluir pacientes cadeirantes para ter acesso ao tratamento. mesmo sem mobilidade, estes pacientes tem a função cognitiva normal e apresentam significativas melhoras com a terapia como melhora das funções cardio-respiratórias, melhora da dor e qualidade de vida.	não	
09/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Os benefícios da terapia de reposição enzimática para pacientes com MPS VI vão muito além da caminhada, desta forma não seria ético excluir pacientes cadeirantes para ter acesso ao tratamento. mesmo sem mobilidade, estes pacientes tem a função cognitiva normal e apresentam significativas melhoras com a terapia como melhora das funções cardio-respiratórias, melhora da dor e qualidade de vida. Todos os estudos e a bula da medicação indicam o tratamento para todos os pacientes independente de idade ou mobilidade. Sou médica, Esta é uma doença ultra rara e o cada paciente deve ser avaliado individualmente pelo seu médico.	não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
10/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, É necessário reavaliar dentro desta proposta de PCDT, os critérios de inclusão e exclusão, onde exclui os cadeirantes e/ou os que deixarem de andar no decorrer do tratamento.	<p>Sou cuidadora de pessoa acometida pela Mucopolissacaridose do Tipo VI. Tive dois filhos com essa doença, sendo que um deles veio à óbito por falta de tratamento. Falo de uma época em nada havia, muito menos informação, que dirá esperança. Meu segundo filho está em tratamento com N-acetilgalactosamina 4-sulfatase, ou Galsulfase, desde outubro de 2003. Esse medicamento salvou a vida dele e tem possibilitado nestes últimos 16 anos, uma qualidade de vida nunca antes esperada. Dudu já estava praticamente cadeirante. Mal conseguia parar em pé. Sua condição cardio-respiratória era assustadora. Estava surdo bilateral, cego e com mobilidade reduzida, além de problemas nas articulações. Sua melhora era evidente a cada infusão. Teve revertido o quadro de insuficiência cardio-respiratória (que não existe mais), sua mobilidade foi restaurada, surdez revertida e as demais sequelas que não melhoraram, mantiveram-se estáveis (o que num quadro de doença progressiva e degenerativa, é um grande ganho).Diante de todo o exposto, solicito que o relatório de incorporação para PCDT para o tratamento da Mucopolissacaridose do Tipo VI, N-acetilgalactosamina 4-sulfatase ou Galsulfase - única opção terapêutica para esta doença - seja extendido para TODAS as pessoas diagnosticadas com essa doença, excluindo do texto o critério de NÃO INCLUSÃO DE CADEIRANTES e excluindo também o critério de exclusão do tratamento para quem deixar de andar no decorrer do mesmo, visto que, este medicamento, ora citado acima, TEM um excelente efeito para controle da doença, possibilitando à esses indivíduos em tratamento, uma melhora expressiva nos danos por ela</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
10/08/2019	Profissional de saúde	Regular	<p>Sim, A idade para inclusão do Paciente com Mucopolissacaridose tipo VI na TRE não deve ter limitações, exceto em casos em que a vida não possa ser garantida, visto que os benefícios de estabilização do quadro clínico, mesmo nos pacientes que já não têm mais a marcha, ainda podem existir inclusive nos quadros mais graves. A vida, independente da capacidade motora ou intelectual, é o dom maior e não pode ser desprezada, principalmente se for possível garantir alguma qualidade de vida e saúde, mesmo a pacientes graves.</p>	<p>acarretados, revertendo em alguns casos sequelas adquiridas e nos demais sintomas e sequelas, trazendo a estabilização destes. Vale ressaltar que para alguns, andar é primordial numa existência, mas para estas pessoas, tão penalizadas por esta condição genética e rara, VIVER e VIVER com qualidade e dignidade, conseguindo respirar e contribuir com a sociedade, faz toda a diferença, mesmo que sua mobilidade esteja comprometida.</p>	nao

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
10/08/2019	Grupos/associação/organização de pacientes	Regular	Sim, É necessário reavaliar dentro desta proposta de PCDT, os critérios de inclusão e exclusão, onde exclui os cadeirantes e/ou os que deixarem de andar no decorrer do tratamento.	<p>Como uma ENTIDADE CUIDADORA de pessoas acometidas por doenças raras, venho enfatizar o benefício deste tratamento - N-acetilgalactosamina 4-sulfatase ou Galsulfase - para as pessoas acometidas pela Mucopolissacaridose do Tipo VI. O IVR é a primeira associação de pacientes para Mucopolissacaridoses na América Latina e foi fundado em uma época em nada havia, muito menos informação, que dirá esperança. Trabalhamos então de forma incansável para que todas as pessoas acometidas por esta doença fossem encontradas e beneficiadas por um tratamento digno e de qualidade. Muitas pessoas à partir de então, tiveram a chance de uma segunda vida, quando chegou o referido tratamento, agora em discussão por consulta pública no CONITEC. Vale ressaltar que muitas destas pessoas acometidas por este mal, estão vivos até hoje depois de ter acesso a este tratamento. Alguns já cadeirantes inclusive, voltaram a andar e até mesmo, andar de bicicleta. Esse medicamento salvou a vida de muitos e tem possibilitado nestes últimos anos, uma qualidade de vida nunca antes esperada e que deve ser preservada. Diante de todo o exposto, solicito que o relatório de incorporação do PCDT para o tratamento da Mucopolissacaridose do Tipo VI, para o tratamento com N-acetilgalactosamina 4-sulfatase ou Galsulfase - ÚNICA OPÇÃO TERAPEUTICA PARA ESSA DOENÇA - seja estendido para TODAS as pessoas diagnosticadas com essa doença, excluindo do texto o critério de NÃO INCLUSÃO DE PESSOAS CADEIRANTES e excluindo também o critério de exclusão do tratamento para aquele que deixar de andar no decorrer do mesmo, visto que, este medicamento, ora citado acima, TEM um</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
				<p>excelente efeito para controle da doença de modo geral, possibilitando à esses indivíduos em tratamento, uma melhora expressiva nos danos por ela já acarretados, revertendo em alguns casos sequelas adquiridas e para os demais sintomas e sequelas, trazendo a estabilização dos mesmos. RESSALTO também que para alguns, andar pode ser primordial numa existência, mas para estas pessoas, tão penalizadas por esta condição genética e rara, VIVER e VIVER com qualidade e dignidade, conseguindo respirar e contribuir com a sociedade, faz toda a diferença, mesmo que sua mobilidade esteja reduzida e/ou comprometida.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
10/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Regular	<p>Sim, Pagina 8 – item 4 – critérios de inclusão que possa ser considerada a inclusão de paciente no protocolo para aqueles que possuam o resultado de exame genético molecular, com variantes patogênicas que confirmem o diagnostico, em especial em casos familiares. Na pratica do dia a dia temos alguns pacientes diagnosticados deste modo, que estão tendo dificuldades de acesso a medicamentos para os quais já há PCDT (MPS I e II) mediante exigência de GAGs urinários e/ou ensaios de atividade enzimática. Minha sugestão como critério de inclusão seria: aumento de GAGs MAIS alteração na atividade enzimática OU diagnostico molecular compatível com a doença. Quanto aos pacientes já diagnosticados e em tratamento – não vejo justificativa de reavaliação / realização de novos exames. Bastaria apresentar a secretaria de saúde os exames da época do diagnostico. Pagina 13 item 5.3 – critérios de inclusão para terapia de reposição enzimática Não há justificativa na MPS VI disponibilizar o tratamento por terapia de reposição enzimática para maiores de 7 anos apenas se deambularem. Há evidencia de melhora na saúde, redução de complicações (lentificação de progressão da doença cardíaca, menos infecções respiratórias, menos internações) e qualidade de vida (melhora no sono e disposição em geral) com o uso da medicação mesmo em pacientes que não andam. Pagina 11 – item 5.1.4 – a coluna cervical deve ser lembrada nas indicações cirúrgicas, uma vez que a compressão medular cervical é complicação bem conhecida da doença. Pagina 20 – anexo 1 – peço atenção aos itens / órgãos e sistemas listados Não há menção no acometimento do sistema nervoso periférico a síndrome do túnel do carpo, complicação extremamente frequente e que deve ser corrigida assim que diagnosticada. Em caso de síndrome do túnel do carpo em crianças a primeira causa a ser considerada é a mucopolissacaridose. Compressão medular é complicação do sistema nervoso central, não listado (não é sistema nervoso periférico). Recomenda-se incluir. Tampouco há menção a hidrocefalia nesta listagem, apesar de citada ao longo do PCDT,</p>	<p>Considero muito importante ter PCDT para esse grupo de doenças. Ratifico ser fundamental o seguimento dos pacientes por serviços especializados e a disponibilização de exames periodicos / avaliações especializadas conforme recomendado. Nem sempre conseguimos cumprir tais recomendações por limitações no SUS.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			complicação frequente e por vezes de difícil diagnóstico, muitas vezes sendo necessária medida de pressão liquórica pois não há aumento dos ventrículos devido ao depósito de GAGs. Essa é causa frequente de perda visual na MPS VI. Sugiro chamar atenção para o fato e para a importância da raquimanometria (medida de pressão liquórica), pouco conhecida dos médicos.		
10/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Sem restrições ao tratamento dos pacientes!	A vida é o que importa!	
10/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Sou mãe de paciente e gostaria que não tirassem o direito de nossos filhos, e sim da continuidade da vida.	
10/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Acredito que a disponibilidade da medicação tem de ser universal aos pacientes com Diagnóstico de Mucopolissacaridose, independente de idade, sexo, localização e grau de acometimento clínico. Outro ponto crítico da proposta é a idade de diagnóstico. A MPS seja tipo VI, I, II ou IV, o diagnóstico é difícil, a informação é escassa e muitas vezes o diagnóstico é tardio. No entanto até o diagnóstico mais tardio, a reposição enzimática pode causar benefícios aos pacientes (alguns sistemas como cardiopulmonar mais que outros como ortopédico). O `endurance` também não deve ser um critério para uso contínuo ou suspensão do tratamento. A história natural da doença, infelizmente, cursa com progressão da limitação da mobilidade, principalmente pelo acometimento articular e músculo esquelético, e os pacientes eventualmente param de deambular. Dessa maneira não acredito que suspender o medicamento que beneficia o paciente de uma maneira geral, apenas pela degeneração da função motora seja uma opção adequada.	Trabalho em hospital de referência no tratamento da MPS, e mesmo que a "opinião de um especialista" possui um valor de evidência científica menos valioso, acredito que a medicação é um marco importante para o tratamento das doenças de depósitos, e deveria ser direito de todos.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
11/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Boa	Sim, Minha preocupação, como médico especialista em mucopolissacaridoses que tem larga experiência com a síndrome de Maroteaux-Lamy, se refere aos pacientes com mais de 6 anos que não deambulam. Muitos desses pacientes hoje recebem terapia de reposição enzimática com galsulfase, com benefícios claros para o coração, o aparelho respiratório, as vísceras e as articulações, para mencionar alguns aspectos mais relevantes. Não tenho dúvidas que a interrupção do tratamento nesses pacientes levaria a uma piora significativa no quadro clínico. e poderia inclusive contribuir para o seu óbito (ver artigo anexo de minha autoria sobre sobrevida em pacientes tratados e não tratados). Por outro lado, alguns pacientes com mais de 6 anos não deambulam por problemas articulares, falta de capacidade cardiopulmonar ou mesmo dor, e seu tratamento com terapia de reposição enzimática poderia fazê-lo superar a limitação para deambular. Assim, minha proposta é no sentido de permitir que os pacientes com mais de 6 anos com dificuldades para deambular que estão em tratamento possam continuar, e para que aos pacientes novos seja autorizado o tratamento por um período probatório de 6 a 12 meses, para avaliar se o tratamento não repercute positivamente na deambulação do paciente.	Não	Clique aqui
11/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Gostaria que todos tivessem o direito a vida.	
11/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Gostaria que todos os pacientes tivessem o direito de ter uma vida sem interrupção dos seus direitos.	
11/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Gostaria que todos tivessem o direito de usufruir dos seu direitos.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
11/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	<p>Sim, Página 13, transplante de células tronco-hematopoiéticas: As evidências sobre os benefícios do transplante em relação a terapia de reposição de enzimas não são consistentes na literatura. O último consenso de especialistas sobre MPS IV (Akyol et al, 2019) indica que o transplante pode ser considerado como opção se for realizado em centros especializados em transplante de doenças metabólicas. Além disso, deve ser considerado a mortalidade e o sucesso do procedimento. A idade limite de 6 anos também não encontra embasamento na literatura. Assim, sugiro trocar no texto do protocolo o termo utilizado "deverão", que traz a mensagem de primeira escolha de tratamento, por "poderão" ou "é indicado uma avaliação", possibilitando uma discussão sobre a realização ou não do transplante. Retirar também o limite de idade de 6 anos. Entrementes, sugiro considerar a possibilidade de indicação de qual centro especializado em transplante para avaliação, uma vez que desconheço no Brasil centro com essa expertise em doenças metabólicas. Critérios de inclusão e exclusão para TRE: o estudo de evidências científicas para tratamento de doenças raras deve considerar uma metodologia diferente de doenças com alta frequência da população geral, uma vez que é impossível de alcançar parâmetros fundamentais como tamanho da amostra. Ademais, o protocolo ao desconsiderar estudos que não atingiram esses parâmetros, não avalia trabalhos que demonstram benefícios além dos expostos como: melhoria de qualidade de vida, aumento do crescimento, diminuição do número de internações hospitalares, estabilização da função cardíaca e aumento da expectativa de vida. Assim, quando o protocolo limita a idade de 6 anos ou a mobilidade, ele desconsidera que: as doenças raras são de difícil diagnóstico e geralmente existe um atraso importante entre o início dos sintomas e o diagnóstico; o parâmetro mobilidade não deve ser considerado como único benefício da TRE e diverge da literatura atual sobre a doença (Akyol et al., 2019). Logo, sugiro que critérios de inclusão sejam ampliados para as pessoas que possuem</p>	<p>O protocolo deve considerar que os recursos terapêuticos são escassos e que existe uma questão subjetiva fundamental para os pacientes e a família. Novas tecnologias promissoras estão em fase avançada de desenvolvimento. Os benefícios que a terapia de reposição trazem, podem permitir que pacientes permaneçam com condições clínicas favoráveis para receberem essas novas tecnologias. Assim, um protocolo muito restritivo como esse apresentado, sem consonância com a experiência internacional, pode gerar a judicialização para acesso e sofrimento para família e pacientes. Ademais, uma questão ética surge com o protocolo apresentado que também pode levar a judicialização: pacientes que possuem a consciência preservada, capazes de decidir, porém com mobilidade restrita não terão acesso ao tratamento. Ao não terem acesso ao tratamento, saberão que a expectativa de vida será abreviada. Será que direitos constitucionais estão sendo violados? O direito a vida, um direito constitucional fundamental, deve ser respeitado pelo protocolo.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>MPS IV e que nos critérios de exclusão conste as particularidades restritivas. Nos critérios de exclusão, acho válido avaliação de especialistas para considerar condições que podem ser limitantes para o tratamento. Porém, o limite de 6 meses de sobrevida é muito difícil de ser determinado. A determinação de sobrevida é algo extremamente subjetivo e que pode gerar equívocos. pag 15: Critérios de interrupção: Os critérios consideram a efetividade do tratamento apenas com os referenciais da mobilidade e a diminuição dos GAGs urinários, o que é um equívoco, como citado acima. Além disso, não está claro a periodicidade das avaliações dos benefícios; se são os 6 meses iniciais ou de 6 em 6 meses. Outra questão é a hipersensibilidade; ela pode ocorrer no início do tratamento ou também depois de algum tempo de tratamento. Porém, existem protocolos eficazes de dessensibilização, que possibilitam a manutenção do tratamento. Assim, sugiro ampliar a avaliação clínica de melhora ou benefícios, bem como uma definição mais clara da periodicidade e, também, relativizar a hipersensibilidade. Lembro que a facilidade de acesso ao tratamento é fundamental para qualidade de vida do paciente e da família. Logo, um protocolo que busque uma diminuição da burocracia para acesso é almejado pelos pacientes e família. Pag 27: Existe um erro, pois coloca as buscas para "tratamento de MPS 1", a doença é MPS IV.</p>		
11/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	Sim, Idade de acesso a medicação deve ser mais abrangente devido a dificuldade de diagnóstico precoce no Brasil.	não	
11/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Os critérios de inclusão baseados apenas em idade e teste de caminhada são muito simplórios e limitados. Deve-se avaliar o paciente globalmente e de forma multissistêmica, considerando também a qualidade de vida e as atividades de vida diária.	Minha sucinta sugestão é modificar os critérios de inclusão considerando os vários aspectos da vida diária que podem ser otimizados com o tratamento, não apenas o fato de conseguir deambular tantos metros.	
11/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Sim, Não ter limite de idade e permitir pacientes que andam que andam distância mínima também receba a medicação	Ver item 7	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
11/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito boa	Sim, Ampliar a faixa etária para uso da medicação e diminuir as restrições pois na prática clínica observamos uma melhora significativa na qualidade de vida dos paciente diminuindo a frequência e o tempo de internação pelas intercorrências que os pacientes apresentam	Nao	
11/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	Discutir em maior detalhes o que é aconselhamento genético nos PCDTS, quais as indicações médicas para uma possível fertilização in vitro com diagnóstico pré-implantacional e discutir com especialistas custo-benefício de implantar essas técnicas pelo SUS para famílias/casais com variantes patogênicas diagnosticadas para doenças graves.	
11/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Pacientes em uso da galsulfase e perderam a deambulação deveriam manter a medicação devido à uma melhora do prognóstico respiratório, evitando que fique dependente de ventilação mecânica ou CPAP.	Não.	Clique aqui
11/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Regular	Sim, Sim, pois pacientes que já fazem tratamento com a galsulfase , deveria manter o tratamento mesmo que sejam cadeirantes, pois evita que use ventilação mecânica assistida, melhorando a qualidade de vida, mesmo que não deambule.	Não	Clique aqui
11/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Minha opinião é que os critérios de inclusão não consideram a qualidade de vida do paciente como um todo, ou seja, o ser humano que não anda pode realizar outras atividades em seu dia-a-dia. Para pessoas hígdias, por exemplo, pentear os próprios cabelos ou se vestir pode parecer algo banal, no entanto, para esses pacientes têm um grande impacto em suas vidas.	Minha sugestão é de ampliar a faixa etária nos critérios de inclusão, pois, infelizmente, em nosso país, o diagnóstico dessas crianças é feito tardiamente. Deste modo, os critérios atuais excluem cerca de um terço dos pacientes com MPS VI. Poderia ser feito um seguimento desses pacientes acima de 5 anos, avaliando o impacto da medicação na qualidade de vida. Nos pacientes que não apresentasse resposta satisfatória, suspenderia a terapia. Nos pacientes que apresentasse, manteria o tratamento.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
11/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Manter terapia pois eles respondem bem ao tratamento	
11/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Manter terapia pois eles respondem bem ao tratamento Não seria justo interromper	
11/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, tem direito a realizar a terapia o paciente com testes bioquímicos e/ou moleculares característicos da doença independente da idade, exceto aqueles que estiverem em fase final de doença não responsivos aos estímulos do ambiente. a medicação mantém a progressão lenta da doença permitindo a melhora da qualidade de vida, principalmente nos casos iniciais, assintomáticos. limitar a idade do paciente para iniciar a terapia é condenar os pacientes a morte. limitar a terapia a não cadeirantes significa eugenia, proibida no Brasil, o que torna esse pcdt ridículo	gostaria que houvesse mais profissionalismo na realização dos pcdt. a política de doenças raras foi feita com colaboração de setor público, profissionais de saúde experientes na área e sociedade civil. o pcdt vem na contramão dessa ideia e estimula judicialização	
11/08/2019	Instituição de saúde	Muito boa	Não	Considero a incorporação de novas tecnologias o supra sumo do sucesso em relação às expectativas do resultado em termos de benefício da ação x não ação. Além disso devemos sempre levar em consideração a custo-efetividade das ações em termos de economicidade, ou seja: o custo da medicação e menor do que a soma de todos os procedimentos preventivos, curativos e de reabilitação das doenças? A medicação melhora o número necessário para tratar (NNT)? a medicação traz eventos adversos aceitáveis e que são administráveis? Se sim, não há maior razão de economia do que o CONITEC aprovar.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
11/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Alteraria os critérios de inclusão e exclusão, por se tratar de uma doença genética e que não tem cura, todo paciente no decorrer da sua vida terá no futuro diminuição de sua mobilidade, porém, apesar das suas limitações ele é ainda apto para viver, sendo assim discordo totalmente desse PCDT, e concederia a medicação para todos os pacientes com MPS VI, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada paciente.	Surgiu que seja concedido a medicação para todos os pacientes com MPS VI, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada paciente.	
11/08/2019	Grupos/associação/organização de pacientes	Muito ruim	Sim, Alteraria os critérios de inclusão e exclusão, por se tratar de uma doença genética e que não tem cura, todo paciente no decorrer da sua vida terá no futuro diminuição de sua mobilidade, porém, apesar das suas limitações ele é ainda apto para viver, sendo assim discordo totalmente desse PCDT, e concederia a medicação para todos os pacientes com MPS VI, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada paciente.	Surgiu que seja concedido a medicação para todos os pacientes com MPS VI, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada paciente.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	nao	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	<p>Sim, Art. 196. A saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação. Acesso universal e igualitário constitui já que a Constituição Federal de 1988 garante por meio do artigo 5º que “todos são iguais perante a lei, sem distinção de qualquer natureza, garantindo-se aos brasileiros e aos estrangeiros residentes no País a inviolabilidade do direito à vida, à liberdade, à igualdade, à segurança e à propriedade”. De acordo com o princípio da igualdade adotado pela Constituição Federal de 1988, “todos os cidadãos têm o direito de tratamento idêntico pela lei, em consonância com os critérios albergados pelo ordenamento jurídico” (MORAES, 2017, p. 36). Sabe-se que essa igualdade não surge do acaso, ela é proveniente da evolução de direitos fundamentais, da luta da humanidade por direitos. Portanto, o Estado tem o dever de buscar estratégias que promovam a saúde. Para tanto, deverá se utilizar de políticas públicas sociais e econômicas. Ainda, de acordo com Solha (2014, p. 11), a criação do SUS é o maior acontecimento na história da saúde pública no Brasil, regulamentado pela lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990 e tem princípios: [...] princípios calcados em ética e solidariedade, para guiar o sistema: universalidade (todo cidadão brasileiro tem direito a usar os serviços do SUS); equidade (os serviços devem ser ofertados de acordo com a necessidade de cada cidadão/população, com justiça social); e integralidade (os serviços devem ter foco na prevenção de doenças, na promoção da saúde, na cura e na reabilitação, atendendo as necessidades de saúde da população como um todo.</p>	<p>A Constituição Federal também proíbe a discriminação, ou seja, o Estado não pode discriminar, impor ou tratar os cidadãos de maneira diferenciada em função de distinções de qualquer natureza, dessa forma, o Estado é proibido de agir contrariamente ao texto constitucional. Com relação ao princípio da universalidade, é importante dizer que compete ao Estado um dever de agir perante cada necessidade específica, não impedindo que sejam feitas diferenciações para aplicação do direito social à saúde. A universalidade está calcada na “igualdade material” que por sua vez corrobora com as discriminações positivas idealizadas para a busca da Justiça Social (SARLET; FIGUEIREDO, 2013). Nesse sentido, fica clara a responsabilidade do Estado na implementação de políticas públicas de saúde para garantir que todos os cidadãos tenham acesso aos seus direitos sociais conforme está disposto no texto constitucional de 1988.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	<p>Sim, Art. 196. A saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação. Acesso universal e igualitário constitui já que a Constituição Federal de 1988 garante por meio do artigo 5º que “todos são iguais perante a lei, sem distinção de qualquer natureza, garantindo-se aos brasileiros e aos estrangeiros residentes no País a inviolabilidade do direito à vida, à liberdade, à igualdade, à segurança e à propriedade”. De acordo com o princípio da igualdade adotado pela Constituição Federal de 1988, “todos os cidadãos têm o direito de tratamento idêntico pela lei, em consonância com os critérios albergados pelo ordenamento jurídico” (MORAES, 2017, p. 36). Sabe-se que essa igualdade não surge do acaso, ela é proveniente da evolução de direitos fundamentais, da luta da humanidade por direitos. Portanto, o Estado tem o dever de buscar estratégias que promovam a saúde. Para tanto, deverá se utilizar de políticas públicas sociais e econômicas. Ainda, de acordo com Solha (2014, p. 11), a criação do SUS é o maior acontecimento na história da saúde pública no Brasil, regulamentado pela lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990 e tem princípios: [...] princípios calcados em ética e solidariedade, para guiar o sistema: universalidade (todo cidadão brasileiro tem direito a usar os serviços do SUS); equidade (os serviços devem ser ofertados de acordo com a necessidade de cada cidadão/população, com justiça social); e integralidade (os serviços devem ter foco na prevenção de doenças, na promoção da saúde, na cura e na reabilitação, atendendo as necessidades de saúde da população como um todo.</p>	<p>A Constituição Federal também proíbe a discriminação, ou seja, o Estado não pode discriminar, impor ou tratar os cidadãos de maneira diferenciada em função de distinções de qualquer natureza, dessa forma, o Estado é proibido de agir contrariamente ao texto constitucional. Com relação ao princípio da universalidade, é importante dizer que compete ao Estado um dever de agir perante cada necessidade específica, não impedindo que sejam feitas diferenciações para aplicação do direito social à saúde. A universalidade está calcada na “igualdade material” que por sua vez corrobora com as discriminações positivas idealizadas para a busca da Justiça Social (SARLET; FIGUEIREDO, 2013). Nesse sentido, fica clara a responsabilidade do Estado na implementação de políticas públicas de saúde para garantir que todos os cidadãos tenham acesso aos seus direitos sociais conforme está disposto no texto constitucional de 1988.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	<p>Sim, Art. 196. A saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação. Acesso universal e igualitário constitui já que a Constituição Federal de 1988 garante por meio do artigo 5º que “todos são iguais perante a lei, sem distinção de qualquer natureza, garantindo-se aos brasileiros e aos estrangeiros residentes no País a inviolabilidade do direito à vida, à liberdade, à igualdade, à segurança e à propriedade”. De acordo com o princípio da igualdade adotado pela Constituição Federal de 1988, “todos os cidadãos têm o direito de tratamento idêntico pela lei, em consonância com os critérios albergados pelo ordenamento jurídico” (MORAES, 2017, p. 36). Sabe-se que essa igualdade não surge do acaso, ela é proveniente da evolução de direitos fundamentais, da luta da humanidade por direitos. Portanto, o Estado tem o dever de buscar estratégias que promovam a saúde. Para tanto, deverá se utilizar de políticas públicas sociais e econômicas. Ainda, de acordo com Solha (2014, p. 11), a criação do SUS é o maior acontecimento na história da saúde pública no Brasil, regulamentado pela lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990 e tem princípios: [...] princípios calcados em ética e solidariedade, para guiar o sistema: universalidade (todo cidadão brasileiro tem direito a usar os serviços do SUS); equidade (os serviços devem ser ofertados de acordo com a necessidade de cada cidadão/população, com justiça social); e integralidade (os serviços devem ter foco na prevenção de doenças, na promoção da saúde, na cura e na reabilitação, atendendo as necessidades de saúde da população como um todo.</p>	<p>A Constituição Federal também proíbe a discriminação, ou seja, o Estado não pode discriminar, impor ou tratar os cidadãos de maneira diferenciada em função de distinções de qualquer natureza, dessa forma, o Estado é proibido de agir contrariamente ao texto constitucional. Com relação ao princípio da universalidade, é importante dizer que compete ao Estado um dever de agir perante cada necessidade específica, não impedindo que sejam feitas diferenciações para aplicação do direito social à saúde. A universalidade está calcada na “igualdade material” que por sua vez corrobora com as discriminações positivas idealizadas para a busca da Justiça Social (SARLET; FIGUEIREDO, 2013). Nesse sentido, fica clara a responsabilidade do Estado na implementação de políticas públicas de saúde para garantir que todos os cidadãos tenham acesso aos seus direitos sociais conforme está disposto no texto constitucional de 1988.</p>	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	<p>Sim, Como paciente mim sinto melhor Minha respiração é melhor</p>	Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, A medicação é efetiva também em maiores de 6 anos de idade. Há melhora da qualidade de vida, diminuição das infecções respiratórias, e melhora na mobilidade	A medicação deve contemplar todos os pacientes diagnosticados com MPSVI, pois melhora a qualidade de vida dos pacientes de todas as faixas etárias.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Temos que facilitar a vida dos que mais precisam.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Pessima proposta	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Nao. Somente agradecer a oportunidade de opinar.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nao.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Todos devem ter o direito a medicação, vamos deixar os medicos decidirem os tratamentos.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Proposta péssima	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Negativo!	
12/08/2019	Interessado no tema	Regular	Não	Oljrs osra o cidadão	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não aprovo do jeito que estão querendo fazer	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Interessado no tema	Regular	Não	Não.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Que acho muito importante a manutencao medicamentosa para abrangência de maior contingente de pacientes	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Da importancia da manutenção medicamentosa para abrangência de maior contingente de pacientes	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Aprovação já!!!!	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Acho muito importante a manutencao medicamentosa para abrangência de maior contingente de pacientes	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Acho muito importante a manutencao medicamentosa para abrangência de maior contingente de pacientes	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Acho muito importante a manutencao medicamentosa para abrangência de maior contingente de pacientes	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Esses pacientes não podem perder o tratamento	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	A exclusão de tratamento de paciente maiores de 7 anos ou que não consigam realizar o teste da caminhada, privaram uma grande parte dos pacientes ao direito de uma melhor qualidade de vida.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Regular	Sim, Em relação aos critérios de inclusão, a idade está muito restrita impossibilitando que o grande número de pacientes se beneficiem do tratamento. Um segundo ponto são as restrições de testes físicos que nem todos os pacientes estão aptos a realizarem uma vez que o diagnóstico é tardio. Por último, faço uma observação sobre o critério de exclusão quando menciona da falha de adesão. Esses pacientes nem sempre tem amparo social e financeiro e sabendo ainda que a dificuldade de locomoção até os centros de infusão é alta, não acredito que poderíamos restringir em 50% pois eles mesmo não conseguem garantir sua presença constante.	Sim. O texto menciona a indicação sobre transplante de células hematopoiéticas. Tal procedimento não é amparado por evidências científicas suficientes.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Tarefa do médico decidir	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, O critério de inclusão para pacientes igual ou acima de 7 anos, que inclui apenas portadores da MPS tipo VI que sejam ambulantes é um absurdo, pois o tratamento de reposição enzimática melhora em vários aspectos as funções vitais para a nossa sobrevivência, como o sistema respiratório, a visão, motora e mais muitas funções. Então, é muito ruim que apenas pacientes que consigam andar possam receber o tratamento, é muito errado! Isso pode retirar de muitas pessoas o direito de viver!	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Todos têm direito a medicação.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		a proposta tem caráter de eugenismo, quando exclui do tratamento pessoas maiores de 5 anos, conheço diversas pessoas portadoras dessa síndrome que se ficarem sem o a medicação estarão com seu futuro e sua saúde duramente comprometidos e o prognóstico com certeza acarretará em morte, a proposta citada será causadora de dezenas de mortes que poderiam ser evitadas com a manutenção do tratamento, mas querem economizar com a vida dos outros.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Não deixar de fora da cobertura cadeirantes e pessoas com mobilidade reduzida até 40 metros,	Apensa esta	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Senhores e senhoras, com intenção em pensar e promover cuidados para os usuários deste, peço-vos que alterem aquilo que não é cuidado e que afeta a qualidade de vida dos usuários.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Mudaria esse critério.	Não.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Muito RUIM	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Gostaria que, o nosso governo enxergasse essa causa com muito carinho, sensibilidade e justiça, pois acredito que, todos merecem o direito à vida. Minha vida não tem preço!!!!!!	Gostaria de comentar sobre a questão do poder aquisitivo das pessoas com mucopolissacaridose e outras patologias, elas não tem como adquirir a medicação, restando apenas apelar para o governo federal. Assim sendo, contamos com a seriedade e sensibilidade deste governo, em quem tant acreditamos!!!!!!	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Sim, Ampliar os critérios de indicação da terapia enzimática pois tenho experiências com pacientes de varias faixas etárias e various níveis e se beneficiaram como a reposição enzimática	Nao	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim		Não	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, No que se diz respeito a excluir alguns pacientes por meio de testes desfavoráveis.	As políticas públicas da saúde devem ser voltadas aos que mais necessitam, assim, dando total assistência aos pacientes sem promover nenhuma forma de exclusão dentre eles.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Sim!!Gostaria q mudasse o critério de inclusão.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Sim, NA MINHA OPINIÃO A MEDICAÇÃO PRECISA E DEVE SER DISTRIBUÍDA PARA TODOS	NÃO	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Levar em consideração todos as pessoas com a Síndrome, não apenas casos específicos.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Mudaria este critério de inclusão.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Pelo conhecimento que tenho em relação ao que a medicação é capaz de proporcionar aos patients penso que todos os pacientes que fazem uso da medicação serão beneficiados com o tratamento e não só os que têm capacidade de andar.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, o critério de inclusão que tem que realizar um teste de caminhada, restringindo o tratamento apenas para pacientes que andam.	Não	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	O governo deveria dar toda assistência gratuita aos portadores de doenças raras.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Como mãe de paciente vejo o progresso do meu filho com esse tratamento na parte respiratória motora entre tantos que são comprovados por exames feitos periodicamente	A vida do meu filho não tem preço e esse critério de exclusão não condiz com a realidade de vários pacientes hoje no Brasil.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Eu sou paciente de Mps e a medicação mim proporciona qualidade de vida, sem ela posso até morrer e meu número de internações aumenta sem essa medicação.	A minha vida não tem preço, tenho sonhos projetos e desejo realizar eu sou importante sim para meus familiares e amigos, todo tem necessidade desses medicamentos os que andam os que não andam crianças e adultos.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Gostaria que todos tivessem o direito a vida e que nada venha interrompi o tratamento.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	A medicação deve ser liberada para todas idades e sem acepção de pessoas.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não concordo que interrompam o tratamento dos pacientes ,sendo assim tirando o direito a vida.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	<p>Sim, Creio que a limitação de idade eh um grande equivoco, ainda mais em um pais como o Brasil em que o subdiagnóstico e o diagnostico tardio são a regra, isso representara a exclusão de muitos pacientes que tem possibilidade de se beneficiar da terapia em vários aspectos como o cardiovascular , o respiratório, entre outros Outro problema o teste de caminhada nao deve ser usado como critério para indicação ou nao de terapia, pois ja se trata de um teste controverso dentro da própria area de estudos clínicos porque ele avalia elementos nao específicos e esta bastante correlacionado {a determinação do paciente em realizar e pode ser afetado por diversos fatores flutuantesMesmo países como Canadá e Reino Unido com sistemas nacionais se saúde nos quais o sus se baseou não utiliza critérios tão restritivos para tratamento de pacientes com mucopolissacaridose como os apresentados pelo documento posto para consultoria publicaMesmo para doenças neuromusculares, o teste de caminhada vem sendo questionado como avaliação de resposta clinica em estudos, o que torna ainda mais controverso seu uso como critério para indicação de terapia ou nao</p>	Modernamente, para doenças raras, que impactam múltiplos sistemas e afeta mobilidade, são os estudos e testes de avaliação de atividades diárias e os de qualidade de vida que podem melhor definir aspectos da resposta terapêutica que são difíceis de quantificar por testes tradicionais utilizados para doenças nao raras	Clique aqui
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Eu sou paciente de Mps e a medicação mim proporciona qualidade de vida, sem ela posso até morrer e meu número de internações aumenta.	A minha vida não tem preço, tenho sonhos projetos e desejo realizar eu sou importante sim para meus familiares e amigos, todo tem necessidade desses medicamentos os que andam os que não andam crianças e adultos	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	A alteração irá prejudicar pacientes que necessitam do medicamento para ter o mínimo de uma boa condição de vida.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	--	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Sim, Como cuidadora de um paciente vejo a vida dela melhorar tanto na parte respiratória, motora entre tantos outros que são comprovados por exames periodicamente .	A vida dela não tem preço e esse critério não condiz com a realidade de vários pacientes hoje no Brasil.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	Discordo dos termos de inclusão e exclusão no tratamento de reposição enzimática, por não contemplar os diversos outros benefícios já comprovados cientificamente aos pacientes maiores de 6 anos. Tais pacientes possuem complicações que vão além da perda da locomoção, tendo toda uma série de complicações sistêmicas que se não revertidas, são amenizadas, o que trás beneficio na qualidade e expectativa de vida desses pacientes, que apesar de todas as limitações são detentores de um desejo ardente de viver. Além disso reduz o número de internações, gastos com a medicina de alívio e com toda uma série de problemas com a estrutura psicológica familiar	
12/08/2019	Interessado no tema	Boa		Não	
12/08/2019	Interessado no tema	Regular	Sim, E este protocolo publicado pela CONITEC discrimina e exclui do tratamento todos os pacientes cadeirantes ou tem a mobilidade reduzida, privando-os do tratamento fundamental para manutenção da sua saúde e qualidade de vida.	E este protocolo publicado pela CONITEC discrimina e exclui do tratamento todos os pacientes cadeirantes ou tem a mobilidade reduzida, privando-os do tratamento fundamental para manutenção da sua saúde e qualidade de vida.	
12/08/2019	Paciente	Muito boa	Não	Nao	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Como mãe de paciente vejo o progresso do minha filha com esse tratamento tanto na parte respiratória motora entre tantos outros que são comprovados por exames feitos periodicamente e convívio familiar.	A vida do minha filha não tem preço e esse critério de exclusão não condiz com a realidade de vários pacientes hoje no Brasil.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Que todos os pacientes tenham direito a medicação	Não	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Como ficam os pacientes ja em tratamento que não se "enquadram" nesse protocolo????	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Eu sou paciente de Mps e a medicação mim proporciona qualidade de vida, sem ela posso até morrer e meu número de internações aumenta.	A minha vida não tem preço, tenho sonhos projetos e desejo realizar eu sou importante sim para meus familiares e amigos, todo tem necessidade desses medicamentos os que andam os que não andam crianças e adultos.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Pois o critério de inclusão vai prejudicar demais, pois diz que só poderá participar quem andar sem necessidade de ajuda. Porém a medicação ajuda em outras áreas, tais como : visão , audição , respiratória..... Sendo assim os pacientes que são acamados ou fazem uso de cadeiras de roda devem sim participar e com isso ter um melhoria na sua qualidade de vida.	Não	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Eu sou paciente de Mps e a medicação mim proporciona qualidade de vida, sem ela posso até morrer e meu número de internações aumenta.	A minha vida não tem preço, tenho sonhos projetos e desejo realizar eu sou importante sim para meus familiares e amigos, todo tem necessidade desses medicamentos os que andam os que não andam crianças e adultos.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, A proposta deverá contemplar as pessoas com necessidades especiais específicas, tais como cadeirantes, pessoas acampadas e pessoas com dificuldades de locomoção, uma vez que o critério seja inclusivo, aí sim estaremos realizando atendimento justo.	Não.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Deveria ser melhor pq esses pacientes tem que ter tratamento especial	Esse tipo de doenças tem que ser tratados com muito cuidado	
12/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Concordo com a retirada dos pacientes que não comparecerem a pelo menos 50% das infusões e consultas de acompanhamento. Discordo do critério de inclusão no tratamento, pois se há deficiência, não importa o grau. Mais cedo ou mais tarde a doença mostrará sintomas se o paciente faz reposição da enzima, o que diremos dos que não começaram, a reposição porque o nível de deficiência não se encaixa no PCDT? Esses que não entraram, mas tem a deficiência da enzima acabarão por apresentar alterações sistêmicas e necessitarão por isso de internações hospitalares,. Provavelmente por infecções respiratórias que são as principais e mais precoce alterações na MPS VI. A não inclusão nas infusões, trará gastos com internações frequentes desses pacientes. É o que percebo como Pediatra do hospital que faz acompanhamento e reposição das enzimas.	O paciente com MPS Tipo VI se fica sem reposição de enzimas por alguns poucos meses já apresenta surgimento de alterações que não surgiriam se usasse a reposição da forma correta. E aqueles que tiveram acesso a enzima em fase mais adiantada já chegam com alguma sequelas. Perda visual, auditiva, Dificuldade ou falta da capacidade para deambular, apnéia durante o sono, etc.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Todos tem o direito ao tratamento independente da condição clínica	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Todos tem direito ao acesso a medicação	Não	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim		1) Não encontrei base científica para as restrições colocadas; pelo o que entendo há benefícios cardio-respiratórios para esses pacientes também 2) muitos pacientes e médicos continuaram a buscar tratamento para esses casos restritos, impactando o poder judiciário e não diminuindo impacto orçamentário	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	mudaria o critério de inclusão	
12/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	Não	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Essa nova proposta prejudicará os pacientes já assistidos.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Porque todos tem o direito a o tramento e a vida.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra a tirarem o tratamentos desses pacientes	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Critérios Inclusão para TRENão temos no Brasil, Serviços de Referencias em Doenças Raras em todos os estados. O diagnóstico de uma doença rara nos primeiros anos de vida é quase impossível.	A indicação do tratamento com Galsulfase tomando base a idade ou mobilidade é muito restrito.sabemos que a qualidade de vida de um paciente com MPS VI, quando se inicia a TRE melhora significativamente.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, CRITÉRIOS INCLUSÃO PARA TRENão temos no Brasil, Serviços de Referencia em Doenças Raras em todos os estados, O diagnóstico de uma doença rara nos primeiros anos de vida e quase impossível	a indicação de tratamento tomando base a idade ou mobilidade e muito restrito, sabemos que a qualidade de vida de um paciente com MPS VI, quando se inicia a TRE melhora significativamente	
12/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Sim, - nos critérios de inclusão em relação a idade limite de 6 anos, pela dificuldade de acesso aos exames para confirmar o diagnóstico;- nos critérios de exclusão dos casos já em tratamento. Considerar mais a parte clínica e evolução;- monitoramento do tratamento: considerar mais as avaliações na evolução clínica, considerando que muitos exames exigidos não estão disponíveis no sus	não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Que todos os pacientes independente da existência ou não de outras comorbidades, tenham o direito de serem avaliadas por profissional médico e este decida sobre os benefícios do uso do medicamento de forma individualizada.	Os protocolos são um direcionador mas o futuro já exige uma assistência individualizada com a participação do paciente nas decisões terapêuticas.Precisamos avançar.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Nao	
12/08/2019	Sociedade médica	Muito ruim	Sim, Retirar a exclusão de pacientes maiores de 7 anos que não caminhem pelo menos 5 m nos primeiros 6 minutos do teste de caminhada, por isso ser uma discriminação segundo a Constituição Federal e porque decide que os cadeirantes, deficientes físicos não têm direito a maior sobrevida ou de melhorar sua qualidade de vida.A afirmação de que a qualidade de vida cai drasticamente quando os pacientes vão para cadeira de rodas talvez seja um pouco antiga porque a referência é de 2007 e porque diretrizes atuais acreditam que a qualidade de vida deles pode melhorar.	Em revisão atual sobre os efeitos do transplante de células tronco hematopoiéticas em MPS VI não é uma opção terapêutica recomendada por ter número pequeno de casos com sucesso, pelas limitações do efeito em esqueleto e afirmam que hoje a indicação dessa terapeutica é nas MPSs com comprometimento neurológico cognitivo. O período de 6 meses é muito curto para se definir que a resposta do paciente foi inadequada e indicar suspensão do tratamento.	Clique aqui
12/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Os pacientes ficarão sem tratamento. É um absurdo	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Esses pacientes não podem perder o tratamento	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sem comentarios	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
12/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Sim, É inaceitável a exclusão de pacientes maiores de 7 anos que não consigam andar pelo menos 5m nos primeiros 6 minutos do teste de caminhada de 12 minutos, isso é discriminação segundo a Constituição Federal. A recomendação de transplante de células tronco hematopoiéticas também não reflete a opinião da literatura médica atual que indica em MPSs com comprometimento do cognitivo e também a idade de até 6 anos não é recomendada, porque quanto menor o paciente faz o procedimento melhores são os resultados. A recomendação de suspensão do tratamento se não houver melhora com 6 meses de tratamento não tem sentido, porque 6 meses é um tempo curto demais para ser utilizado em doença crônica e progressiva como essa. Eu na verdade não sei qual foi o objetivo das pessoas que elaboraram esse documento, não sei realmente o real objetivo desse documento discriminatório.	Não existe recomendação da utilização de instrumentos que avaliam o real impacto do tratamento na vida dos pacientes, qualidade de vida, escalas de dor e fadiga. Os estudos clínicos tem um curto tempo de duração e o objetivo é aprovação do medicamento pelas agencias regulatórias, e as medidas de eficácia falam mais alto do que as de medida da qualidade de vida. Mas para o paciente o mais importante é sua sobrevida, a diminuição da dor e não importa se perderam a capacidade de andar só e sem apoio, mesmo assim continuam a ser cidadãos com direito a saúde e a vida.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nao diminuir ou alternar nem simplificar o tratamento para os pacientes de mps IV A ou mps VI.	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não.	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	A terapia de reposição enzimática é muito importante para terapia dos pacientes .	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Todos merecem receber a medição que necessita.	
13/08/2019	Interessado no tema	Boa	Não	Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	nao	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	não	
13/08/2019	Interessado no tema	Ruim		Devemos ter certeza de que não restringiremos a medicação a todos os pacientes que necessitarem.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	nao	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Todos tem direito ao tratamento e a vida , sem restrições.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	proposta atual não direito a todos ao tratamento	
13/08/2019	Interessado no tema	Ruim	Sim, Os critérios são excludentes aos pacientes em tratamento que mais necessitam de terapia.	Os critérios são excludentes aos pacientes em tratamento que mais necessitam de terapia.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA	
13/08/2019	Interessado no tema	Ruim	Não	Injusto	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Os critérios são excludente aos pacientes que mais necessitam de terapia	Os critérios são excludente aos pacientes que mais necessitam de terapia	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Todos devem ter acesso ao medicamento, garantindo uma qualidade de vida decente!	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	DESEJO QUE TODOS TENHAM TRATAMENTO SEM RESTRIÇÕES	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRTAMENTO	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	O protocolo não abrange todos pacientes portadores de MPS VI	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	O TRATAMENTO É DIREITO DE TODOS, SEM RESTRIÇÕES	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS DEVEM TER DIREITO AO TRATAMENTO	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Tratamento sem restrições. Exceto se o médico assistente solicitar	O medicamento tem ação multisistêmica. Age sobre a função cardiovascular, pulmonar e osteoarticular. Melhorando a qualidade de vida da pessoa doente	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO SEM RESTRIÇÕES	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TRATAMENTO A TODOS COM MPS VI, SEM RESTRIÇÕES	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Todos os pacientes devem ter acesso ao tratamento, sem discriminação.	Não devem retirar o tratamento de quem tem mobilidade reduzida.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS MERECEM O TRATAMENTO SEM RESTRIÇÕES	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO E A VIDA SEM RESTRIÇÕES	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	COM A RESTRIÇÃO AO TRATAMENTO, MUITOS PACIENTES VÃO FICAR SEM A MEDICAÇÃO,, AGRAVANDO O QUADRO CLINICO E GERANDO DE DOR E TRISTEZA.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO E VIDA	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA, TODOS PRECISAM TER ACESSO AO TRATAMENTO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	nao	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO CONCORDO COM AS RESTRIÇÕES PARA O TRATAMENTO, TODOS TEM DIREITO A VIDA	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO CONCORDO COM AS RESTRIÇÕES, TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não mudaria esse critério de inclusão	Não mudaria esse critériode inclusão	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS DEVEM TER DIREITO AO TRATAMENTO SEM RESTRIÇÕES	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO SEM RESTRIÇÕES	
13/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Que também se incluam os pacientes que fazem uso de cadeiras de roda.	Não	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não	
13/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Nao deveria ter restrição para qualquer idade,independente de um resultado de teste de caminhada pois o paciente é beneficiado por outros tantos aspectos clínicos alem da locomoção, por exemplo o respiratório, cardíaco, neurológico e principalmente a qualidade de vida.	Sou Pediatra, acompanho uma paciente de 12 anos com MPS VI, que usa a medicação ha 5 anos, a melhora dela foi perceptível apos o inicio da terapia em vários aspectos. Ha um ano quando ficou sem a medicação por 5 meses teve vários problemas: respiratórios, infecções, dificuldade de locomoção, que a levaram para a cadeira de rodas. Hoje esta melhorando, se parar com a medicação receio que a doença vá progredir rapidamente.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO	
13/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Não	
13/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Não	
13/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, O tratamento é fundamental para todo paciente cadeirante ou não, pois a interrupção agrava ainda mais a doença e seus sintomas	Por experiencia propria sinto e percebo que ao passar algum tempo sem as infusões ha uma evolução, em alguns pacientes, passam a sentir dores e mesmo parar de andar	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, proposta restritiva prejudicará pacientes já assistidos atualmente	não	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Muito bom conteibir para com uma ação de muita importancia.	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não	NÃO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Eu como pessoa proxima ao paciente acho interessante para contribuir com o desenvolvimento do paciente	Melhorias em todos os aspectos	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	A medicação traz uma excelente condição de vida para os pacientes	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Eu como amiga e muito gratificante contribuir.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Como mãe de paciente vejo o progresso do meu filho com esse tratamento tanto na parte respiratória motora entre tantos outros que são comprovados por exames feitos periodicamente e convívio familiar e como amiga de pais de pacientes com Mps tem também essa mesma opinião.	A vida do meu filho não tem preço e esse critério de exclusão não condiz com a realidade de vários pacientes hoje no Brasil.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nao condiz com a realidade do paciente.	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, NÃO CONDIZ COM A REALIDADE DOS PACIENTES	A MEDICAÇÃO TRAZ UMA EXCELENTE CONDIÇÃO DE VIDA PARA O PACIENTE	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	A INCLUSÃO DA MEDICAÇÃO(TRE) DEVERIA SER A TODOS OS PACIENTES QUE TENHAM A DOENÇA COMPROVADA.....	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Sou contra os critérios de exclusão, acredito que todos os pacientes portadores dessas síndromes precisam dela para sobreviver.	Outro aspecto importante que deve ser levado em consideração é o quanto o padrão respiratório e cardiovascular melhoram quando os pacientes estão em uso da medicação independente de idade e além disso ficam mais resistentes a infecção respiratória.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Melhorias em todos os aspectos.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	A medicação tras uma excelente condição de vida os pacientes	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim		Esse protocolo exclui muitos pacientes que precisam do tratamento com a galsulfase.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não considera a realidade dos necessitados.	Pacientes prejudicarão suas vidas com tais medidas.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	Sem a medicação os pacientes correm risco de vida	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes.	A medição trás uma excelente condição de vida para os pacientes.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, sim o meu relatório pessoal como paciente, eu sinto muito bem quando tomo a medicação eu durmo melhor, sinto-me menos cansada, caminho melhor a minha qualidade de vida melhorou muito hoje posso realizar minhas atividades diárias.	Esse critério de exclusão esta fora de lógica, pois temos direito a saúde e não cabe ao estado dizer quem vai viver ou vai morrer porque é isso que vai acontecer se não tomar essa medicação	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	a medicação traz uma excelente condição de vida para os pacientes	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	a medicação traz uma excelente condição de vida para os pacientes	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Se os pacientes deixarem de receber, com certeza morreram.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade do paciente	A medicação traz uma excelente condição de vida para os pacientes que a utilizam.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Como mãe de paciente vejo o progresso do meu filho com esse tratamento tanto na parte respiratória motora entre tantos outros que são comprovados por exames feitos periodicamente e convívio familiar e como amiga de pais de pacientes com Mps tem também essa mesma opinião	A vida do meu filho não tem preço e esse critério de exclusão não condiz com a realidade de vários pacientes hoje no Brasil.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, não condiz com a realidade dos pacientes	a medicação traz uma excelente condição de vida para os pacientes	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não, apenas deixar registrado que eu discordo totalmente dos pareceres restritivos.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, A vida dos nossos filhos não tem preço e esse critério de exclusão não condiz com a realidade de vários pacientes hoje no Brasil.	Como mãe de paciente vejo o progresso do meu filho com esse tratamento tanto na parte respiratória motora entre tantos outros que são comprovados por exames feitos periodicamente e convívio familiar e como amiga de pais de pacientes com Mps tem também essa mesma opinião	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Sim, alterar quanto a indisponibilidade do medicamento aos pacientes de baixa renda	nao	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Sim, alterar quanto a indisponibilidade do medicamento aos pacientes de baixa renda	nao	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Sob hipótese alguma, tal proposta é condizente com a realidade dos pacientes.	A medicação propicia uma excelente qualidade de vida aos pacientes.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade do paciente.	O medicamento uma excelente condição de vida para o paciente.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, A medicação traz ao paciente uma qualidade de vida melhor	A vida é muito importante para Deus assim como Deus deu a sabedoria a ciência para q aja uma medicação para melhora a vida de tantos pacientes pq deixarem morrer milhares de crianças e sonhos	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	A medicação traz uma excelente condição de vida para os pacientes	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, É imprescindível a distribuição gratuita dos medicamentos	Seria desumano a retirada destes medicamentos, uma vez que estaria sentenciando inocentes a morte devido ao custo do medicamento	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	A medicação traz uma excelente condição de vida para os pacientes.	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, É imprescindível a distribuição gratuita dos medicamentos	Seria desumano a retirada destes medicamentos, uma vez que estaria sentenciando inocentes a morte devido ao custo do medicamento	
13/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Não	Discordo da idade restritiva dos pacientes.	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Por ser uma doença muito rara, em que o remédio é MUITO CARO, as crianças / adultos precisam desse remédio... Já que provavelmente ninguém consegue pagar com a renda do brasileiro.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Não	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	A medicação trás uma excelente condição de vida aos pacientes	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa		Como enfermeira, trabalhamos com TRE há 14 anos em 3 portadores de MPS VI. apesar de ser doença de caráter progressiva, observamos que a interrupção involuntária do tratamento decorrente da falha no fornecimento do medicamento, contribui para evolução dos sintomas cardiorrespiratórios (avaliados pelos especialistas e em consulta de enfermagem) além de contribuir com o instabilidade emocional do paciente, cientes da importância da TRE e da adesão ao tratamento.	
13/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	A medicação traz uma excelente qualidade de vida aos pacientes portadores da doença	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	A medicação trás uma excelente qualidade de vida para os usuários	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, não condiz com a realidade dos pacientes	a medicação traz uma melhor condição de vida para os pacientes	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade é nem a necessidade dos pacientes	A medicação é necessária para uma vida digna dos pacientes	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Mudaria esse critério de inclusão, onde diz que pacientes acima de 6 anos, precisarão fazer um teste de caminhada e percorrer uma certa distância SEM ajuda. Ou seja, isso exclui portadores que sejam cadeirantes ou acamados.	Não.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Como irmã de paciente vejo o progresso com esse tratamento tanto na parte respiratória motora entre tantos outros que são comprovados por exames feitos periodicamente em nosso convívio familiar.	Esse critério de exclusão esta fora de lógica, pois temos direito a saúde e não cabe ao estado dizer quem vai viver ou vai morrer porque é isso que vai acontecer se não tomar essa medicação.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, dificulta a vida do paciente e dos familiares pois a burocracia e a logística já são desfavoráveis	a medicação para quem faz uso é de fundamental importância trazendo benefícios e a interrupção causaria um risco iminente ao paciente	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	não	
13/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Eu sou paciente de Mps e a medicação mim proporciona qualidade de vida, sem ela posso até morrer e meu número de internações aumenta.	A minha vida não tem preço, tenho sonhos projetos e desejo realizar eu sou importante sim para meus familiares e amigos, todo tem necessidade desses medicamentos os que andam os que não andam crianças e adultos.	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade do paciente	A medicação traz uma excelente condição de vida ao paciente	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Todos pacientes com mps sem exceção tem direito a ter qualidade de vida independente de sua situação ou de sua idade.	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Eu como pessoa próxima ao paciente acho interessante para o desenvolvimento do paciente.	Muito bom contribuir com o paciente	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NO vamos deixar essas crianças morrerem	Clique aqui
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NO vamos deixar essas crianças morrerem	Clique aqui

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Os critérios de inclusãoO item sobre avaliação de tratamentoItem sobre transplante de células tronco hematopoiéticas	A terapia de reposição enzimática é um tratamento revolucionário é essencial para pacientes com MPS vi.Não se pode diminuir o acesso para a opção terapêutica mais estuda e eficaz.Cito: Costa-Motta FM, Bender F, Acosta A, et al. A community-based study of mucopolysaccharidosis type VI in Brazil: the influence of founder effect, endogamy and consanguinity. Hum Hered. 2014;77(1-4): 189-196.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS DEVEM TER DIREITO AO TRATAMENTO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS MERECEM A MESMA ATENÇÃO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	A medicação trás uma excelente qualidade de vida aos pacientes	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	A medicação traz uma excelente condições de vida para os pacientes.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS MERECEM ACESSO AO TRATAMENTO SEM RESTRIÇÕES	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não.	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	A medicação traz uma excelente condição de vida para os pacientes	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS MERECEM O TRATAMENTO SEM RESTRIÇÕES	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	A medicação traz uma excelente condição de vida para os pacientes.	
13/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, 1. Ampliação do uso da TRE com Galsufase para todas as idades , não restringindo a idade e mobilidade	1. A doença é multissistêmica, portanto a TRE tem melhora comprovada em vários órgãos , não podendo ser considerado um fator de exclusão idade e mobilidade. É compreensível que existe uma variedade fenotípica em pacientes com mutações semelhantes ,portanto a resposta ao tratamento pode ser variável ; alguns pacientes apresentarão uma melhor resposta terapêutica no sistema osteoarticular e outros no sistema cardiovascular , respiratório,etc; portanto deve -se considerar que restringir,excluir ou interromper o tratamento em uma doença que é multissistêmica poderá causar danos irreversíveis,inclusive evolução para o óbito. Sugiro que se institua fóruns presenciais com os principais médicos e centros de referência que tratam Mucopolissacaridose , para uma ampla discussão ,com o objetivo de demonstrar a evolução dos pacientes.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, não conduz com a realidade do paciente	o medicamento trás uma excelente condições de vida ao paciente	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS MERECEM TRATAMENTO SEM RESTRIÇÕES	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	O TRATAMENTO PRECISA SER AMPLIADO A TODOS PESSOAS COM MPS VI SEM RESTRIÇÕES	
13/08/2019	Paciente	Ruim	Não	Nao	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO DEVE TER RESTRIÇÕES AO TRATAMENTO	
13/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Boa	Sim, NÃO SER FATOR LIMITANTE A PRESENÇA DE MARCHA DE 6 MINUTOS	IMPORTANTE O TRATAMENTO POIS PACIENTE TEM POTENCIAL COGNITIVO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO DEVE HAVER RESTRIÇÕES AO TRATAMENTO, TODOS TEM DIREITO A VIDA	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO DEVE HAVER RESTRIÇÕES AO TRATAMENTO, TODOS NECESSITAM DE QUALIDADE DE VIDA QUE A MEDICAÇÃO TRÁS.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS DEVEM TER DIREITO AO TRATAMENTO, ISSO SIGNIFICA QUALIDADE DE VIDA	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TRATAMENTO SEM RESTRIÇÕES	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO, SEM RESTRIÇÕES	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Retirar o critério de inclusão que o tratamento é só para pacientes que andam	Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS AS PESSOAS COM MPS VI DEVE TER DIREITO A VIDA	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Retirar o critério de inclusão onde só pacientes que andam tem direito ao tratamento, sendo que o tratamento melhora todas as funções do organismo do paciente	Não	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Como profissional de saúde vejo o quanto é necessário e importante essa medicação para os pacientes com mucopolissacaridose, pois acompanho há alguns anos pacientes em uso da medicação e posso observar a melhora da qualidade de vida de cada um , melhora considerável do quadro respiratório , mobilidade dentre outros.	Considero as normas de exclusão fora dos padrões de realidade de cada paciente, pois são indivíduos com sonhos, estudam, muitos trabalham, tem família e projeto de vida , a falta da medicação com certeza vai acabar com tudo isso.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO CONCORDO COM AS RESTRIÇÕES AO TRATAMENTO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Não	Se aprovado o não direito ao medicamento, muitos pacientes irão perder a qualidade de vida ou até mesmo morrerem.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO CONCORDO COM RESTRIÇÕES PARA O TRATAMENTO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO CONCORDO COM AS RESTRIÇÕES, TODOS TEM DIREITO A VIDA	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO CONCORDO COM AS RESTRIÇÕES , TODOS TEM DIREITO A VIDA	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO CONCORDO COM AS RESTRIÇÕES, TODOS TEM DIREITO A VIDA	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO CONCORDO COM RESTRIÇÕES AO TRATAMENTO, TODOS TEM DIREITO A VIDA	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Retirar o critério de inclusão onde restringe apenas para pacientes ambulantes	Não	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	A medicação traz uma excelente condição de vida para os pacientes	
13/08/2019	Grupos/associação/organização de pacientes	Ruim	Sim, sobre a exclusão de pacientes maiores de 7 anos que não conseguem caminhar por pelo menos 5 metros, tratamento curto de 6 meses para ser avaliado	importante a avaliação clínica dos pacientes sem exclusão , pois está na constituição que a saúde é um direito de todos	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra a que todos tivessem o direito a vida e para isso deve continuar o tratamento para tratamento desses pacientes.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Todos os pacientes precisam dessa medicação para sobreviver	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Eles precisam muito dessa medicação para sobreviver	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Sim, Sim, gostaria que todos os portadores fossem incluídos sem discriminação de mobilidade.	nao	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes.	A medicação traz uma excelente condição de vida para os pacientes.	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Não condiz com a vida real dos pacientes	O medicamento propicia uma melhor qualidade de vida para o paciente	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Os pacientes precisam dessa medicação para ter uma vida melhor e pra sobreviver também	
13/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Regular	Sim, não concordo com um dos critérios de inclusão para a TRE: que tenham idade igual ou superior a 7 anos, sejam ambulantes e capazes de percorrer, sem ajuda, pelo menos 5 metros nos 6 primeiros minutos do Teste da Caminhada de 12 minutos....Na verdade existem estudos atualizados com orientações sobre seguimento e tratamento de pacientes com MPS VI que mostram haver benefícios no início, ainda que tardio, da TRE nesta população de pacientes, independente de idade e capacidade de deambular... outras melhoras clínicas devem ser levadas em conta, como a função respiratória (CAPACIDADE VITAL FORÇADA) e melhora na qualidade de vida...	existem adolescentes com capacidade de deambular/ precorrer uma menor distância do que a prevista no protocolo e, ao meu ver, deveria ser mantido em TRE.	Clique aqui

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
13/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Pacientes com mais de 20 kg devem receber um volume total de 250 ml (que pode ser reduzido para 100 mL caso o paciente seja suscetível a sobrecarga de volume).(Vide bulas e recomendações de bulas internacionais).	- Nos critérios de inclusão, foram separados 2 grupos: 0-6 anos e > ou = a 7 anos. E os entre 6-7 anos?- Sugiro modificar o critério de inclusão de teste de caminhada. O paciente pode ter comprometimento multissistêmico e ter seu teste prejudicado e desempenhos diversos dependendo de sua condição clínica no dia.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, não condiz com a realidade dos pacientes.	Vejo eu que a medicação trás uma qualidade de vida excelente pra o paciente.	
13/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, GERALMENTE O DIAGNÓSTICO EM ALGUNS CASOS É TARDIO. DESTE MODO,ACRIANÇA TEM MAIS IDADE E DIFICULDADE MOTORA, NÃO SE BENEFICIANDO DA MEDICAÇÃO, A QUAL PODE MELHORAR E MUITO SUA QUALIDADE DE VIDA E DOS SEUS PACIENTES.	NÃO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Concerteza não condiz com a realidade dos pacientes.	A medicação trás uma excelente condição de vida para os pacientes.	
14/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Não	Irá prejudicar muito as pessoas portadoras da síndrome	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	O portador dessa doença deve continuar recebendo ajuda, pois os remédios são caríssimos e não se deve discriminá-los	
14/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	eu acho essa proposta muito ruim	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	eu acho muito ruim essa proposta	
14/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, A população portadora de MPS VI será totalmente prejudicada caso esta proposta entre em vigor.	Assisto a pacientes que estarão sem medicação por conta da faixa etária .Tendo um aumento a todas as complicações respiratórias ; motoras;e outras.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, já nao basta ser potador da deficiencia rara e agora limitar ou determinar de acordo com o grau de risco quem permanece tomando a medicação ou não. Isso é o minimo que pode ser oferecido aos nossos portadores de MPS .	NAO	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Sim, GOSTARIA DE SABER PORQUE TAMANHA MALDADE COM ESSA CRIANÇAS PORTADORAS DE MPS ,ELAS TEM O DIREITO DE TER UMA QUALIDADE DE VIDA MELHOR ,VAMOS LUATR PAR A CONTINUIDADE DA MEDICAÇÃO DESSAS CRIANÇAS .	GOSTARIA DE SABER PORQUE TAMANHA MALDADE COM ESSA CRIANÇAS PORTADORAS DE MPS ,ELAS TEM O DIREITO DE TER UMA QUALIDADE DE VIDA MELHOR ,VAMOS LUATR PAR A CONTINUIDADE DA MEDICAÇÃO DESSAS CRIANÇAS .	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Acho muito injusto tirar o direito dessas pessoas terem.um.pouco.de qualidade de vida tirar o.direito deles viverem mais	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Indignação	Tenho uma sobrinha com essas necessidade e acho isso uma falta de respeito.Todos têm o direito de viver de vida	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Todos nós merecemos ter uma qualidade de vida melhor. Não concordo em tirarem os remédio dessas crianças. Hoje são esses país que enfrentam esse batalha, amanhã pode ser eu.	
14/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Foi liberado o não tratamento para esses pacientes ocasionando a morte antecipada, já que sem o uso do medicamento, a doença evolui muito rapidamente	não, agradeço	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não!	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, perguntando a voces: foi liberado a eutanásia no Brasil?quem teve essa ideia?tem parente ou filhos com problemas?convive socialmente com alguma pessoa com deficiência ou vive numa redoma de vidro? eu luto pelo meu filho para ter o direito a vida. ele só quer viver	acima descrito	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
14/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, eu para viver necessito dessa medicação, já tomo há 13 anos, sem a medicação já estaria em óbito, eu só quero viver, por favor, me deixem!	acima citado	
14/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, convivo diariamente com esses pacientes e esse remédio é essencial para mante-los vivos	acima descrito	
14/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Critério de inclusão: as crianças cadeirantes devem ser incluídas para recebimento da enzima	não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	tenho um filho de 12 anos, portador da doença de hunter, onde uma proposta maluca dessa pode estar colocando fim ao seu ciclo de vida, em fim nesse governo, não me parece bem, mais está sendo implantado a eutanásia usando a desculpa de correções e desvios financeiros.O que uma criança que nasceu assim tem haver com isso?	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	tenho um filho com 12 anos, que tem MPS, depende da enzima para sobreviver, sem esse remédio meu filho não vai continuar vivendo, amo meu filho, quero o melhor para	
14/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, 5.3. CRITÉRIOS DE INCLUSÃO PARA TRE Poderão fazer uso de galsulfase todos os indivíduos com diagnóstico de MPS VI realizado de acordo com o item 3 deste PCDT (4) E: a) que tenham idade entre 0-6 anos de idade; OU b) que tenham idade igual ou superior a 7 anos, sejam ambulantes e capazes de percorrer, sem ajuda, pelo menos 5 metros nos 6 primeiros minutos do Teste da Caminhada de 12 minutos.	Gostaria que os pacientes cadeirantes, que não conseguem deambular mais de 5 metros conforme proposto, fossem também incluídos e aceitos para o tratamento, já que muitos destes pacientes apresentam um cognitivo muito bom, estudam, trabalham, e não podem ser privados do tratamento pelo simples fato de ser cadeirante	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, as crianças especiais só querem o direito a vida. Tirando o remédio tiramos o direito a vida. Não seria uma eutanasia?	o idealizador desse plano se encaixa no chamado ser humano?	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Instituição de saúde	Boa	Sim, critérios de inclusão muito restritos. Doença grave com mortalidade alta e que o benefício do tratamento já esta bem definido, tanto na literatura como na experiencia com pacientes.	os exames para acompanhamento da evolução ao tratamento precisariam estar mais acessíveis para os pacientes	Clique aqui
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, por favor não quero q matem minha filha, quero o direito dela de viver.	acima descrito	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, por favor não matem meu filho, não tirem dele o direito de viver.	descrito acima.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Meu filho tem diagnóstico de Mucopolissacaridose, é depende desta medicação para sobreviver.	
14/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, É IMPORTANTE MANTER A TERAPIA DE REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA PARA OS PACIENTES CADEIRANTES, VISTO QUE ESSA É A ÚNICA TERAPIA ESPECÍFICA DISPONÍVEL E MELHORA VÁRIOS ASPECTOS DO PACIENTES COMO A DIMINUIÇÃO DO QUADRO DE DOR E AS PROGRESSÕES DAS DOENÇAS CARDÍACAS E COMPLICAÇÕES PULMONARES QUE CORRESPONDEM AS PRINCIPAIS CAUSAS DE MORBIMORTALIDADE DESSES PACIENTES. PORTANTO, OS CRITÉRIOS DE INCLUSÃO NÃO DEVEM SE BASEAR APENAS EM RELAÇÃO AO COMPROMETIMENTO DA MARCHA DO PACIENTE IDADE DIAGNÓSTICA.	MODIFICAR OS CRITÉRIOS DE INCLUSÃO E EXCLUSÃO	Clique aqui
14/08/2019	Paciente	Regular	Sim, Todos devemos ter o direitos ao tratamento e a medicação. É injusto deixar alguns de lado, simplesmente excluir essas pessoas. Todos temos direito a vida.	Não.	
14/08/2019	Interessado no tema	Regular	Não	Não.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, A qualidade de vida é para todos os pacientes. Sem acepção.	Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim		Discordo totalmente destes pareceres restritivos que podem excluir milhares de pacientes com Mucopolissacaridose tipo VI. Os estudos clínicos realizados durante seu desenvolvimento e após sua comercialização, bem como a experiência clínica dos inúmeros centros, respaldam os benefícios do medicamento muito além dos aferidos pelos testes de caminhada. Dado o caráter multissistêmico destas enfermidades, os benefícios sobre as funções cardíaca, pulmonar, osteomuscular e de qualidade de vida, incluindo dor e atividades do dia-a-dia, devem ser considerados nesta avaliação.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, O acesso ao tratamento deve ser garantido para todos os pacientes de todas as idades, independente se usa cadeiras de rodas ou não.	Minha filha ainda não recebe o medicamento, e também não usa cadeira de rodas, anda normalmente.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	O tratamento de Reposição Enzimática é de extrema importância e eficácia para o portador de Mucopolissacaridoses tipo VI, seja esse paciente cadeirante ou não. A falta do tratamento pode acarretar em perda da qualidade de vida e consequentemente levar a morte.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Retirar o critério de inclusão que é para apenas pacientes que consigam andar	Não	
14/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	Deveria beneficiar também pacientes que não deambulam.	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Sim, Conheço um paciente com a doença e presenciei melhoras do mesmo com o início do tratamento	Vale apenas dar a oportunidade dessas pessoas com doenças raras se tratarem pois são seres humanos e tem histórias de superação surpreendentes.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Sou Tio e pai da paciente e portadora da doença Juliana Cristiana Machado da Silva e e estou aqui nesse apelo por ela e as outras crianças para darem continuidade np tratamento e dando a eles o direito de viver.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não condiz com a realidade dos pacientes	A medicacao trás uma excelente condição de vida para os pacientes	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, [16:55, 14/8/2019] Cida Ju: Boa tarde aos nossos governantes gostaria de deixar aqui o meu parecer sobre esse protocolo da consulta sus sobre a exclusão da medição MPS 4 6 pois tenho uma filha portadora da doença MPS pois se trata desde 2017 gostaria de szber de vcs ae ele pediu para nascer com doença rara e pelo qual motivo ela não tem direito ao tramento ,cd os direito humano sr nosso governador[17:01, 14/8/2019] Cida Ju: Ate onde eu sei tramente e um direito minha filha apartir desse tramento teve melhoras come sozinha vai ao banheiro fala e ja não reclama mais de dores nas articulacoes como reclamava antes do tramento meu sro presidente minha filha esta hoje com 22 anos foi diagnosticada com 2 anos de idade venho lutantando e ela tbm para viver e agora o governo quer oque assinar a eutanásia ste onde eu sei autasia no BRASIL ainda e proibido estão querendo assinar o atestado de obto de quem so quer viver.	Esqueci de falar na parte que ela fas essas atividades de comer beber ir ao banheiro graças ao medicamento	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Será muito ruin... Melhor deixar como estar.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Que liberem para todos	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Injusto, tem que investir	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Sim que nosso digníssimo presidente não acabasse com os tratamentos de quem precisa	
14/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	Nao	
14/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Kl	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Eu achei muito ruim essa proposta	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nao	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Que todos tem por direito acesso a saúde , e medicação gratuitas.	Que o Governo gasta com tanta coisa desnecessária , roubam e desviam os recursos públicos , agora negam os direitos das pessoas.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Sim, Pag 9 - Item 4 - critérios de inclusão – considerar inclusão somente com resultado de exame molecular, com variantes patogênicas que confirmem o diagnóstico, em especial em casos familiares Deve ser considerado como critério de inclusão: dosagem enzimática + GAG OU só exame molecular Não há necessidade de novos exames diagnóstico, so comprovar o diagnóstico (há pacientes há mais de 10 anos em terapia) Em relação ao tratamento, os pacientes que não deambulam também devem receber a terapia de reposição enzimática. Há evidencia de melhora na saúde, redução de complicações (lentificação de progressão da doença cardíaca, menos infecções respiratórias, menos internações) e qualidade de vida (melhora no sono e disposição em geral) com o uso da medicação Pag 20 – anexo 1– não há menção no acometimento do sistema nervoso periférico a síndrome do túnel do carpo, complicação extremamente frequente e que deve ser corrigida assim que diagnosticada Compressão medular é complicação do sistema nervoso central, não listado. Recomenda-se incluir. Tampouco há menção a hidrocefalia, complicação frequente e por vezes de difícil diagnóstico, muitas vezes sendo necessária medida de pressão líquorica pois não há aumento dos ventrículos devido ao depósito de GAGs. Essa a causa frequente de perda visual na MPS VI	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Toda pesquisa é valida na melhoria e qualidade de vida das pessoas portadoras dessa doença.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Gostaria de informar q esse medicamento e muito importante para todos os paciente todos tem o direito de vive então não tire desse direito deles!!	Isso é muito vergonhoso não vem como deixa esse paciente sem medicação . Queria vê si fosse fosse filho dos gonvenates pra ver si eles dia deixa isso acontece	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Boa pesquisa	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Falta de argumento do nosso governo sobre corta remédio de quem precisa não dá não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular		não sou a favor de cortar os medicamentos eles precisam muito para poder sobreviver .	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Nao	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Mudaria o critério de inclusão.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Que não faltem os remédios	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Eu acho que deveríamos ir para ruas protestar.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Deveríamos ir as ruas protestar.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	nao	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Nao	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Sim, É muito descaso retirar um remédio no qual ajudam as pessoas.Elas precisam viver com um mínimo de esperança.	Autoridades ,governantes etc.Nosso país está precisando de respeito em: educação,saúde e segurança .estamos em SOS	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Acho isso uma injustiça com as famílias brasileiras que tem entes com a enfermidade, isso chega ser irracional.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Bom, tenho ciência que todos nós seres humanos devemos receber remédios e topo tipo de apoio do governo, pois, seria desumano cortar um remédio de crianças especial indefesos.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NAO	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Eu acho q o nao deveriam corta a medicação que mantem vivo muitas pessoas. Sao vidas que estamos falando ja basta o sofrimento de terem nascidos assim ainda tem q lutar para ter direito a medicação	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Acho uma injustiça tudo isso, eles não pediram para nascer com a deficiência.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Sim, Deveria ser liberado totalmente para todas as crianças no mundo inteiro .	Nao	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Olha minha opinião, que vcs querem economizar ,se não temos culpas dos roubos nosso país. Eles não podem ficar sem as medições...	Eles são humanos também, irei lutar por eles até o final.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Na minha experiência como enfermeira, discordo em relação ao critério de exclusão dos que tenham idade igual ou superior a 7 anos, sejam ambulantes e capazes de percorrer, semajuda, pelo menos 5 metros nos 6 primeiros minutos do Teste da Caminhada de 12 minutos. Observei que este perfil de pacientes após o uso do galsulfase teve melhoras significativas em sua qualidade de vida e independência: maior força muscular, aumento do tempo de caminhada, passaram a subir pequenas escadas; diminuição do desconforto respiratório noturno, melhor qualidade do sono e vida social mais ativa.	Todos pacientes com Mucopolissacaridose VI necessitam do medicamento para manter uma qualidade de vida significativa para satisfazer suas necessidades diárias.	
14/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	Sim, A restrição do uso da medicação não pode estar condicionada a questão da marcha e idade, apenas. Cada paciente deve ser analisado de forma completa e multidisciplinar no momento do exame, avaliando os ganhos com o tratamento, como até mesmo o redução do risco de recorrência de infecções, que além dos internamentos, acarretam piora na qualidade de vida do paciente.	A avaliação motora não pode restringir-se à marcha. Ainda tem a questão respiratória a ser avaliada.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Os portadores da síndrome necessitam da ajuda do governo, devem ser apoiados como qualquer outra minoria	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Governo não pode corta essa vacina !	
14/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Sim, DISCORDO TOTALMENTE destes pareceres restritivos que podem excluir um terço de toda a população de pacientes com MPS VI	Não	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Acho importante a questão da aplicação ser para todos, pois melhora a qualidade de vida dos envolvidos, trazendo uma sensação de superação, de conseguir alcançar objetivos. O avanço da medicina deve ser usado em prol de todos e dando chance de prolongação da vida	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Meu filho tem se beneficiando muito, com o medicamento. Melhorou suas vistas, seu coração está ótimo, a compreensão medular não precisou operar, seus cabelos estão lindos! Antes eram opacos. Ele começou com três aninhos, agora tá com 12 e é super agradecido por ter seu remédio, vai ao hospital alegre. Nem parece que vai pegar uma veia. Espero que olhem com carinho! Desde já agradeço. Meu filho é muito alegre! Não deixe ele e os outros sem medicação.	
14/08/2019	Interessado no tema	Regular	Não	Não	
14/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Sim, Não concordo que tire a vacina	Não tirar a vacina	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	O direito à vida consagrado na constituição federal, não faz distinção de pessoas, gênero ou religião. A nossa CF é considerada a constituição cidadã por defender direitos indispensáveis, o presente projeto de lei vai de encontro aos princípios constitucionais, logo, é Eivado de inconstitucionalidade.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
14/08/2019	Grupos/associação/organização de pacientes	Ruim	Sim, Critérios de acesso à Terapia de Reposição Enzimática	Como associação, discordamos em relação ao critério de exclusão dos pacientes com idade igual ou superior a 5 anos e que não percorram pelo menos 40 metros no teste da caminhada de 6 minutos. Pacientes com este perfil (com idade superior a 5 anos e mobilidade reduzida) relataram que após o uso do galsufase tiveram melhoras significativas em sua qualidade de vida e independência: 1) melhor esforço físico e tempo de caminhada; 2) subir pequenas escadas; 3) carregar objetos de maior peso; 4) diminuiu o desconforto respiratório noturno, melhorando a qualidade do sono; 5) vida social mais ativa.	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Não	Nada a declarar	
15/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Deve ser assegurado o direito de tratamento de ultima geração às pessoas com doenças raras e crônicas.	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Que nunca deixe de falta medicaçao pra nenhuma doenca rara pra da condicao de vida melhor pra eles.	que nunca venha existir restricoes de medicacao pra essas doencas raras por q pra ekes isso e vida,condicao melhor pra vida deles	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Acho uma injustiça tudo isso, eles não pediram para nascer com a deficiência.	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nao	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, PCDT de MPS IVA de IV contempla apenas o tratamento de não cadeirantes ou interrompe o tratamento de quem durante o tratamento para de andar. O tratamento deveria ser para todos	O tratamento deveria ser para todos os PCDT.	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Não	Não	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Um amiga querida precisa	
15/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Excelente para tratamento de crianças com colite cetativa	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra privar a medicação para esses pacientes de mucopolissaridose onde estão tirando o direito a vida.	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Não acho justo os pacientes cadeirantes e os que param de andar durante o tratamento não perderem acesso ao tratamento O tratamento ajuda em tudo ,qualidade de vida e tratamento para todos	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra quando falam em privar a o tratamento desses paciente	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Gostaria que não interrompesse o tratamento desses paciente com doenças raras	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Gostaria de não interrompesse o tratamento desses paciente e não tirassem o direito deles ter uma qualidade de vida melhora	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, 5.3. CRITÉRIOS DE INCLUSÃO PARA TRE Poderão fazer uso de galsulfase todos os indivíduos com diagnóstico de MPS VI realizado de acordo com o item 3 deste PCDT (4) E:a) que tenham idade entre 0-6 anos de idade;OU b) que tenham idade igual ou superior a 7 anos, sejam ambulantes e capazes de percorrer, sem ajuda, pelo menos 5 metros nos 6 primeiros minutos do Teste da Caminhada de 12 minutos.	Os criterios de inclusao vao contra os principios doutrinarios do SUS. Onde está a universalidade, integridade e equidade? O paciente independentes da faixa etária tem o direito de ter seu tratamento.	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Gostaria que todos pacientes de doenças raras não fossem interrompido o tratamento desses pacientes pois estão tirando o direito a vida.	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra que interropam o tratamento o tratamento de paciente com doenças raras onde sou favor a contidas desse tratamento.	
15/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Sim, Alterar os critérios de inclusão para TRE.	Independente da faixa etária ou de quando é fechado o diagnóstico, entendo que todos têm o direito de realizar o tratamento.	
15/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Alterar os critérios de inclusão para TRE	Eu como profissional da rede de atenção ao paciente portador de MPS, vejo que a proposta é abusiva. Pois a partir do momento, que aponto quem deve ou quem não realizar o tratamento, vou contra aos princípios do SUS.	
15/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Alterar os critérios de inclusão para TRE	Eu como profissional da rede de atenção ao paciente portador de MPS, vejo que a proposta é abusiva. Pois a partir do momento, que aponto quem deve ou quem não realizar o tratamento, vou contra aos princípios do SUS.	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra que provem o tratamento desses pacientes de doenças raras	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
15/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Critérios de inclusão para TRE	Eu como portadora de MPS IV, acho bastante abusiva este protocolo, e acredito que TODO indivíduo diagnosticado com essa síndrome tem direito ao tratamento independente da idade.	
15/08/2019	Interessado no tema	Regular		Não concordo com esta decisão, é desumana deixar essas pessoas sem auxílio	
15/08/2019	Interessado no tema	Ruim		Reatringir o tratamento a pessoas que ainda andam fere a isonomia contitucional, além de cruel e ferir os direitos humanos.	
16/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		Os raros necessitam dos medicamentos. todos tem o direito a vida.	
17/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Nenhum paciente deve ser excluído por qualquer critério que seja!	Não	
17/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Nao	
17/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Nao	
18/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	Sim, Aumentar os critérios de inclusão para uso da Galsulfase.	Já é de comum consenso a melhora significativa em todos os sistemas afetados pela doença mesmo sendo um paciente mais velho ou que não possua um padrão de marcha requerido pelos critérios de inclusão. Acredito que com esses critérios de inclusão mais restritos, muitos pacientes vão se prejudicar com a falta da reposição enzimática.	
18/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Com a proposta, ficam excluídos um terço de toda a população de pacientes portadores de Mps IV A e VI. Impedindo o direito garantido pelo SUS da saúde.	Os pacientes em tratamento apresentam uma melhora considerável na qualidade de vida.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
18/08/2019	Paciente	Muito boa	Não	Acho muito justo	
19/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Nos critérios de inclusão. São muito fechados e rígidos. Eu trabalho com pacientes com MPS VI há alguns anos e posso dizer que pela minha experiência esses pacientes apresentaram ganhos na qualidade de vida com a TRE. A maioria são cadeirantes ou apresentam alguma limitação e assim se o PDDT for aprovado da forma proposta estes perderam o direito ao tratamento. Na minha visão isso seria uma seleção entre quais pacientes devem viver e quais devem morrer.	Sou enfermeira no hospital infantil e trabalho no setor de doenças raras. No dia a dia acompanho o sofrimento destes pacientes e de suas famílias. Muitas vezes eles não tem dinheiro nem para o transporte até o hospital, ou mesmo tem até dia sem comer. Essas famílias não escolheram ter indivíduos doentes, mas fazem tudo o que está ao seu alcance para dar uma qualidade de vida para os acometidos. Tenho inúmeras experiências , que se fosse o caso poderia descrever aqui. Sei que a doença não tem cura ainda, mas negar o acesso a TRE para os pacientes com idade mais avançada e ou com limitações importantes é negar muito mais que dinheiro é tirar toda a esperança destes doentes e suas famílias. A enzima realmente não traz a cura, mas podemos ver a mudança pós inicio de tratamento com as mesmas. Eu amo cada um de meus pacientes como se fossem meus filhos e tirar a chama da vida destes é uma crueldade sem fim. Respeito o trabalho dos Senhores acho muito digno e louvável, a parte econômica do país é sim de suma importância, temos sim que ter consciência na gestão e nos gastos públicos, mas não é privando estes pacientes e famílias o direito ao tratamento que vamos resolver o problema da saúde. Agradeço pelo espaço para expor a minha opinião.	
19/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Tirar ou mudar o critério de inclusão	Não	
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO PODE HAVER RESTRIÇÃO QUANTO A DISTRIBUIÇÃO DA MEDICAÇÃO. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		TODOS TEM DIREITO A VIDA.
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		TODOS TEM DIREITO A VIDA.
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		TODOS TEM DIREITO A VIDA.
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		TODOS TEM DIREITO A VIDA.
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		TODOS OS PACIENTES TEM DIREITO AO TRATAMENTO. NÃO PODE HAVER RESTRIÇÃO QUANTO A DISTRIBUIÇÃO DA MEDICAÇÃO. TODOS TEM DIREITO A VIDA. INDEPENDENTE DE IDADE E FORMA DE LOCOMOÇÃO.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO. NÃO DEVEM RESTRINGIR O USO DA MEDICAÇÃO PARA AQUELES QUE SE LOCOMOVEM COM CADEIRA DE RODAS. E TAMBÉM NÃO DEVE HAVER RESTRIÇÃO PARA OS QUE FORAM DIAGNOSTICADOS MAIS TARDE.	
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
20/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	REVER OS CRITÉRIOS DE INCLUSÃO	
20/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Tem pessoas que precisam desse tratamento para terem melhorias de vida!	
20/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Incluir cadeirantes e acamados na proposta.	Não	
21/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Por enquanto, não.	
21/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
21/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim		Trabalho no hospital referência em atendimento a esses pacientes e é notória a melhora com a TRE. Restringir esse direito é abster-se do direito à qualidade de vida.	
21/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Vidas raras não tem preço	
21/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, acho injusto uma criança ser privada de ter um tratamento.	não.	
21/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
21/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, INJUSTIÇA PARA ESSAS CRIANÇAS QUE NECESSITAM DE TRATAMENTO.	NAO.	
21/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, INJUSTIÇA AS CRIANÇAS QUE NECESSITAM DE TRATAMENTO.	NAO	
21/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	O acesso ao tratamento deve ser para todos os pacientes, independentemente de idade e de condição física/motora, mediante a indicação do médico ou geneticista responsável pelo diagnóstico. A falta ou o atraso do tratamento, além de causar sequelas severas, o medicamento é a única possibilidade de garantir uma melhor qualidade de vida dos pacientes, evitando o agravamento da saúde dos pacientes.	
22/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Todos os pacientes tem direito ao tratamento até mesmo os cadeirantes	Que inclui os cadeirantes.	
22/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Sim, So quem tem filhos com doenças raras sabem o que enfrenta no decorer dos dias minha filha tem mps tipo VI e em pouco tempo de infusao estao vendo uma diferenca de melhoria muito grande .	Entao que nenhum paciente venha ficar para trás pois todos teemos uma vida e ninguem que morrer sabermos que a medicação nao cura mas e um paleativo ao qual vermos resultados todos os dias de nossas vidas a dulcy maria minha filha tem cinco meses de infusao e afirmo a qualidade de vida dela melhorou bastante.	Clique aqui
23/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Nao	
23/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nenhum paciente deve FICA excluído do tratamento, o direito de para todos	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
23/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Esses medicamentos para MPS IV e VI, são essenciais para a boa qualidade de vida de pacientes com essas doenças raras, ainda não e a cura definitiva. mas com certeza mantem os doentes vivos e com uma qualidade de vida muito boa. não e possível que esses pacientes sejam condenados a morte por conta de alguns ter ficado com algumas sequelas anterior de o remédio existir, uma vida não tem preço.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
23/08/2019	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	Ruim	<p>Sim, Referente a consulta pública nº 41, aberta pela CONITEC e publicada no D.O.U em 25 de julho de 2019 (“Consulta Pública”) para contribuições da sociedade à proposta de PCDT (Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas) para o tratamento Mucopolissacaridose Tipo VI (Síndrome Maroteaux-Lamy), a BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. (BIOMARIN), detentora do registro do medicamento galsulfase (Naglazyme®), indicado para o tratamento específico da MPS VI, apresenta sua manifestação nos termos que seguem adiante..Vale destacar, desde já, que em dezembro de 2018, após processo de avaliação de tecnologia em saúde do Naglazyme (galsulfase), submetido pela BIOMARIN e realizado pela CONITEC, recebemos com entusiasmo a recomendação de incorporação da terapia usada para o tratamento da MPS VI.No entanto, a proposta de PCDT (Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas) alvo desta Consulta Pública apresenta restrições, que em nosso entendimento são graves, excluindo cerca de um terço dos pacientes que já têm acesso à terapia e se beneficiam com seu uso.Por conta disso, após a minuciosa leitura da Consulta Pública em questão, referente à proposta de aprovação do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para Mucopolissacaridose tipo VI, a BIOMARIN entende que alguns pontos devem ser melhor explicitados. Assim, apresentamos nosso parecer técnico-científico, sobre os pontos que a nosso ver devem ser revisados nesta proposta de PCDT: I. Na página 11, no item “5.1.4. Onde refere-se a Tratamento cirúrgico. “Cirurgia de coluna toracolombar...” Não há nenhuma referência no texto de proposta do PCDT que pacientes com MPS VI podem apresentar compressão medular alta, ou seja, compressão de medula cervical com necessidade de tratamento cirúrgico. Tal comorbidade, caso não tratada corretamente, levará a lesão irreversível da medula espinhal, com impacto na deambulação e na qualidade de vida. II. Na página 13 onde se lê “5.2 TRATAMENTO ESPECÍFICO, 5.2.1 TRANSPLANTE TRONCO (TCTH) DE CÉLULAS HEMATOPOIÉTICAS” As evidências atualmente disponíveis sugerem que existem benefícios da</p>	<p>A seguir, apresentamos a lista de referências que embasou o parecer da empresa: Referências bibliográficas: Harmatz P, Giugliani R, Schwartz IV, Guffon N, Teles EL, Miranda MC, Wraith JE, Beck M, Arash L, Scarpa M, Ketteridge D, Hopwood JJ, Plecko B, Steiner R, Whitley CB, Kaplan P, Yu ZF, Swiedler SJ, Decker C; MPS VI Study Group. Long-term follow-up of endurance and safety outcomes during enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis VI: Final results of three clinical studies of recombinant human N-acetylgalactosamine 4-sulfatase. Mol Genet Metab. 2008 Aug; 94(4):469-75 Harmatz P, Giugliani R, Schwartz I, Guffon N, Teles EL, Miranda MC, Wraith JE, Beck M, Arash L, Scarpa M, Yu ZF, Wittes J, Berger KI, Newman MS, Lowe AM, Kakkis E, Swiedler SJ; MPS VI Phase 3 Study Group. Enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis VI: a phase 3, randomized, double-blind, placebo-controlled, multinational study of recombinant human N-acetylgalactosamine 4-sulfatase (recombinant human arylsulfatase B or rhASB) and follow-on, open-label extension study. J Pediatr. 2006 Apr; 148(4):533-539. Swiedler SJ, Beck M, Bajbouj M, Giugliani R, Schwartz I, Harmatz P, Wraith JE, Roberts J, Ketteridge D, Hopwood JJ, Guffon N, Sá Miranda MC, Teles EL, Berger KI, Piscia-Nichols C. Threshold effect of urinary glycosaminoglycans and the walk test as indicators of disease progression in a survey of subjects with Mucopolysaccharidosis VI (Maroteaux-Lamy syndrome). Am J Med Genet A. 2005 Apr 15; 134A(2):144-50. Vairo F, Federhen A, Baldo G, Riegel M, Burin M, Leistner-Segal S, Giugliani R. Diagnostic and treatment strategies in mucopolysaccharidosis VI. . Appl Clin Genet.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>realização de TCTH em indivíduos com MPS VI, especialmente naqueles em idade precoce. Desta forma, indivíduos com MPS VI que tenham até 6 anos de idade, deverão ser encaminhados a centros transplantadores de referência, a fim de ser verificada a possibilidade de realização de TCTH.”Poucos dados foram publicados sobre transplante em MPS VI, e ainda não há consenso que pacientes com MPS sem déficit cognitivo devam se submeter a tal procedimento. A título de informação e para comparação, a taxa de mortalidade para MPS I é de cerca de 25% em centros de referência fora do Brasil e a idade preconizada para o transplante não deve ultrapassar dois anos de idade. E os pacientes com MPS I (Hurler) após TCTH devem ser acompanhados por toda a vida, inclusive com realização de exames mínimos para descartar a necessidade de cirurgias ortopédicas, corneais e oóvalvares. Dentre as referências mencionadas para justificar o TCTH, Hoogerbrugge et al, 1995, publicaram uma série de casos com 63 pacientes com doenças lisossomais, submetidos a TCTH. Os autores relataram uma mortalidade em casos de receptores de amostras de familiares HLA-compatíveis de cerca de 10%, e de até 25% nos casos não compatíveis, ressaltando-se que atualmente não se preconiza o uso de doadores familiares pelo risco de heterozigose. Porém, destacamos que desta série, somente 3 casos foram identificados como de MPS VI, e os desfechos finais dos transplantes não foram localizados na publicação – sucesso, insucesso, complicações ou óbitos. Além disso, a revisão apresentada como evidência a favor do TCTH, por Krivit W, 2004, traz o breve relato de 1 (um) único caso de MPS transplantado, sem, no entanto, detalhar desfechos ou complicações. O único estudo mencionado que traz maior detalhamento sobre o TCTH em MPS VI, por Herskhovitz et al., 1999, relata apenas o desfecho de uma série de 4 casos, com seguimento de duração variável, porém limitado a 1 e 2 anos, em dois dos casos. Consoante com tais evidências, os autores do recente consenso sobre manejo de mucopolissacaridose VI (Akyol et al., 2019) – um total de 197 especialistas de</p>	<p>2015 Oct 30;8:245-55. Costa-Motta FM, Bender F, Acosta A, et al. A community-based study of mucopolysaccharidosis type VI in Brazil: the influence of founder effect, endogamy and consanguinity. Hum Hered. 2014;77(1-4): 189-196. Ghosh A, Miller W, Orchard PJ, Jones SA, Mercer J, Church HJ, Tylee K, Lund T, Bigger BW, Tolar J, Wynn RF Enzyme replacement therapy prior to haematopoietic stem cell transplantation in Mucopolysaccharidosis Type I: 10 year combined experience of 2 centres. Mol Genet Metab. 2016 Mar;117(3):373-7. Aldenhoven M, Wynn RF, Orchard PJ, O`Meara A, Veys P, Fischer A, Valayannopoulos V, Neven B, Rovelli A, Prasad VK, Tolar J, Allewelt H, Jones SA, Parini R, Renard M, Bordon V, Wulffraat NM, de Koning TJ, Shapiro EG, Kurtzberg J, Boelens JJ. Long-term outcome of Hurler syndrome patients after hematopoietic cell transplantation: an international multicenter study. Blood. 2015 Mar 26;125(13):2164-72. Selvanathan A, Ellaway C, Wilson C, Owens P, Shaw PJ, Bhattacharya K. Effectiveness of Early Hematopoietic Stem Cell Transplantation in Preventing Neurocognitive Decline in Mucopolysaccharidosis Type II: A Case Series. JIMD Rep. 2018;41:81-89. Giugliani R, Harmatz P, Wraith JE. Management guidelines for mucopolysaccharidosis VI. Pediatrics. 2007. Rev Assoc Med Bras (1992). 2010 May-Jun;56(3):271-7. Giugliani R1, Federhen A, Muñoz Rojas MV, Vieira TA, Artigalás O, Pinto LL, Azevedo AC, Acosta AX, Bomfim C, Lourenço CM, Kim CA, Horovitz D, Souza DB, Norato D, Marinho D, Palhares D, Santos ES, Ribeiro E, Valadares ER, Guarany F, De Lucca GR, Pimentel H, Souza IN, Corrêa Neto J, Fraga JC, Góes JE, Cabral JM, Simeonato J, Llerena JC Jr, Jardim LB, Giuliani Lde R, Silva</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>25 países - indicou que: "...Evidence supporting the use of HSCT in patients with MPS VI is currently lacking, being based on a small number of case studies and results from non-randomised follow-up studies..." (Evidência corroborando o uso de transplante de células tronco hematopoiéticas em pacientes com MPS VI está atualmente em falta, sendo baseada em um pequeno número de estudos de casos e resultados de estudos de seguimento de ensaios não randomizados, tradução livre) Ademais, considerando-se a autonomia de pacientes e familiares, os riscos inerentes dos transplantes de medula óssea, particularmente nos pacientes com doenças metabólicas, bem como a baixa experiência internacional e local e a limitada estrutura no Brasil, nossa sugestão para este trecho seria a possibilidade de indicação ou avaliação, substituindo-se a palavra "deverão" por "poderão": "...tenham até 6 anos de idade, poderão ser encaminhados a centros transplantadores de referência..." III. Na página 13 do presente PCDT no item "5.3. CRITÉRIOS INCLUSÃO PARA TRE: Poderão fazer uso de galsulfase todos os indivíduos com diagnóstico de MPS VI realizado de acordo com o item 3 deste PCDT (4) E: a) que tenham idade entre 0-6 anos de idade; OU b) que tenham idade igual ou superior a 7 anos, sejam ambulantes e capazes de percorrer, sem ajuda, pelo menos 5 metros nos 6 primeiros minutos do Teste da Caminhada de 12 minutos." Diante do exposto no item 5.3, entende-se que há amplas restrições para a indicação da terapia de reposição enzimática com galsulfase. No entanto, o último consenso publicado em 2019 por Akyol e colaboradores explicita que todos os pacientes com o diagnóstico de MPS VI devem ser tratados com a terapia enzimática independente de sua idade, por se tratar de uma doença metabólica progressiva. Galsulfase é única medicação aprovada pela ANVISA e outros órgãos reguladores internacionais para o tratamento específico da MPS VI. Tais critérios do PCDT proposto conflitam com a realidade brasileira, já que o diagnóstico precoce da MPS VI no Brasil não se faz na prática clínica por se tratar de uma doença ainda desconhecida dentre a</p>	<p>LC, Santos M, Moreira MA, Kerstenetzky M, Ribeiro M, Ruas N, Barrios P, Aranda P, Honjo R, Boy R, Costa R, Souza CF, Alcântara FF, Avilla SG, Fagundes S, Martins AM. Enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidoses I, II and VI: recommendations from a group of Brazilian F experts]. Rev Assoc Med Bras (1992). 2010 May-Jun;56(3):271-7. Harmatz P, Giugliani R, Schwartz I, Guffon N, Teles E, Sá Miranda M, MPS VI Phase 3 Study Group. Enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis VI: a phase 3, randomized, double-blind, placebo-controlled, multinational study of recombinant human N-acetylgalactosamine 4-sulfatase (recombinant human arylsulfatase B or rhASB) and follow-on, open-label extension study. J Pediatr. 2006;148(4):533-9. Hendriksz C, Giugliani R, Harmatz P, Lampe C, Martins AM, Pastores GM, Steiner RD, Teles EL, Valayannopoulos V, CSP Study Group. Design, baseline characteristics, and early findings of the MPS VI (mucopolysaccharidosis VI) Clinical Surveillance Program (CSP). J Inher Metab Dis (2013) 36:373–384. Giugliani R, Lampe C, Guffon N, Ketteridge D, Teles ET, Wraith JE, Jones SA, Piscia-Nichols C, Lin P, Quartel A, Harmatz P. Natural History and Galsulfase Treatment in Mucopolysaccharidosis VI (MPS VI, Maroteaux-Lamy Syndrome) — 10 Year Follow-up of Patients Who Previously Participated in an MPS VI Survey Study. Am J Med Genet A. 2014 August ; 164(8): 1953–1964. (NAGLAZYME [Bula do Produto]. São Paulo, Brasil; BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. BULA). Harmatz P, Giugliani R, Ida IV, Guffon N, Teles EL, Miranda MCS, et al. Long-term follow-up of endurance and safety outcomes during</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>classe médica. Além disso, há dados na literatura médica com uso de galsulfase por mais de quinze anos (Quartel, 2018) que comprovam sua eficácia e segurança, além da sobrevivência de pacientes com MPS VI em uso de galsulfase comparado ao grupo sem terapia (121 pacientes entre 4 e 56 anos) em diferentes estágios da doença (Swiedler, 2005). Estudo de fase 2 de galsulfase aberto (Harmatz et al, 2005) avaliou dez pacientes entre 6 e 22 anos com resultados de melhora nos testes de caminhada, prova de função pulmonar, melhora da dor em 50% e na amplitude de movimento nas Semanas 24 e 48. O estudo de extensão (Harmatz et al. 2008) com amostra com idades de 5 a 29 anos mostrou que a longo prazo, o tratamento com galsulfase gerou uma mudança na distância (TC6) de 80±13 metros (p<0,001) no grupo Ex-placebo e 183±26 metros (p<0,001) no grupo Ex-galsulfase em relação à linha de base. O estudo de extensão descrito por Decker et al. (2010) demonstrou também impacto no crescimento em todos os pacientes em relação à altura na linha de base, uma diferença média de 4,3 cm (desvio padrão igual a 2,9 cm). Quando avaliado pelos grupos etários, a taxa de crescimento foi maior em pacientes com idade inferior a 16 anos; as mudanças foram respectivamente iguais a: 5,1 cm (desvio padrão de 2,3 cm) para faixa de 5-7 anos, 5,6 cm (desvio padrão de 2,1 cm) para faixa de 8-11 anos, 4,2 cm (desvio padrão de 4,0 cm) para faixa de 12-15 anos e 2,0 cm (desvio padrão de 2,7 cm) para faixa de 16 anos. O aumento da altura pode resultar do crescimento ósseo e/ou redução das contrações articulares. O crescimento ósseo e a resolução da puberdade tardia podem estar relacionados a melhorias na saúde geral, saúde das células ósseas, nutrição, função da glândula endócrina e inflamação reduzida. O estudo de extensão de Harmatz et al. 2010 mostrou mudanças significativas nos parâmetros respiratórios dos pacientes avaliados. A porcentagem de mudança da capacidade vital forçada (FVC) em relação à linha de base até a 240ª semana em crianças < 12 anos foi de 13,6% e de 14,5% em crianças > 12 anos. A porcentagem de mudança no volume expiratório forçado no 1 segundo (FEV1) em</p>	<p>enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis VI: Final results of three clinical studies of recombinant human N-acetylgalactosamine 4-sulfatase. <i>Mol Genet Metab.</i> 2008;94(4):469–75. Decker C, Yu ZF, Giugliani R, Schwartz IVD, Guffon N, Teles EL, et al. Enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis VI: Growth and pubertal development in patients treated with recombinant human N-acetylgalactosamine 4-sulfatase. <i>J Pediatr Rehabil Med.</i> 2010;3(2):89–100. Harmatz P, Yu ZF, Giugliani R, Schwartz I V, Guffon N, Teles EL, et al. Enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis VI: evaluation of long-term pulmonary function in patients treated with recombinant human N-acetylgalactosamine 4-sulfatase. <i>J Inherit Metab Dis.</i> 2010;33(1):51–60. Braunlin E, Rosenfeld H, Kampmann C, Johnson J, Beck M, Giugliani R, et al. Enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis VI: Long-term cardiac effects of NAGLAZYME® (galsulfase) therapy. <i>J Inherit Metab Dis.</i> 2013;36(2):385–94. But WM, Wong MY, Chow JCK, Chan WKY, Ko WT, Wu SP, et al. Enzyme replacement therapy for mucopolysaccharidosis VI (Maroteaux-Lamy syndrome): Experience in Hong Kong. <i>Hong Kong Med J.</i> 2011;17(4):317–24. Brands MMMG, Oussoren E, Ruijter GJG, Vollebregt AAM, van den Hout HMP, Joosten KFM, et al. Up to five years experience with 11 mucopolysaccharidosis type VI patients. <i>Mol Genet Metab.</i> 2013;109(1):70–6. Horovitz DDG, Magalhães TSPC, Acosta A, Ribeiro EM, Giuliani LR, Palhares DB, et al. Enzyme replacement therapy with galsulfase in 34 children younger than five years of age with MPS VI. <i>Mol Genet Metab.</i> 2013;109(1):62–9. Giugliani R, Lampe C,</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>relação à linha de base até a 240ª semana em crianças < 12 anos foi de 39,8% e de 30,6% em crianças &#8805; 12 anos. Os resultados do modelo com base em dados de todos os ensaios mostraram melhorias significativas na taxa de alteração na função pulmonar durante 96 semanas com TRE a base de galsulfase, enquanto nenhuma melhoria significativa foi observada no mesmo período de tempo anterior à TRE. Assim, o uso de galsulfase a longo prazo resultou em melhora na função pulmonar em pacientes com MPS VI também em faixas etárias superiores a 12 anos de idade. Outro estudo observacional descrito por But et al., 2010 mostrou uma subpopulação com quadro clínico avançado, avaliou a eficácia e a segurança do uso de galsulfase nestes pacientes, sendo o paciente A com idade de 17,2 anos e o paciente B com 16,8 anos. Após 24 semanas de tratamento, o paciente A obteve melhora de 36% na distância percorrida no teste de caminhada de seis minutos (6MWT) em comparação à linha de base. O paciente B obteve 58%. Após 48 semanas, o paciente A obteve melhora de 129% no 6MWT e 60% no teste de subida de escada de 3 minutos (3MSC). O paciente B obteve melhora de 174% no 6MWT e de 140% no 3MSC. Houve um declínio significativo na excreção urinária de GAGs, e melhora na amplitude de movimento das articulações em ambos os pacientes. Não foi relatado nenhum evento adverso relacionado com o uso de galsulfase, o que demonstrou que o medicamento é seguro e bem tolerado, além de melhorar significativamente a resistência física e reduzir a excreção urinária de GAG. Outro estudo prospectivo holandês descrito por Brands et al., 2013 com 11 pacientes (idade entre 2 e 18 anos) com um acompanhamento de 5,4 anos, avaliou parâmetros clínicos (função pulmonar, polissonografia, evolução cardíaca, função motora, tamanho do fígado e do baço, excreção de GAGs urinários, função auditiva) e de qualidade de vida - HRQoL (escalas de qualidade de vida da criança através dos questionários TACQOL e TAPQOL) em pacientes holandeses com MPS VI que receberam terapia de reposição enzimática em centro</p>	<p>Guffon N, Ketteridge D, Leão-Teles E, Wraith JE, et al. Natural history and galsulfase treatment in mucopolysaccharidosis VI (MPS VI, Maroteaux-Lamy syndrome)-10-year follow-up of patients who previously participated in an MPS VI survey study. <i>Am J Med Genet Part A</i>. 2014;164(8):1953–64. Kammann C, Lampe C, Whybra-Trümpner C, Wiethoff CM, Mengel E, Arash L, et al. Mucopolysaccharidosis VI: Cardiac involvement and the impact of enzyme replacement therapy. <i>J Inher Metab Dis</i>. 2014;37(2):269–76. Relatório 411 – Alfaelosulfase para pacientes com mucopolissacaridose tipo IVa (Síndrome de Morquio A); SCTIE/MS no. 82/2018 – Publicada em 20/12/2018. Ministério da Saúde, Brasil Relatório 412 – Galsulfase para a terapia de reposição enzimática de longo prazo, em pacientes com diagnóstico confirmado de mucopolissacaridose tipo VI (deficiência de N-acetilgalactosamina 4-sulfa); SCTIE/MS no. 83/2018 – Publicada em 20/12/2018. Ministério da Saúde, Brasil “Life Saving Drugs Program”; Department of Health - Australian Government. Documento disponível em https://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/lscp-criteria Common Drug Review (CDR); CADTH - Canada. Documento disponível em https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/complete/SR0434_complete_Naglzyme-Feb-23_16_e.pdf Inglaterra: https://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2019/04/nhs-england-drugs-list-v14.1.pdf Hoogerbrugge PM, Brouwer OF, Bordigoni P, Ringden O, Kapaun P, Ortega JJ, et al. Allogeneic bone marrow transplantation for lysosomal storage diseases. The European Group for Bone</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>especializado. Galsulfase teve efeitos positivos nos seguintes parâmetros clínicos: diâmetro da parede cardíaca ($p < 0,024$), flexões do ombro direito e esquerdo ($P < 0,001$), tamanho do fígado e baço ($p < 0,001$), e excreção de GAGs urinário ($p < 0,001$). A HRQoL diminuiu ligeiramente em dois domínios ("ansiedade" e "emoções negativas"). Os maiores progressos em termos de qualidade de vida da criança (através do questionário TAPQOL) foram nos domínios: problemas pulmonares, sono, humor positivo, vivacidade, funcionalidade social e comunicação. Um estudo retrospectivo realizado na Alemanha por Kampmann em 2014 com acompanhamento de nove anos demonstrou o impacto da TRE com galsulfase nas funções cardíacas de 44 pacientes com MPS VI, apesar do início tardio (a idade média dos pacientes incluídos era de 14,6 anos). Na linha de base, a insuficiência valvular (principalmente aórtica e intravenosa) e a sobrecarga do volume do ventrículo esquerdo estavam presentes em mais da metade dos pacientes. Outras manifestações cardíacas observadas durante o acompanhamento foram: taquicardia sinusal, hipertrofia do ventrículo esquerdo, remodelação concêntrica do ventrículo esquerdo e hipertensão pulmonar. O tratamento com galsulfase mostrou impacto na estrutura e função cardíacas quando iniciado tardiamente; porém, pode ter melhores resultados a longo prazo quando iniciado durante a infância precoce. O estudo de um autor brasileiro Giugliani et al., 2014 com sete anos de acompanhamento, avaliou os efeitos de longo prazo do tratamento com galsulfase na progressão natural da MPSVI em 59 pacientes (idade &#8805; 7 anos). Os pacientes em TRE cresceram 20,4 cm no grupo etário de 4-7 anos e 16,8 cm no grupo de 8-12 anos de idade. Os pacientes sem TRE não cresceram no período de acompanhamento. Os pacientes em TRE com menos de 13 anos de idade demonstraram melhora de 68% na capacidade vital forçada (FVC) e de 55% no volume expiratório forçado em 1 segundo (FEV1). Aqueles com mais de 13 anos aumentaram a FVC em 12,8% e mantiveram o VEF1. Os pacientes com níveis GAG</p>	<p>Marrow Transplantation. Lancet. 1995;345(8962):1398-402. Krivit W. Allogeneic stem cell transplantation for the treatment of lysosomal and peroxisomal metabolic diseases. Springer Semin Immunopathol. 2004;26(1-2):119-32. Herskhovitz E, Young E, Rainer J, Hall CM, Lidchi V, Chong K, et al. Bone marrow transplantation for Maroteaux-Lamy syndrome (MPS VI): long-term follow-up. J Inherit Metab Dis. 1999;22(1):50-62.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>urinários basais > 200 mg / mg aumentaram a FVC em 48% no grupo etário < 13 anos, e em 15% no grupo etário > 13 anos. Os pacientes em TRE que completaram o teste de caminhada de 6 minutos demonstraram um aumento médio de 65,7 metros. Os parâmetros cardíacos não tiveram alterações significativas. Considerando-se os dois estudos citados, foi possível calcular a taxa de mortalidade para 117 pacientes. Entre os pacientes virgens de tratamento, a taxa de mortalidade foi de 50% (7 de 14 pacientes, no total). No grupo em TRE, a taxa foi de 16,5% (17 de 103 pacientes, no total), com razão de risco não ajustada de 0,24 (IC 95%: 0,10 - 0,59). Desta forma, galsulfase foi associado a melhorias na função e resistência pulmonar, na função cardíaca estabilizada e no aumento da sobrevida. A respeito das dificuldades em se estudar a MPS VI por meio de Ensaio Clínico Randomizado (ECR), destacamos que é condição extremamente rara, impactando no n de sujeitos a serem estudados. E que além dos critérios de inclusão no período de triagem, os pacientes não poderiam ter realizado cirurgias ortopédicas que impactassem no TC6M, pois estes deveriam ser capazes de caminhar para a avaliação de endurance. Portanto, os pacientes do ECR possuíam a doença em estágio menos avançado, o que como descrito antes, não necessariamente representa a totalidade de pacientes em nossa realidade. Vale ressaltar também que a restrição de indicação de TRE com a galsulfase, baseada em idade ou mobilidade, de forma a replicar os critérios utilizados no Ensaio Clínico Randomizado (ECR) por Harmatz et al (2006), o qual considera critérios de inclusão e exclusão para melhor delinear os desfechos primários e secundários, resulta em limitação injustificável da população a ser beneficiada pela terapia medicamentosa. Tais restrições apresentam clara dissonância frente: 1. As evidências científicas publicadas e sintetizadas acima, que compõem um conjunto que respalda a segurança, a eficácia e a efetividade da galsulfase em diferentes faixas etárias, com benefícios que vão além do ganho mensurado por meio dos testes de endurance (resistência) reportado no</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>ECR fase 3;2. Recomendação apontada pela própria CONITEC em seus relatórios pós-Consultas Públicas (relatórios de recomendação número 411 e 412, dezembro de 2018), que indicava como importante se avaliar um conjunto amplo de evidências científicas, indo além do ECR de fase 3 e dos quais extraímos o trecho abaixo, em suas avaliações globais das contribuições: "...evidências científicas em relação às doenças raras devem ser analisadas de modo diferente quando comparadas às doenças de alta prevalência..., trazendo a necessidade de realizar uma busca mais abrangente em relação ao desenho dos estudos que irão compor a análise dos resultados."3. A experiência de mundo real de centros de referência, que reportaram benefício em distintas faixas etárias e com populações heterogêneas, conforme publicações de series de casos ou por estudos de extensão. Ponto este reforçado por especialistas internacionais, incluindo o consenso por Akyol et col (2019).4. As outras incorporações da galsulfase nos sistemas de saúde, dentre os quais destacamos:a. O Sistema Nacional de Saúde da Inglaterra (NHS – National Health Service England);b. O sistema de saúde Australiano, por meio de inclusão da galsulfase no "programa de medicamentos que salvam vidas" (LSDP – Life Saving Drug Program);c. O sistema de saúde Canadense, por meio de recomendação do CADTH (Canadian Agency for Drugs and Technology in Health), que recomendou a incorporação independentemente de faixa etária ou limitação de capacidade de deambulação5. O registro regulatório do medicamento junto à ANVISA e outras agências como FDA (Food and Drug Administration) e EMA (European Medicines Agency), que não restringem por idade ou por status de mobilidade. IV. Ainda à página 13 - 5.4 CRITÉRIOS DE EXCLUSÃO PARA TRE: Serão excluídos do tratamento com galsulfase os pacientes que se enquadrarem nas seguintes situações:Condição médica irreversível e que implique em sobrevida provavelmente < 6 meses como resultado da MPS VI ou de outra doença associada, em acordo entre mais de um especialista;Pacientes com idade > 18 anos que, após serem informados sobre os</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>potenciais riscos e benefícios associados ao tratamento com galsulfase, recusarem-se a serem tratados; Pacientes com histórico de falha de adesão, desde que previamente inseridos, sem sucesso, em programa específico para melhora de adesão, ou seja, pacientes que, mesmo após o programa, não comparecerem a pelo menos 50% do número de consultas ou de avaliações previstas em um ano. E V. Nas páginas 15 e 16 onde se encontra o item “6. TEMPO DE TRATAMENTO- CRITÉRIOS DE INTERRUPÇÃOa) Pacientes que não apresentarem melhora após 6 meses de tratamento em alguma das seguintes manifestações clínicas que comprovadamente respondem ao tratamento com TRE: TC6M (a melhora aqui é definida como o aumento da distância percorrida, em relação ao período basal, de pelo menos 45m); níveis basais de GAGs urinários (a melhora aqui é definida como a redução dos níveis urinários de GAGs em pelo menos 60% em relação aos níveis basais). b) Pacientes que desenvolverem condição irreversível que implique em morte iminente, cujo prognóstico não se alterará devido ao uso da TRE, como resultado da MPS VI ou de outra doença associada, em acordo entre mais de um especialista. c) Pacientes que não apresentarem pelo menos 50% de adesão ao número de infusões previstas em um ano, ou ao número de consultas previstas em um ano, ou ao número de avaliações previstas em um ano com o médico responsável pelo seguimento do paciente, desde que previamente inseridos, sem sucesso, em programa específico para melhora de adesão, ou seja, pacientes que, mesmo após o programa, não comparecerem a pelo menos 50% do número de infusões, consultas ou avaliações previstas em um ano. d) Pacientes que apresentarem hipersensibilidade ou reação adversa grave (choque anafilático, risco de óbito) ao uso da galsulfase, que não podem ser controladas com segurança utilizando medidas terapêuticas e preventivas apropriadas. e) Pacientes com idade > 18 anos que, após serem devidamente informados sobre os riscos e benefícios de sua decisão, optarem por não mais se submeterem ao tratamento</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>com TRE IV com galsulfase. Em relação ao primeiro critério para interrupção de terapia baseando-se no teste da caminhada como avaliação de endurance, entendemos imperioso incluir outros parâmetros descritos anteriormente, tais como impactos na prova de Função respiratória (FVC, FEV1, MVV), impacto na evolução do ecocardiograma como medida de septo interventricular e função cardíaca. Não foi mencionado ainda que existe um teste adaptado para se mensurar a capacidade de deambulação em pacientes com alterações osteoarticulares ou neurológicas como utilizado em outras condições como MPS IVA, esclerose múltipla e esclerose lateral amiotrófica – teste adaptado de 25-pés. (Motl RW et al. Validity of the timed 25-foot walk as an ambulatory performance outcome measure for multiple sclerosis. Mult Scler. 2017; Apr; 23(5): 704–710.) VI. Na página 18, item 8: Regulação/Controle/Avaliação pelo Gestor, no parágrafo 4: “Para a autorização do TCTH alogênico aparentado ou não aparentado de medula óssea, de sangue periférico ou de sangue de cordão umbilical, do tipo mieloablativo, todos os potenciais receptores devem estar inscritos no Registro Nacional de Receptores de Medula Óssea ou outros precursores hematopoéticos – REREME/INCA/MS, e devem ser observadas as normas técnicas e operacionais do Sistema Nacional de Transplantes.” Não é recomendado transplante utilizando células de doadores aparentados em MPS tipo I devido ao fato de que o doador aparentado possa ser heterozigoto para o gene da MPS VI. VII. Na página 27 no item 3 onde lê-se “3. BUSCAS NA LITERATURA: Foram consultados a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME) e o sítio da CONITEC para a identificação das tecnologias disponíveis no Brasil e tecnologias demandadas ou recentemente incorporadas para o tratamento da MPS 1. Foi também realizada busca por diretrizes nacionais e internacionais a respeito da doença.” Trata-se obviamente de um erro já que a doença em questão é MPS VI e não MPS I. Outro erro nesse item 3 sobre a busca por diretrizes internacionais sobre a doença, não foi incluída a publicação de Akyol et</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>al, 2019; sendo o último consenso internacional que utilizou protocolo Delphi modificado de análise com inúmeros especialistas em MPS VI em todo o mundo, incluindo Brasil e outros países da América Latina. Conclusões: Com base nos resultados dessa análise e em resposta à proposta de PCDT para MPS VI, sugere-se ampliar o uso de galsulfase para todas as faixas etárias, visto que há dados na literatura comprovando sua eficácia, segurança e efetividade, bem como melhora da expectativa de vida em pacientes maiores de 18 anos e aqueles com alteração de mobilidade. Reforça-se que a galsulfase é a única opção terapêutica para o tratamento de MPS VI que apresenta benefícios significativos a longo prazo, aprovada pela ANVISA e outras agências regulatórias, sem restrições de idade ou mobilidade. Na bula aprovada, a galsulfase é indicada para todos os pacientes com MPS VI, o mais precocemente possível. Não por outro motivo que em outros países com sistemas de saúde eminentemente públicos, não há restrição de idade ou mobilidade para a indicação aprovada de galsulfase – caso da Inglaterra, Canadá e Austrália.</p>		
23/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Nao acho justo nem humano, fornecer o remedio so para quem anda ou estr bem	
24/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Nenhum paciente deve ser deixado para trás	Todos têm os mesmos direitos, não pode haver exclusao	
24/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Nenhum paciente deve FICA de fora	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
24/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Regular	Sim, Os estudos clínicos realizados durante seu desenvolvimento e após sua comercialização, bem como a experiência clínica dos inúmeros centros, respaldam os benefícios do tratamento, muito além dos aferidos pelos testes de caminhada. Dado o caráter multissistêmico destas enfermidades, os benefícios sobre as funções cardíaca, pulmonar, osteomuscular e de qualidade de vida, incluindo dor e atividades do dia-a-dia, devem ser considerados nesta avaliação. É totalmente injusto excluir os pacientes cadeirantes. Eles também precisam ser tratados. O tratamento tem função multissistêmica e este tipo de pacientes também devem ser beneficiados proporcionando melhor qualidade de vida	nao	Clique aqui
24/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Não há centro de referência do SUS para HSCT de MPS VI no Brasil, exceto no Paraná. Dra Camem Bonfim no último congresso brasileiro de genética médica mencionou que somente transplantaria lactentes com MPS VI até 12 meses de vida, com células de cordão umbilical. No PCDT se fala até os 6 anos. Outro ponto anti ético e errôneo foi considerar exclusivamente o ECR de fase 3, que havia pacientes menos graves e que eram capazes de realizar o teste da caminhada. Após 15 anos de experiência clínica em terapia de reposição enzimática com galsulfase, diversos estudos foram publicados evidenciando melhora da função pulmonar, função cardíaca, menor taxa de infecção e internação hospitalar, além de aumentar a expectativa de vida comparada a população com MPS VI sem terapia enzimática	a bula aprovada da ANVISA, assim como a bula do FDA e AMA indica a TRE o mais precoce possível assim quando houver o diagnóstico de MPSVI, independente do status da mobilidade do paciente.	Clique aqui
24/08/2019	Paciente	Boa	Não	Não	
25/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Todos têm o direito de fazer o tratamento.	Meu filho tem MPS VI com o tratamento ele está respirando melhor e está fazendo coisas que ele ã conseguia fazer	
25/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Todos devem ter acesso a medicação	A medicação ajuda em todo o organismo da pessoa	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
25/08/2019	Profissional de saúde	Regular	<p>Sim, A Mucopolissacaridose VI (MPS VI ou Síndrome de Maroteaux-Lamy, CID 10: E76.2, OMIM 253200) pertence ao grupo dos erros inatos do metabolismo dos glicosaminoglicanos (GAGs), sendo geneticamente determinada, herdada em caráter autossômico recessivo. Na MPS VI, há deficiência da enzima N-acetilgalactosamina 4-sulfatase (arilsulfatase B, ARSB, OMIM 611542), que participa da degradação de componentes importantes da matriz extra-celular e do tecido conjuntivo, determinando o acúmulo de glicosaminoglicanos nos lisossomos, resultando em disfunção de células, tecidos e órgãos e aumento da excreção urinária de GAGs, especialmente dermatan sulfato. A MPS VI manifesta-se de forma crônica e progressiva, como doença multissistêmica, sendo observado o seguinte quadro clínico: baixa estatura, tronco curto, macrocefalia, face grosseira, hirsutismo, perda da audição, glaucoma, opacificação corneana, macroglossia, acometimento valvar (valvas aórtica e mitral), cardiomiopatia, infecções respiratórias de repetição, hérnias inguinal e umbilical, mielopatia cervical, hidrocefalia, síndrome do túnel do carpo, hepatosplenomegalia, disostose múltipla, artropatia grave com diminuição importante da mobilidade das articulações, aumento da pressão intracraniana, porém com inteligência normal. A maior sobrevida descrita é em torno de 20 anos, a maioria dos pacientes morre de complicações cardiopulmonares na segunda ou terceira década, sendo que valores elevados de GAGs urinários estão associados a curso clínico mais acelerado e ao óbito mais precoce. Porém, o devastador quadro clínico da MPS VI tem sido modificado pela Terapia de Reposição Enzimática (TRE) com o medicamento galsulfase (Naglazyme®). Trata-se de uma variante da enzima humana N-acetilgalactosamina 4-sulfatase, produzida através da tecnologia do DNA recombinante. A substância, infundida por via endovenosa semanalmente nos pacientes com MPS VI, funciona como fonte exógena da enzima, aumentando o catabolismo dos glicosaminoglicanos. Estudos clínicos com Galsufase em pacientes com MPS VI mostraram</p>	<p>Estudos clínicos com Galsufase em pacientes com MPS VI mostraram melhora significativa da capacidade respiratória e da marcha, além de redução da excreção urinária de glicosaminoglicanos. Braunlin et al., 2013 demonstraram a eficácia de Galsufase na redução da hipertrofia septal intraventricular e prevenção da progressão de anomalias das valvas cardíacas quando administradas àqueles com menos de 12 anos de idade. Como autora de um artigo publicado em 2013 (Horovitz et al.), contribuimos para que pacientes com menos de 5 anos de idade também possam se beneficiar do uso do Galsufase, sem que apresentassem quaisquer efeitos adversos durante as infusões apesar da tenra idade. Roberto Giugliani et al., 2016 descrevem que um estudo de acompanhamento de pacientes por 10 anos (Resurvey Study; ClinicalTrials.gov: NCT01387854) evidenciou que aqueles que receberam Galsulfase apresentaram ganhos no crescimento, melhoras na resistência e na função pulmonares, estabilização das medidas cardíacas, melhor qualidade de vida e menor taxa de mortalidade (16,5%) em comparação com pacientes sem tratamento prévio (50%). Após 15 anos, aqueles tratados com Galsulfase (n = 94) continuam a ter maior sobrevivência em relação aos pacientes virgens de tratamento (n = 14), com uma menor taxa global de mortalidade (27% vs. 57%). Outro estudo (J.F. Franco et al., 2016) comparou os parâmetros clínicos de duas irmãs com MPS VI que iniciaram a TRE em diferentes idades (9 anos e 1 ano e 5 meses, respectivamente) e corrobora evidências científicas que indicam que o diagnóstico e o tratamento precoces são fundamentais para um desfecho clínico favorável em longo prazo e para a qualidade de vida dos pacientes.</p>	Clique aqui

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>melhora significativa da capacidade respiratória e da marcha, além de redução da excreção urinária de glicosaminoglicanos. Não há contra-indicações significativas para o uso da galsulfase. Ressalto também, que não há outro produto similar no Brasil e no mercado mundial capaz de substituir o Naglazyme® no tratamento da MPS VI, o que o caracteriza como droga-órfã. O Galsufase possui registro na ANVISA: 1733300010016, de 02/02/2009. Neste momento, três pacientes com MPS VI atendidas no Ambulatório de Genética Médica da Unidade de Atenção à Saúde da Criança e do Adolescente (UASCA) do Hospital Universitário Cassiano Antonio Moraes da Universidade Federal do Espírito Santo/ Empresa Brasileira de Serviços Hospitalares (HUCAM/EBSERH/UFES) que recebem infusões semanais com Galsufase, sendo duas medicadas no HUCAM/UFES/EBSERH e uma no Hospital Geral de Linhares (HGL). A primeira paciente (JRN), que tem uma forma grave de MPS VI iniciou as infusões com Galsufase aos 9 anos e 5 meses no dia 17/02/2007 por meio de Ação Judicial contra a Secretaria Estadual de Saúde do Espírito Santo (SESA/ES) impetrada 9 meses antes da referida data, atualmente em caráter definitivo. Até esta idade, além do quadro clínico supracitado, a paciente já apresentava insuficiência mitral e aórtica (em uso de medicação específica) e opacificação das córneas, bem como já havia apresentado infecções de vias respiratórias como: otites, amigdalites, sinusites e pneumonia (sendo uma muito grave com internação e necessidade de assistência ventilatória). Também já havia sido submetida a herniorrafia umbilical e cirurgia ortopédica para síndrome do túnel do carpo, adenoamigdalectomia, exérese de fibroma odontogênico genival e meatotomia. Nestes 12 anos e 6 meses de TRE com Galsufase, não houve interrupção do fornecimento da medicação pela SESA/ES e a paciente não apresentou quaisquer efeitos adversos à medicação, e apresentou apenas um episódio de pneumonia e foi submetida a transplante de córnea. Vale ressaltar que JRN, atualmente com 21 anos de idade, é aluna do 7º período do Curso de Direito. Ou seja, JRN não só tem</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>uma sobrevida além do esperado no curso natural da MPS VI, como tem uma excelente qualidade de vida e inserção na vida acadêmica com desempenho espetacular. A segunda paciente (KCI, data de nascimento: 25/11/2003), que tem uma forma grave de MPS VI iniciou as infusões com Galsufase aos 4 anos e 10 meses no dia 12/09/2008 através de Ação Judicial contra a Secretaria Estadual de Saúde do Espírito Santo (SESA/ES) impetrada 11 meses antes da referida data. Ressalto que esta paciente iniciou TRE com Galsufase antes dos 5 anos de idade, apesar da recomendação da bula do medicamento de somente ser administrado a maiores de 5 anos de idade. Como autora de um artigo publicado em 2013 (Horovistz et al.), contribuimos para que pacientes com menos de 5 anos de idade também possam se beneficiar do uso do Galsufase. Durante estes 10 anos de TRE com Galsufase, a paciente não apresentou quaisquer efeitos adversos à medicação, porém, infelizmente houve interrupção do fornecimento da medicação pela SESA/ES por cerca de 10 meses não consecutivos, ocasiões em que apresentou várias infecções respiratórias e uma internação por 40 dias a partir do dia 14/09/2017. KCI foi internada em virtude de pneumonia, cursando com insuficiência cardíaca, apnéia obstrutiva do sono com indicação de BiPAP. O ecocardiograma evidenciou espessamento valvar mitral e aórtico, dupla lesão mitral: estenose moderada a importante, insuficiência mitral moderada, eletrocardiograma com sobrecarga biatrial; atualmente medicada e em acompanhamento pelos Ambulatórios de Genética Médica, Cardiopediatria e Pneumopediatria do HUCAM/UFES/EBSERH. Estas interrupções do tratamento com consequentes agravações do quadro clínico seriam evitadas se a dispensação da medicação pudesse ser realizada sem a necessidade de Ação Judicial. A terceira paciente (AKSM, data de nascimento: 12/10/2012), que tem uma forma grave de MPS VI iniciou as infusões com Galsufase aos 2 anos e 10 meses no dia 28/08/2015 através de Ação Judicial contra ao Ministério da Saúde (MS) impetrada 11 meses antes da referida data. Durante estes três anos e 11 meses de</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>TRE, a paciente não apresentou efeitos adversos à medicação, embora infelizmente houve interrupção do fornecimento da medicação pelo MS desde julho/2018, período em que apresentou duas internações por pneumonia e asma, além de artralgia no tornozelo esquerdo. Estas interrupções do tratamento com consequentes agravações do quadro clínico seriam evitadas se a dispensação da medicação pudesse ser realizada sem a necessidade de Ação Judicial. Em se tratando de doença grave, multissistêmica e potencialmente letal e em virtude do acima exposto, concluo que Galsufase modifica o grave curso natural da MPS VI, almejo que o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Mucopolissacaridose tipo VI avaliado pela Subcomissão Técnica de Avaliação de PCDT da CONITEC e apresentada aos membros do Plenário da CONITEC, em 79ª Reunião Ordinária, seja imediatamente incorporado no rol de medicamentos fornecidos pelo SUS (Relação Nacional de Medicamentos Essenciais - RENAME) para o tratamento dos pacientes tão logo seja feito o diagnóstico MPS VI, o que reduzirá as co-morbidades associadas e gastos públicos delas decorrentes, redução do número de internações hospitalares, promovendo maior sobrevida, inserção acadêmica e no mercado de trabalho, bem como melhor qualidade de vida para os pacientes e seus familiares. Almejo também que o SUS venha prontamente oferecer aos pacientes com MPS VI todos os exames elencados no referido PCDT, pois isto contribuirá sobremaneira para a saúde dos pacientes. Sou médica graduada no ano de 1980 pela Faculdade de Medicina da Universidade Federal do Espírito Santo, inscrita no Conselho Regional de Medicina do Espírito Santo sob o número 2366. No período de 1981 a 1982, fiz Residência Médica em Pediatria no Hospital Infantil Nossa Senhora da Glória do então Instituto de Saúde Pública do Espírito Santo e Residência Médica em Medicina Geral e Comunitária pela Universidade Federal do Espírito Santo no período de 1983 a 1984. Aprovada no concurso do então Instituto Nacional de Assistência Médica e Previdência Social (INAMPS) futuramente incorporado ao Ministério</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
			<p>da Saúde, exerci o cargo de pediatra no período de 1984 a 1988. No ano de 1999, fui cedida pelo gestor municipal de Caratinga – MG ao Instituto Fernandes Figueira da Fundação Oswaldo Cruz – IFF/FIOCRUZ – RJ–RJ onde me especializei em Genética Médica. Tenho Título de Especialista em Genética Médica junto à Sociedade Brasileira de Genética Médica e Associação Médica Brasileira, registrado no Conselho Regional de Medicina do Espírito Santo. Também sou Mestre em Medicina pelo Programa de Pós-Graduação em Ciências Médicas da Faculdade de Ciências Médicas da Universidade do Estado do Rio de Janeiro, cuja dissertação versou em uma malformação do Sistema Nervoso Central (esquizencefalia). Aprovada em primeiro lugar para o cargo de Médica Geneticista do Hospital Universitário Cassiano Antonio Moraes da Universidade Federal do Espírito Santo (HUCAM/UFES) no concurso da Empresa Brasileira de Recursos Hospitalares (EBSERH) no dia 25/04/2014 e convocada em 01/10/2015, solicitei a aposentadoria no Ministério de Saúde. Desta forma, exerço atividades como médica geneticista no HUCAM/UFES/EBSERH. Tais informações podem ser confirmadas no site Plataforma Lattes do CNPq (http://lattes.cnpq.br/6438981250094401).E tendo em vista o juramento de Hipócrates que fiz por ocasião da minha coleção de grau em dezembro de 1980, jamais indicarei a interrupção do tratamento a nenhum(a) paciente em TRE, exceto se assim o desejarem os pacientes e/ou seus familiares.</p>		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
25/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	<p>Sim, Sou totalmente contra a limitação da TRE para pacientes não deambulantes. Novamente comete-se falas ao analisar os estudos clínicos discordantes da realidade clínica. A MPS VI é uma rara condição genética em que a displasia óssea é um dos maiores limitantes. Sabe-se que não há um número vultoso de estudos clínicos que avaliam o efeito em pacientes com displasia óssea. Os estudos avaliam capacidade vital e o teste de caminhada visa avaliar capacidade respiratória, sem considerar a DISPLASIA DE QUADRIL, QUE PODE LIMITAR OS DADOS REAIS DO TESTE. 85% DOS PACIENTES TEM DIPLASIA DE QUADRIL OU MESMO DISPLASIA DE COLUNA. PORTANTO NÃO CONSEGUEM EXECUTAR TESTES FÍSICOS. COMO LIMITAR O TRATAMENTO PARA ESTES CASOS? E OS BENEFÍCIOS NA FUÇÃO PULMONAR? CARDÍACA (HIPERTROFIA E HIPERTENSÃO PULMONAR)? Os estudos de sobrevida não limitaram o tratamento para formas não deambulantes! há estudos consistentes de desfecho duro - ou seja - a TRE evita óbito! Ressalto também que a restrição de indicação de TRE com a galsulfase, baseada em idade ou mobilidade, de forma a replicar os critérios utilizados no Ensaio Clínico Randomizado (ECR) por Harmatz et al (2006), o qual considera critérios de inclusão e exclusão para melhor delinear os desfechos primários e secundários, resulta em limitação injustificável da população a ser beneficiada pela terapia medicamentosa. Tais restrições apresentam clara dissonância frente a: 1. Às evidências científicas publicadas e sintetizadas acima, que compõem um conjunto que respalda a segurança, a eficácia e a efetividade da galsulfase em diferentes faixas etárias, com benefícios que vão além do ganho mensurado por meio dos testes de endurance (resistência) reportado no ECR fase 3;</p>	<p>Com base nos resultados dessa análise em resposta a essa proposta de PCDT, sugere-se reavaliação de critérios de inclusão e de tempo de tratamento com a alfaelossulfase. Tal medicação é a única opção terapêutica para o tratamento de MPS IVA aprovada pela ANVISA, que vem apresentando benefícios a longo prazo em endurance e em qualidade de vida. O início precoce do tratamento específico demonstra melhores resultados. Visto isso e dada a situação de consulta pública da alfaelossulfase, faz-se necessária ampliação de critérios de inclusão sem restrição por idade ou mobilidade, visto que a terapia de reposição enzimática a longo prazo leva a impacto positivo em diversos parâmetros clínicos e na qualidade de vida. E que em outros países com sistemas de saúde eminentemente públicos, não há restrição de idade ou mobilidade para a indicação aprovada de alfaelossulfase – caso da Inglaterra, Canadá e</p>	
25/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	<p>Sim, Acho que a idade de inclusão deve abranger até 8 ou 10 anos, pois muitas crianças recebem um diagnóstico de tardio.</p>	Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
26/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, INACEITÁVEL QUE O MINISTÉRIO QUE DEVE SE PREOCUPAR COM A SAÚDE DA POPULAÇÃO, TOME A INICIATIVA EUGÊNICA DE CONDENAR OS PACIENTES CADEIRANTES A NÃO TEREM ACESSO AO MEDICAMENTO.	ENTENDI QUE ALEM DO PCDT NÃO PERMITIR ACESSO AOS CADEIRANTES, INVIABILIZARÁ O ACESSO A 50% DAQUELES QUE TEM ESTA DOENÇA, PELO CRITERIO DO TESTE DE CAMINHADA (40 METROS). SERIA UMA MANEIRA MAQUIAVELICA DE REDUZIR O CUSTO ESTADO EM 50%?	
26/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Sim, A restrição da Terapia de reposição Enzimática para pacientes acima de 6 anos e deambulando. Pacientes maiores de 6 anos (deambulando ou não) necessitam da TRE. Acompanhamento de pacientes com MPS VI em idades variadas e posso confirmar que todos necessitam da TRE.	A restrição da TRE para pacientes acima de 6 anos e deambulando, já comentadas.	
26/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Sim, o tratamento foi liberado apenas para pacientes abaixo de 6 anos de idade. Para pacientes com idade superior, foi liberado apenas para pacientes capazes de caminhar ao menos 5 metros nos primeiros 6 minutos no teste de caminhada de 12 minutos	Estes pareceres restritivos que podem excluir um terço de toda a população de pacientes com MPS VI e IV A. Os estudos clínicos realizados e a experiência clínica mostram efeitos positivos muito além dos aferidos pelos testes de caminhada. Dado o caráter multissistêmico destas enfermidades, os benefícios sobre as funções cardíaca, pulmonar, osteomuscular e de qualidade de vida, incluindo dor e atividades do dia-a-dia, devem ser considerados nesta avaliação	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
26/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Que se retire os critérios de exclusão. Todos os pacientes precisam receber os tratamentos pois é o que nos mantém VIVOS independente se caminhamos ou não e a idade que temos. O valor ou a capacidade de alguém não pode ser resumida ao fato de ela não poder se locomover.	Sou contra os critérios de EXCLUSÃO que são inconstitucionais, desumanos e não tem embasamento científico. Os relatórios se baseiam nos métodos utilizados pelo laboratório durante o estudo clinico ao analisar os pacientes participantes de pesquisa. Todos os paciente que realizavam o estudo andavam, e eram maiores de 5 anos.Sou portador de MPS IVA e fui participante de pesquisa na fase 3 do vimizim. Obtive inúmeras melhoras: física, motora, órgãos como baço e fígado desincharam... Mas no que melhor a medicação atuou foi no sistema imunológico, sem a enzima a imunidade do paciente cai.Estima-se que 40 a 50% dos pacientes de MPS IVA e VI não andam, muitas vezes as melhoras no paciente não são visíveis, mas só o fato de estar vivo, mostra que a medicação funciona e é eficaz. Pois sem ela qualquer gripe provoca uma infecção respiratória e o paciente não resiste.Dói muito presenciar um amigo que sofre com a doença ser PUNIDO pelo falta de medicação e muitas vezes não o encontrar mais por que ele foi MAIS UMA VÍTIMA do não cumprimento do art 5º (Art. 5º Todos são iguais perante a lei, sem distinção de qualquer natureza, garantindo-se aos brasileiros e aos estrangeiros residentes no País a inviolabilidade do direito à vida, à liberdade, à igualdade, à segurança e à propriedade) e Art. 196.(A saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação.) da CF de 88.	Clique aqui

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
26/08/2019	Grupos/associação/organização de pacientes	Muito ruim	Sim, Essa proposta prejudicará todos os pacientes/usuários que são assistidos em nosso Estado.	Friso a dificuldade que já encontramos no dia a dia dessas crianças e adolescentes fazerem uso dos medicamentos de alto custo e essa proposta prejudicará todo desenvolvimento das mesma. Mas uma vez seria seleção de pacientes, selecionar e excluir uma parcela de usuários/as do serviço que não podem pagar por uma atitude tão cruel que foi tomada.	
26/08/2019	Grupos/associação/organização de pacientes	Muito ruim	Sim, Essa proposta prejudicará todos os pacientes/usuários que são assistidos em nosso Estado.	Se faz necessário que todas as pessoas com mucopolissacaridose façam uso de um tratamento com qualidade, sem restrição e exclusão de nenhum paciente.	
26/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não	
26/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	As alterações prejudicará pessoas que necessitam do tratamento.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
26/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Poupem a centenas de vidas e excluam os critérios de exclusão que se forem aprovados MATARÁ pessoas e famílias.	<p>Sou paciente de MUCOPOLISSACARIDOSE IVA. Eu tinha entre um ano e meio e 2 anos de idade quando minha família, depois de muita luta, conseguiu o diagnóstico. Os médicos afirmavam que minha expectativa de vida seria em torno de 10 anos pois não havia nenhum tratamento, medicação ou muito menos a cura. Hoje, a CURA já está no horizonte com as pesquisas de TERAPIA GÊNICA. Estou com 22 anos. Faço uso da medicação vimizin para MPS IVA, meu tipo, por Terapia de Reposição Enzimática semanal, fornecida pela Governo Federal. É esta medicação que me mantém vivo, com qualidade de vida e que me dá disposição para viver e lutar. Ressalto que desde sempre, minha mobilidade foi reduzida. Essa medicação impede ou diminui bastante a progressão da doença, que é de depósito e vai degenerando órgãos, funções e sentidos. Conforme previsto pelos médicos tive perda considerável da visão, da audição, função respiratória até os 14 anos de idade, quando em 2011 pude contribuir para trazer a pesquisa do Vimizin para o Brasil. Me enquadrei nos critérios e passei a ser participante da pesquisa e receber a medicação. Então, os médicos que disseram aos meus pais que dificilmente eu ultrapassaria 12 anos de idade e morreria provavelmente por uma infecção respiratória, traqueostomizado, cego pela opacificação da córnea, surdo, e sem mobilidade nenhuma e etc ... Começaram a ser desmentidos pela força da ENZIMA que recebo semanalmente. Da mesma forma ocorre com outras dezenas de pacientes com MPS IVA e VI. Talvez eu consiga fazer os 40 metros, como o que está colocado como critério de EXCLUSÃO para o fornecimento ou não da medicação, pela CONITEC na</p>	Clique aqui

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
				<p>CONSULTA PÚBLICA. Mas afirmo e deixo registrado que JAMAIS tentarei fazer os 40 metros, pois sei que boa parte dos pacientes (40 a 50%) não conseguirão fazer nem a metade. Então vocês da CONITEC terão que nos dar o ATESTADO DE ÓBITO em vida para todos nós JUNTOS que dependemos dessa medicação que nos mantém vivos!!! Esses critérios são ridículos, são absurdos, ilegais e além de inconstitucional, são desumanos! Não somos menores nem maiores, melhores ou piores porque não temos ou perdemos mobilidade. Somos humanos como qualquer outra pessoa! Temos sonhos, famílias, amigos, trabalhamos, estudamos... Somos pais e filhos! E nós só queremos viver! A medicação nos é eficaz e é o que nos mantém VIVOS e ÚTEIS independente do critério de quantos passos conseguimos dar !!! A prova cabal da eficácia dessas medicações já tivemos de fato, quando na gestão do então Ministro da Saúde Ricardo Barros dezenas de pacientes faleceram pela interrupção das medicações. Prestem atenção nestes nomes e o que representam: Pergunto, se o GENERAL Villas Bôas, a SENADORA Mara Gabrilli e o FÍSICO Stephen Hawking, também tivessem o diagnóstico de MUCOPOLISSACARIDOSE, pela ótica desumana das pessoas que estabeleceram esses critérios, seriam consideradas INÚTEIS e poderiam também morrer antes do tempo simplesmente por não terem mobilidade!? Deixo minha revolta e meu repúdio pelo simples fato dessa consulta pública ter sido colocada nesses termos, e se essa ótica vesga vencer, o BRASIL estará promovendo um GENOCÍDIO EUGÊNICO.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
26/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	<p>Sim, Há mais de 10 anos acompanho pacientes MPSVI em TRE e durante esse tempo sempre enfatizei a importância do comparecimento semanal ao hospital para receber as infusões, pois eles tinham uma doença progressiva e fatal, sem o tratamento. Agora me deparo com um PCDT que ignora a fisiopatologia da doença e restringe o tratamento às crianças de 0-6 anos ou se em idade superior, que tenha uma boa capacidade de deambular. Considero essas restrições ao tratamento TRE absurdas, considerando que:1- Mucopolissacaridose tipo VI sendo uma doença rara, e como tal, o diagnóstico é em geral tardio, quando o paciente provavelmente já terá limitações na deambulação.2-É sabido que a progressão das MPSS não afeta da mesma forma todos os órgãos e sistemas. Não ter a deambulação mínima preconizada no PCDT não significa que não haverá significativa melhora na mobilidade articular, na resistência, na qualidade respiratória e na qualidade de vida e é isto que vemos no acompanhamento semanal desses pacientes</p>	<p>O TCTH como tratamento para MPSVI não tem respaldo científico sólido como pode ser atestado na exígua experiência constante nas referências do PCDT. Além disso, é expor um paciente a um tratamento de elevada mortalidade, de acordo com a experiência mundial com MPS I (25%)</p>	
26/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	<p>Sim, Nenhuma restrição para os pacientes com doenças raras.</p>	<p>Sou Gerente na secretaria de trânsito na minha cidade e tenho um amigo no trabalho onde desempenha um função muito importante no meu setor e ele tem mucopolissacaridose, depende de medicamentos para ter uma vida melhor e vejo claramente os sintomas aparecendo quando ele não está tomando o medicamento, vejo que ele fica bem ofegante, sentindo dores em varias partes do corpo, entre outros sintomas. Ele é uma menino admirável por todos os colegas de trabalho, por ser determinado, desempenha suas funções de forma exemplar como uma pessoa normal. Ele só tá pedindo pra viver! É desumano colocar restrições, conheçam de perto a vida destes pacientes que vocês vão ter outra visão. A vida do meu amigo Patrick e de tantos outros que precisam do medicamento, não tem preço.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
26/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Os pacientes não deambulantes acima de 7 anos devem ser contemplados pelo protocolo para uso de TRE uma vez que o tratamento destina-se ao acometimento multissistêmico da doença e este grupo de pacientes não pode ser privado dos benefícios do tratamento específico.	Importante parcela dos pacientes encontra-se com deambulação prejudicada e estariam à margem deste protocolo no que se refere a tratamento medicamentoso específico.	
26/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Alteraria os critérios de inclusão e exclusão, por se tratar de uma doença genética e que não tem cura, todo paciente no decorrer da sua vida terá no futuro diminuição de sua mobilidade, porém, apesar das suas limitações ele é ainda apto para viver, sendo assim discordo totalmente desse PCDT, e concederia a medicação para todos os pacientes com MPS VI, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada paciente.	Surgiu que seja concedido a medicação para todos os pacientes com MPS VI, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada paciente	
26/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Sem nenhuma restrição para os pacientes.	Tenho um amigo chamado Patrícia que possui mucopolissacaridose tipo IV, no entanto, mesmo apresentando algumas limitações, ele se mostra sempre ativo. Participa de trabalhos em prol da sua causa e é estudante de direito. Vejo que o tratamento medicamentoso é extremamente importante para ele, tendo em vista que melhora sua qualidade de vida.	
26/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Alteraria os critérios de inclusão e exclusão, por se tratar de uma doença genética e que não tem cura, todo paciente no decorrer da sua vida terá no futuro diminuição de sua mobilidade, porém, apesar das suas limitações ele é ainda apto para viver, sendo assim discordo totalmente desse PCDT, e concederia a medicação para todos os pacientes com MPS VI, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada paciente.	Alteraria os critérios de inclusão e exclusão, por se tratar de uma doença genética e que não tem cura, todo paciente no decorrer da sua vida terá no futuro diminuição de sua mobilidade, porém, apesar das suas limitações ele é ainda apto para viver, sendo assim discordo totalmente desse PCDT, e concederia a medicação para todos os pacientes com MPS VI, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada paciente.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?	Referência
26/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Alteraria os critérios de inclusão e exclusão, por se tratar de uma doença genética e que não tem cura, todo paciente no decorrer da sua vida terá no futuro diminuição de sua mobilidade, porém, apesar das suas limitações ele é ainda apto para viver, sendo assim discordo totalmente desse PCDT, e concederia a medicação para todos os pacientes com MPS VI, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada paciente.	Surgiu que seja concedido a medicação para todos os pacientes com MPS VI, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada paciente	
