

## Contribuições da Consulta Pública - PCDT- Mucopolissacaridose Tipo IV A (Morquio A) - 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	Paciente	Muito boa	Não		
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Que o protocolo não faça tantas restrições para o tratamento é tipo ou quadro de MPS.		
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Sim, Gostaria de retirar do texto a obrigatoriedade de deambulação do paciente para ter acesso a medicação visto que por ser multisistêmica e atingir diversos órgãos do paciente, o caminhar, não serve como critério de exclusão mas apenas de acompanhamento pois a medicação atua em vários órgãos protegendo-os do avanço da enfermidade enquanto que o "não-caminhar" pode derivar tão somente dos problemas ósseos inerentes a doença.	Manifesto preocupação quanto ao acompanhamento dos pacientes semestralmente/anualmente pois muitos são pobres na forma da lei e têm dificuldades de chegar aos centros de tratamento de referência e ter acesso a miríade de médicos ou exames propostos. Cabe saber se haverá descentralização e onde cada paciente terá que fazer o tratamento ou realizar as consultas e exames exigidos.	
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Sem duvida de que os pacientes tem se beneficiado muito com o tratamento. Basta acompanhar eles e vera a diferença na qualidade de vida	Tente conversar com os pacientes e ouvir relatos deles dizendo o quanto se sente bem uma vez tratando	
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
30/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
31/07/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Todos pacientes independente da idade necessitam do tratamento para ter qualidade de vida.		
31/07/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
31/07/2019	Profissional de saúde	Regular	Não	A presente PCDT não se refere à Hidradenite Supurativa.	

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	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 ruim	Sim, Gostaria que fosse avaliada a melhora na qualidade de vida dos portadores de MPS tipos IV e VI ao fazerem uso da medicação fora dos parâmetros determinados pelo comitê. Ao excluir pacientes de faixas etárias superiores a 5 e 6 anos respectivamente nega-se a essas pessoas o direito a saúde. Nós profissionais que atuamos na ponta, nós centros de infusões vemos o quanto benéfico é para os pacientes os reposição enzimática, o quanto desacelera o progresso da MPS.		
31/07/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
31/07/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Não deveria haver restrições para qual idade será distribuídas as medicações.	
31/07/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Não	
01/08/2019	Paciente	Muito boa	Não	As medicações pouco chega ao paciente , sempre falta	
01/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Não haver restrição de idade para a manutenção do tratamento		
01/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	acho uma proposta irracional.	
01/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Gostaria que fosse avaliada a melhora na qualidade de vida dos portadores de MPS tipos IV e VI ao fazerem uso da medicação fora dos parâmetros determinados pelo comite. A partir do momento que se exclui pacientes de faixas etarias superiores a 5 e 6 anos respectivamente nega-se a essas pessoas o direito a saude. Nós, enquanto profissionais de saude que atuamos na ponta, nos centros de infuões, vemos o quanto benéfico é para os pacientes a reposição enzimatica, o quanto desacelera o progresso da MPS.	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
01/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
01/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	acho uma proposta irracional.	
01/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Que o tratamento fosse disponível para todos	Maior divulgação e INFORMAÇÃO sobre a doença	
01/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
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		
01/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	Sim, O tratamento deve ser oferecido para todas as idades, sem distinção.	As mucopolissacaridoses são doenças progressivas, que devem ser tratadas o quanto antes, para evitar progressão da doença.	
01/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
01/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, As restrições do teste de caminhada são um absurdo! Fere os direitos humanos que é do direito a vida! É um absurdo um teste sentenciar a morte de alguém! O MUNDO PRECISA DE MAIS EMPATIA E AMOR AO PRÓXIMO!		
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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		
02/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, No que tange os Critérios de Exclusão de TRE (5.2.2.1) critério b.Considerando que pacientes com MPS tipo IVA apresentam sobretudo acometimento esquelético, a exclusão de pacientes não ambulantes e incapazes de percorrer pelo menos 40 metros no teste da caminhada de 6 minutos inviabiliza a promoção de saúde e qualidade de vida nesses pacientes através da terapia de reposição enzimática. Além disso o acometimento extraesquelético também fica comprometido sem introdução da medicação, pois trata-se de doença multissistêmica e muitas vezes subdiagnosticada.	Para além dos comentários sobre as Diretrizes Terapêuticas, considero irrelevante, sobretudo tratando-se de protocolos técnico-científicos o preenchimento das seguintes informações nesse formulário: Sexo, etnia, identidade de gênero e orientação sexual.	
02/08/2019		Muito ruim			
02/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		
02/08/2019	Paciente	Muito boa	Não	Não precisa	
02/08/2019	Paciente	Muito boa	Não	Não precisa	
02/08/2019	Paciente	Muito boa	Não	Nao precisa	

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
03/08/2019		Muito ruim			
04/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
04/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
04/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	Não	Deixa de abranger crianças com idade menor ao estipulado nesse protocolo	
04/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	Não	Deixa de abranger crianças com idade menor ao estipulado nesse protocolo	
04/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
05/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, O tratamento deve ser estendido a todos os pacientes, independente a idade ou condição física no que diz respeito a deambulação, já que sabemos que o que mais prejudica o paciente é a parte cardiorrespiratória e não o fato de cadinhar.		
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 os pacientes de todas idades e os que nao deambulam possam ser beneficiados com tratamento medicamentoso.Pois tenho paciente que tinha 32 anos depois do uso da medicacao achou ate que estava curado apos alguns meses de tratamento medicamentoso.		
05/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não		
05/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Critérios de exclusão para o tratamento fornecido pelo governo. Absurdo!	

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
05/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Os critérios de exclusão para q o paciente tenha direito a medicação é absurdo!	
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
06/08/2019		Muito ruim			
06/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não		
06/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	os critérios de exclusão são injustos com os pacientes que não se enquadram no que é preconizado	
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
06/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	Os critérios de inclusão são injustos para os pacientes que têm a doença e não de inserem na proposta.	
06/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	A INCORPORAÇÃO É DE FUNDAMENTAL IMPORTÂNCIA PARA O TRATAMENTO DO PACIENTE , PORQUE GARANTE A CONTINUIDADE E EFICIÊNCIA DO TRATAMENTO .	
06/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	A INCORPORAÇÃO GARANTE O TRATAMENTO DOS PACIENTE DE FORMA INTEGRAL.	
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não		
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito 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 COM GALSUFALSE TRÁS MELHORIA SIGNIFICATIVA AOS PACIENTES PORTADORES DE MPS IV	
06/08/2019	Profissional de saúde	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	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 aos que não percorram pelo menos 40 metros noteste da caminhada de 6 minutos, ao considerar os benefícios e qualidade de vida destes pacientes.		
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, gostaria de alterar os critérios de inclusão de TRE: importante incluir pacientes que não deambulam pois, estes pacientes podem ser muitos beneficiados com o tratamento principal relacionados a melhora cardio respiratório e ter uma condição de vida com mais qualidade.	SOU ENFERMEIRO ACOMPANHO 02 PACIENTES (IRMÃS) QUE FAZIAM TRATAMENTO DA MUCOPOLISSACCARIDOSE TIPO IV (SÍNDROME DE MÓRQUIO A) NA QUAL HOVE INTERRUPÇÃO DO TRATAMENTO DEVIDO A FALTA DO MEDICAMENTO VIMIZIM (ALFAELOSULFASE). DURANTE O TRATAMENTO FOI PERCEBIDO MELHORAS SIGNIFICATIVAS NA QUALIDADE DE VIDA E NA CONDIÇÃO DA SAÚDE CARDIOVASCULAR, COM MELHORAS DA ALTO ESTIMA DE CADA UMA, ENFIM, A CONTINUAÇÃO DO TRATAMENTO SERIA IMPRESCINDÍVEL PARA A SOBREVIDA DESTAS PACIENTES.	
06/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	os critérios de exclusão só beneficiam um grupo de pacientes, os demais que não se encaixam na proposta, serão prejudicados	
06/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Péssima Proposta!	

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, 5.2.1 TRANSPLANTE DE CÉLULAS-TRONCO HEMATOPOIÉTICAS (TCTH) - acrescentar especificações sobre indicações com melhor benefício, uma vez que pacientes acima de 2anos não apresentam melhora após.5.2.2.1 Critérios de Inclusão para TREAs 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.		<a href="#">Clique aqui</a>
06/08/2019		Muito ruim			
07/08/2019	Instituição de saúde	Muito ruim		OS PACIENTES CADEIRANTES OU COM LOCOMOÇÃO ASSISTIDA NÃO PODEM SER PRIVADOS DE USUFRUIR DE RECURSOS QUE LHE TRARÃO BENEFÍCIOS NA QUALIDADE DE VIDA. AS ENZIMAS NÃO MELHORAM SÓ A PARTE DO LOCOMOÇÃO.	
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	Grupos/associação/organização de pacientes	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	Grupos/associação/organização de pacientes	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	Sou pos doutorando na área de MPS e sei do real impacto das medicações. Não existe justificativa plausível na literatura para direcionar 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
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	Boa	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, Minha sugestão é que a TRE seja mantida para os não deambulantes que estão em TRE com outros benefícios já estabelecidos (melhora das dores articulares relatadas pelos pacientes).	Não.	
07/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Sou pediatra prescritora desses medicamentos e não concordo com esse tipo de limitação de idade. Tratamos em nosso setor um alto número 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	Manter terapia para todos.	
07/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não	
07/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não parar o tratamento	
07/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não	
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.	

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	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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Nós como Mãe de Paciente, 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	
07/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Nao	
07/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Essa medicação é muito importante para os pacientes que precisam dela ( da medicação)	
07/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Como amiga de paciente, vejo o progresso e quando falta medicamento o paciente adocece	A vida 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 numero de internações aumenta.	A minha vida não tem preço ,tenho sonhos projetos e desejo realizar eu sou importante sim pra meus familiares e amigos,todos tem necessidade desse medicamentos os que andam os que não andam crianças e adultos.	
07/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Como pai 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.	A vida do meu filho não tem preço e esse critério de exclusão não condiz com a realidade de vários pacientes hoje no Brasil.	

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	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 atraves 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 convivencia sei a necessidade que essa medicação se faz necessario nas vidas das pessoas com Mucopolissacaridose	
07/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, O texto exclui quatro dados extremamente importantes: 1) Os indivíduos com MPS4A raramente apresentam comprometimento neurocognitivo; 2) A idade média de diagnóstico dos MPS4A é 4,9 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 cardiorrespiratório.	A iniciativa da inclusão da TRE para MPS4A 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 MPS4A 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.	
07/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Muito ruim, pois não atende as necessidades de todos os portadores da muco.	
07/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Que esse tratamento seja de benefícios pra todo ser humano que é dinosticada com essa patologia.	Não vejo o porquê restringe o tratamento só pra algumas pessoas .	<a href="#">Clique aqui</a>

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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Muito ruim	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não.	
08/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não	reforçar o impacto positivo da TRE e coadjuvantes na diminuição de morbidades e ganhos funcionais que melhoram a qualidade de vida dos pacientes	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Não	Proposta muito ruim.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Atender a todos os pacientes com diagnóstico da patologia.	Deixando de fora os pacientes que não conseguem andar força a continuidade da judiciação da compra do medicamento que encarece bastante 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.	Sou o médico que acompanha vários pacientes de MPS, e inclusive gostaria de relatar o caso que presenciei no meu serviço: tive uma paciente que teve um diagnóstico tardio já com idade de 31 anos e a mesma apresentava vários comprometimentos da doença, inclusive perda da força muscular e capacidade de caminhar. Após 6 meses de tratamento com o VIMIZIM a mesma apresentou muita melhora de todas as funções, conseguindo inclusive, se manter de pé e dar alguns passos sem apoio.	
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 passa por problemas assim,eles tem direito de viver igual todos nois... SOMOS TODOS RAROS....	SEM COMENTÁRIOS...	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
08/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	No momento nao	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Todos tem direito a vida. A reposição enzimática é muito importante para todos os pacientes portadores de MPS IVA. Qualquer idade e condição física necessita do tratamento para garantir qualidade de vida.	
08/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Deveria haver sistema que permitisse profissionais saberem sobre a status de liberação dos medicamentos pra os pacientes.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO INDEPENDENTE DE IDADE OU CONDIÇÃO FÍSICA.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	O TRATAMENTO É MUITO IMPORTANTE PARA GARANTIR QUALIDADE DE VIDA A TODOS OS PACIENTES.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO DEVE HAVER RESTRIÇÕES QUANTO A IDADE E CONDIÇÃO FÍSICA.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO DEVEMOS RESTRINGIR OS PACIENTES COM CONDIÇÃO FÍSICA COMPROMETIDA E NEM COM IDADE AVANÇADA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS OS PACIENTES 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
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
08/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	A proposta é excludente, baseada em dados superficiais e deixa de fora uma grande quantidade de pacientes que se beneficiariam com o tratamento	
08/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Como enfermeira atuante junto a terapia de reposição enzimática em centro de referência em infusão com pacientes de mucopolissacaridose tipo IV A, vemos uma significativa melhora na qualidade de vida desses pacientes. desde criança até a fase adulta, visto que, temos pacientes adultos com boa adesão à terapia e que dificilmente intercorrem e necessitam de internamentos por fazerem uso regularmente da enzima.	Não	
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.	No nosso hospital presenciamos 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.	
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	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 em tratamento de mps tipo VI e tenho vários amigos tipo IV que apresenta varias melhoras atraves da 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
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, Que o tratamento seja disponibilizado para todos os pacientes de qualquer idade.	O tratamento medicamentoso trás melhorias significativas na vida dos pacientes.	
08/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, A terapia promove uma melhor qualidade de vida para os pacientes que tem MPS IV A independente da idade, pois todos se beneficiam a nível de saúde.	não	
08/08/2019	Profissional de saúde	Regular	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 6 minutos como medida de avaliação para inclusão ou descontinuidade da TRE. Um paciente maior de 5anos 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.O fato de excluir os que não forem "aprovados" no Teste de Caminhada e os que não mais deambulam 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.Minha experiência em acompanhar o tratamento de vários pacientes com mucopolissacaridose tem sido muito gratificante e tenho podido observar não só as melhoras físicas, mas como também o aumento da auto-estima, confiança em si mesmo e maior equilíbrio psíquico.	
08/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Saúde é um direito de todos, então esses medicamentos tem que ser liberado srn muita burocracia.	Com esses medicamentos a chance de vida é maior.	

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, Essa ideia é muito ruim porque depois que minha filha começou usar essa medicação ela teve uma melhora muito grande e precisa continuar para ter maior expectativa de vida.	Não	
09/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Sim, Que todos os pacientes independentes do grau da doença sejam beneficiados com a medicação	Que todos os portadores da doença recebam a enzima independentem te grau da doenca	
09/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Proposta boa, porém há a necessidade de liberação da medicação para todas as idades e para os pacientes que também possuem restrição de movimentos / deambulação.	Nao	
09/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Sim, Proposta favorável até 5 anos, entretanto pacientes que não deambular também se beneficiariam ao tratamento enzimatico, desta forma acredito que todas as faixas etárias se beneficiariam do tratamento enzimatico.	Nao	
09/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Não	Nao	
09/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Gostaria que nunca faltasse a medição da minha filha.	
09/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	Sim, A DOENÇA EM QUESTÃO APRESENTA COMPLICAÇÕES CARDIACAS VALVARES, E RESPIRATORIAS QUE IMPACTAM NA QUALIDADE DE VIDA DO PACIENTE. E O ACUMULO DA GAGS PODE CAUSAR OBSTRUÇÃO DAS VIAS AEREASEVOLUINDO PARA SINDROME DA APNEIA OBSTRUTIVA DO SONO, COM CONSEQUENCIAS DAS ATIVIDADES DIARIAS, E INTERNAÇÕES POR INFECCÕES. E COMO O PROPRIO TEXTO RELATA AS ALTERAÇÕES PULMONARES E COMPRESSÃO MEDULAR SÃO AS PRINCIPAIS CAUSAS DE MORBIDADE E MORTALIDADE, NÃO PODEMOS EXCLUIR DO TRATAMENTO OS PACIENTES QUE NÃO DEAMBULAM, POIS PODEM SE BENEFICIAR DA TRE.	COM RELAÇÃO AOS CRITERIOS DE INTERRUPTÃO DO TRATAMENTO, O PERIODO DE 6MESES DE OBSERVAÇÃO É CURTO, PARA RESPOSTA A TRE, LEMBRANDO DA HISORIA NATURAL DA DOENÇA, DEVEMOS TER PERIODOS MAIS LONGOS DE OBSERVAÇÃO.	<a href="#">Clique aqui</a>



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	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Acesso aos pacientes com mobilidade reduzida ou cadeirante.	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	Paciente	Muito ruim	Não	Esse medicamento é necessário para quem também não consegue andar.	
09/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito boa	Não	PACIENTE QUE JÁ ESTA EM USO NÃO DEVERIA TER SEU CRITERIO MODIFICADO.	<a href="#">Clique aqui</a>
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 IV	
09/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Não	pareceres restritivos que podem excluir um terço de toda a população de pacientes com MPS IV A.	
09/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Os benefícios da terapia de reposição enzimática para pacientes com MPS IVA 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 IVA vão muito além da caminhada, desta forma não seria ético nem justo 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. Os artigos e bula do tratamento não tem restrição para idade e mobilidade do paciente. Sou médica e acredito que cada caso precisa ser discutido e avaliado individualmente.	Não	
09/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	.....	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
09/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Não acho justo tirar o tratamento de uma criança de 5anos pq ela em 6 meses não consegue andar alguns metros, ppr tantos minutos. 6 meses são mesmo suficiente para tirar a esperança que aguardou 9 para nascer?	Acho que não se tira a esperança de uma criança e nem de uma mãe.	
09/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não	
10/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
10/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
10/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Sim, A idade para inclusão do Paciente com Morquio 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.	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.Tratar, é um direito de todos.	Sou cuidadora de pessoa acometida pela Mucopolissacaridose tem quase 31 anos. Nesta jornada, acolhi muitas famílias e pessoas acometidas por todas as mucopolissacaridoses, acompanhando seus sofrimentos, angustias tristezas e conquistas, que dentre elas, foi o tratamento com Alfaelosulfase ou VIMIZIM™.Fiquei muito surpresa ao ler o relatório de incorporação para PCDT para o tratamento da Mucopolissacaridose do Tipo IVA, pois sua única opção terapêutica - trouxe um critério cruel para não inclusão (cadeirantes) e exclusão (pessoas que estejam em tratamento e parem de andar). Para estas pessoas, estes critérios poderá determinar não só a progressão da doença, como também pode trazer-lhes a sentença de morte. Peço então, que de modo justo, este tratamento 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 acarretados, trazendo a estabilização e controle 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.	

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.Tratar, é um direito de todos.	<p>Como uma ENTIDADE CUIDADORA de pessoas acometidas por doenças raras, venho enfatizar o benefício deste tratamento - Alfaelosulfase ou VIMIZIM™ - para as pessoas acometidas pela Mucopolissacaridose do Tipo IVA. 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 todos 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, conseguiram retomar parte da sua mobilidade, antes totalmente prejudicada.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 IVA, para p tratamento com Alfaelosulfase ou VIMIZIM™. - 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 excelente efeito para controle da doença 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>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. <b>RESSALTO</b> também que para alguns, andar pode ser primordial numa existência, mas para estas pessoas, tão penalizadas por esta condição genética e rara, <b>VIVER e VIVER</b> 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>	
10/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Regular	<p>Sim, Pagina 8 - Item 4 - critérios de inclusão. Recomendo 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 diagnóstico, em especial em casos familiares. Na prática 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 diagnóstico 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 diagnóstico. Pagina 9 – item 5.1 – o neurocirurgião é importante, contudo sugiro incluir OU cirurgião ortopédico especializado em coluna. Pagina 11 - Item 5.1.6 – atenção para coluna cervical, muito frequentemente acometida e não citada neste 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 periódicos / avaliações especializadas conforme recomendado. Nem sempre conseguimos cumprir tais recomendações por limitações no SUS.</p>	
10/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não é bom essa proposta	

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	Muito ruim	Sim, Essas restrições prejudica os pacientes já assistidos e aqueles que ainda podem ser diagnosticados. O tratamento tem que ser sem restrições.	O governo gasta o dinheiro público com tantas coisas irrelevantes como os inúmeros auxílios aos nossos governantes, e diante de um tratamento pra aqueles que podem morrer por causa da doença ainda colocam restrições para o tratamento? A vida é o que importa!	
10/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Acredito que a disponibilidade da medicação tem de ser universal aos pacientes com Diagnostico de Mucopolissacaridose, independente de idade, sexo, localização e grau de acometimento clinico. Outro ponto crítico da proposta é a idade de diagnostico. A MPS seja tipo VI, I, II ou IV, o diagnóstico é difícil, a informação é escassa e muitas vezes o diagnostico 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 continuo 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 referencia no tratamento da MPS, e mesmo que a "opinião de um especialista" possui um valor de evidencia 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
10/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Boa	Sim, Como médico especialista em doenças lisossômicas, venho tratando muitos pacientes com terapia de reposição enzimática com elosulfase alfa muitos pacientes que apresentam MPS IV A. Me preocupa o fato da recomendação excluir os pacientes com mais de 5 anos que apresentam limitações na ambulância, por duas situações: 1) alguns pacientes tem limitações para ambulância em função da dor, a qual é muitas vezes aliviada pelo medicamento, e vários pacientes passam a ter mais mobilidade com alguns meses de terapia de reposição enzimática; 2) alguns pacientes com MPS IVA que tem mais de 5 anos de idade estão hoje em terapia de reposição enzimática, e a interrupção desse tratamento muito provavelmente traria uma piora na sua função pulmonar e cardíaca, com alto risco de piora do quadro. Minha sugestão seria no sentido de que os pacientes não ambulatoriais maiores de 5 anos tivessem direito a um período de experimentação da medicação, e que os pacientes não ambulatoriais maiores de 5 anos que hoje estão em tratamento com TRE tivessem a oportunidade de manter a terapia atual.	Não	
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, portanto, mudo meu voto para não.	não	
11/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	todos tem direito ao medicamento,ninguem pediu pra nascer com algum tipo de deficiencia.direitos iguais pra todos,	
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 limitar idade para início de tratamento assim como pacientes capazes de deambular mínimas distâncias	Ver item acima	
11/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Sim, Diminuir as restrições ao uso da medicação ampliando a faixa etária e as condições físicas visto que na nossa experiência clínica vemos um benefício significativo destes pacientes com o uso da medicação	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
11/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Sim, Para pacientes que já fazem uso da enzima e tornam-se cadeirantes, se há benefício para o paciente, sugiro manter o tratamento.	Sim. Sobre o aconselhamento genético, gostaria de comentar que nos PCDTs geralmente ele é somente citado. Acho importante uma discussão sobre o que é o aconselhamento genético, quais as opções reprodutivas para a família, incluindo possibilidade de fertilização com diagnóstico pré-implantacional. Acho importante ainda discutir entre especialistas questões como custo e implantação no SUS de diagnóstico pré-implantacional para famílias com variantes patogênicas diagnosticadas para doenças graves.	
11/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Os pacientes que estejam em cadeira de rodas deveriam continuar recebendo o tratamento com terapia de reposição enzimática, pois há um melhor prognóstico do quadro respiratório, evitando uso do respirador ou CPAP e melhorando a qualidade de vida.	Não	<a href="#">Clique aqui</a>
11/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Regular	Sim, Sim, pois os pacientes que já fazem uso da medicação se beneficiam também com a parte ventilatória, com isto melhorando a qualidade de vida.	Não	<a href="#">Clique aqui</a>
11/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Regular	Sim, Sim, pois os pacientes que já fazem uso da medicação se beneficiam também com a parte ventilatória, com isto melhorando a qualidade de vida.	Não	<a href="#">Clique aqui</a>
11/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Sim, Não limitar idade para início de tratamento assim como pacientes capazes de deambular mínimas distâncias	Ver item acima	
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 hígdas, 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 IV A. 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	Sim, Manter terapia pois eles respondem bem ao tratamento	Não tem porque limitar o tratamento somente para alguns pacientes	
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, é lamentável a limitação de idade do pcdt, a falta de avaliação científica na conclusão e a falta de interesse na experiência brasileira sobre a terapia de pacientes com MPS através da terapia de reposição enzimática. Inclua no texto que o paciente pode realizar a terapia independente da idade não é necessário incluir bibliografia pois quem construiu o pcdt conhece a bibliografia e se não a usou com certeza foi de propósito e não por falta de competência	me sinto enganada pela conitec quando me apresentou a forma científica de fazer revisão de literatura para realizar um pcdt e agora faz escolhas para reger a terapia da população brasileira sem avaliar esses resultados impondo regras absurdas quando fala da inclusão de crianças e comenta sobre gestantes. o pcdt é uma tentativa de retirar a medicação de pacientes que estão sobrevivendo devido a terapia. como médica, meu objetivo não é a deambulação do paciente apenas e sim que esse paciente possa ter qualidade de vida e viver mais tempo sem as consequências da doença que levam a sua morte. esse pcdt parece um pesadelo. deve haver um erro de digitação quanto a idade e condição dos pacientes. precisamos ser profissionais mais sérios quando vamos lidar com a vida dos pacientes e esse pcdt não inviabiliza judicializações	
11/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Não concordo com a restrição da medicação para crianças menores de 5 anos. Acredito que a indicação deveria ficar a cargo do médico geneticista	Não	
11/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Exclusão da medicação para crianças abaixo de 5 anos com dificuldade de andar: trocar por incluir.	Não	
11/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Que o tratamento seja para crianças de qualquer idade.	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
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 deste PCDT, e concederia a medicação para todos os pacientes com MPS IVa, 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 IV a, 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 IVa, 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 IV a, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada paciente.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Incluir pacientes com dificuldade de andar e cadeirantes	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Sim, Não restringir a medicação para quem está em cadeira de rodas	Não	
12/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	nao	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Como paciente mim sinto melhor A respiração boa	Não	
12/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Importância do tratamento mucopolissacaridose IV VI	Importância de locomoção e acesso e garantir a inclusão dos cadeirantes e pacientes com necessidades. especiais	
12/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Paciente acima de 6 anos também se beneficiam com a terapia enzimática. Ocorre melhoria da qualidade de vida, mobilidade, respiração e sono.	Acompanho os pacientes com MPSIV A em tratamento e pude observar a melhoria dos aspectos que citei acima.	

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	Precisamos facilitar a vida de quem mais precisa.	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Sou contra a proposta pelo impacto negativo que pode causar nos pacientes. A enzima deve ser mantida nos cadeirantes pois sua suspensão implica em piora da performance cardíaca.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Nao. Somente agradecer a oportunidade de poder opinar.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO PODE RESTRINGIR O USO DA MEDICAÇÃO. MUITOS PACIENTES NECESSITAM DE CADEIRA DE RODA, ASSIM COMO NECESSITAM DA MEDICAÇÃO PARA TER QUALIDADE DE VIDA.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	NÃO	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	O TRATAMENTO É DIREITO DE TODOS.	
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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. 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
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não aprovo da forma como estão querendo fazer	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Péssima idéia, muito ruim...	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Negativo	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO DEVEMOS RESTRINGIR O USO DA MEDICAÇÃO. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Exclusão de pacientes com mobilidade reduzida	O tratamento deve ser ofertado para todos, sem discriminação de qualquer natureza	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Sim, Olha com Amor para saúde publica	Nao	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não.	
12/08/2019	Interessado no tema	Regular	Não	Não.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	VAMOS LUTAR POR ESSA CAUSA. NINGUÉM PODE FICAR SEM TRATAMENTO. TODOS TEM DIREITO A VIDA. NÃO PODEM FAZER RESTRIÇÃO.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim		Todos devem ter direito a medicação	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Aprovação já!!!	

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	Não.	
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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO PODEM RESTRINGIR O USO DA MEDICAÇÃO. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Acho 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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	VAMOS LUTAR PELA CAUSA. OS PACIENTES NÃO PODEM FICAR SEM 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	Profissional de saúde	Muito boa	Sim, Gostaria de comentar sobre as restrições com relação a deambulação e idade. Existe outros critérios de avaliação como qualidade de vida que nem foi citado, alteração de GAG urinário, exames oftalmológicos, exames de função pulmonar. etc.	Sim, com relação a transplante, pelo Novo Guia de tratamento esse tratamento não deve ser considerado por baixo nível de evidência.	<a href="#">Clique aqui</a>
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
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, sobre a indicação para transplante de células hematopoiéticas - ele não tem amparo técnico-científico suficiente para isso.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Princípios desumanos, esses pacientes precisam de medicações mensais e infusões caríssimas para manter suas vidas. Tenhamos olhar de compaixão de humanidade.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	NÃO	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO. 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
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NÃO PODEM RESTRINGIR O USO DA MEDICAÇÃO. O TRATAMENTO É IMPORTANTE TANTO PARA CADEIRANTES COMO PARA PACIENTES QUE CONSEGUEM SE LOCOMOVER.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Nao	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Deixem o médico decidir	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO. DIGA NÃO A RESTRIÇÃO DE IDADE E FORMA DE LOCOMOÇÃO.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO. NÃO PODEM FAZER RESTRIÇÃO QUANTO A IDADE E NEM A CONDIÇÃO FÍSICA.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
12/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, O critério de inclusão de maiores de 5 anos apenas que tenham condição de caminhar 40m não teste de caminhada deveria ser modificado, pois pacientes que não deambular também apresentam melhora clínica significativa com a terapia de reposição enzimática, como por exemplo da parte respiratória cujo comprometimento leva a diminuição importante da qualidade de vida.	A terapia de reposição enzimática trouxe muitos benefícios para pacientes com mucopolissacaridose, mesmo para aqueles que não mais deambulam. De fato estar numa carreira de rodas não é de todo limitante, porém não se trata apenas de andar e mas sim de melhora de comprometimento de via aérea superior, via aérea inferior.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	VAMOS LUTAR PELA CAUSA. DIGA NÃO A RESTRIÇÃO DE IDADE. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO. TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TEM QUE RESPEITAR O DIREITO DE TODOS. NÃO PODEM FAZER RESTRIÇÃO QUANTO A FORMA DE DISTRIBUIÇÃO DA MEDICAÇÃO. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO. TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	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
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Discordo totalmente do critério de inclusão onde se discrimina que só pacientes que tenham a capacidade de andar terão direito ao tratamento. Esse tratamento não melhora todas funções vitais dos pacientes, a visão, a audição, a respiração, ou seja se deixar essa critério, vai impedir que muitas pessoas tenham o direito de viver, tanto os se MPS IV, quanto os de MPS VI (sou portador de MPS VI) que também está sendo votado em consulta pública.	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	a proposta tem caráter de eugenismo, quando exclui do tratamento pessoa s 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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	DIGA NÃO A RESTRIÇÃO DO TRATAMENTO.	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Peço aos senhores e senhoras que constituíram essa formatação de promoção de saúde que verifique a qualidade para melhor atender as necessidades dos usuários desta.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Todos têm direito a medicação. Todos têm direito a uma qualidade de vida melhor.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
12/08/2019	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
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO.	
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	TODOS TEM DIREITO A VIDA. TODOS TEM DIREITO AO TRATAMENTO. NÃO PODEM RESTRINGIR A DISTRIBUIÇÃO DA MEDICAÇÃO, POIS O TRATAMENTO É DE SUMA IMPORTÂNCIA PARA A QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, gostaria que o nosso governo enxergasse essa causa com muito carinho, sensibilidade e justiça, pois creio que, todos merecem 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 tanto acreditamos!!!!	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Muito RUIM	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	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
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		TODOS TEM DIREITO A VIDA.
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		TODOS TEM DIREITO A VIDA.
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não		Não
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		TODOS TEM DIREITO A VIDA.
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Modificaria esses critérios de inclusão, que ao segregam e excluem pacientes que necessitam de tal auxílio.	As políticas públicas voltadas para a saúde deviam ser de maneira altamente inclusas para todas as pessoas, sem um fator de seleção que beneficie umas mais do que as outras.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim			Não
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não		Sim!!Gostaria que mudaria o critério de inclusão.
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não		Não
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Sim, NA MINHA OPINIÃO TODOS PRECISAM DA MEDICAÇÃO POR IGUAL		NAO
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não		Não.
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim			O projeto irá dificultar o acesso de PCD.

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 ruim	Não	Mudaria esse critério de inclusão	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não inclui cadeirantes e acamados	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Temos que levar em consideração todos os tipos pacientes com esse caso.	
12/08/2019	Interessado no tema	Regular	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Mudaria o critério de inclusão.	Não.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Pelo conhecimento que tenho em relação ao que a medicação é capaz de proporcionar aos pacts 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	Paciente	Muito ruim	Não	Só gostaria de dizer que sou contra essa decisão, pois existe muitos deficientes que precisam da cadeira de rodas, para se locomover é mais ainda da medicação, para ter uma vida mais "normal" e instável possível.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não deve restringir o acesso ao medicamento	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, o tratamento devê ser liberado para os outros portadores de mucopolissacaridose maiores de 5 anos independente se estão de cadeira de rodas ou se estão andando todos devem tem acesso ao tratamento!	A medicação fez uma diferença muito grande na vida deles, independente da idade melhorou muito na respiração, na visão entre outras coisas!	

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	Paciente	Muito ruim	Sim, Que vocês mudem a idade pois eu tomo o remédio a uns 7 anos e pra a mim fez muita diferença pois melhorou a minha respiração, o cansaço, a minha visão entre outras coisas, não me deixe sem o remédio por favor!	A medicação melhorou muito a minha saúde!	
12/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Boa	Sim, Deveria ser retirado o critério de exclusão, e a indicação do tratamento estar a cargo do especialista, tendo em vista os potenciais benefícios da terapia.	O mesmo deve ocorrer para nós vi	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	O governo precisa 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 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	Profissional de saúde	Regular	Sim, O tratamento deveria ser disponibilizado para quem tem a doença, independente de outros fatores . Se isto não ocorrer, varias pessoas em tratamento , terão seu acesso a medicação cessado .	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Que o tratamento atenda a todos os acometido por essa patologia.	
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	Profissional de saúde	Muito ruim	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 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	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	<a href="#">Clique aqui</a>
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Gostaria de ter respostas positivas para que eu como cidadã e mãe de paciente tivessem o direito de continuar fazendo seus tratamento,para ter uma qualidade de vida.	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Isso o que a CONITEC pretende fazer é um absurdo!!! Todos nós, pacientes precisamos desse tratamento para ter uma boa 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	Paciente	Muito ruim	Sim, Você pode colocar assim:O tratamento para doenças genéticas, em especial a mucopolossacaridose, é de suma importância e traz benefícios incontestáveis para a vida dos pacientes que o recebem. No entanto, ao contemplar apenas crianças ate 5 anos de idade, excluindo todos os demais doentes fere a constituição federal brasileira, quando diz que a saúde é um direito de todo cidadão e um dever do estado, além dos princípios do SUS da universalidade e equidade. Esses tratamentos são necessários para oferecer qualidade de vida a esses doentes, e TODOS que podem se beneficiar dele tem o direito constitucional de recebe-lo.	Você pode colocar assim:O tratamento para doenças genéticas, em especial a mucopolossacaridose, é de suma importância e traz benefícios incontestáveis para a vida dos pacientes que o recebem. No entanto, ao contemplar apenas crianças ate 5 anos de idade, excluindo todos os demais doentes fere a constituição federal brasileira, quando diz que a saúde é um direito de todo cidadão e um dever do estado, além dos princípios do SUS da universalidade e equidade. Esses tratamentos são necessários para oferecer qualidade de vida a esses doentes, e TODOS que podem se beneficiar dele tem o direito constitucional de recebe-lo.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	A medicação tem que ser liberada para todas às idades.	
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 qdo toma a enzima.	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	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Quero que o tratamento seja mais inclusivo, abrangendo cadeirantes e deficientes.	
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.	



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 tratamento para doenças genéticas, em especial a mucopolossacaridose, é de suma importância e traz benefícios incontestáveis para a vida dos pacientes que o recebem. No entanto, ao contemplar apenas crianças ate 5 anos de idade, excluindo todos os demais doentes fere a constituição federal brasileira, quando diz que a saúde é um direito de todo cidadão e um dever do estado, além dos princípios do SUS da universalidade e equidade. Esses tratamentos são necessários para oferecer qualidade de vida a esses doentes, e TODOS que podem se beneficiar dele tem o direito constitucional de recebe-lo.	O tratamento para doenças genéticas, em especial a mucopolossacaridose, é de suma importância e traz benefícios incontestáveis para a vida dos pacientes que o recebem. No entanto, ao contemplar apenas crianças ate 5 anos de idade, excluindo todos os demais doentes fere a constituição federal brasileira, quando diz que a saúde é um direito de todo cidadão e um dever do estado, além dos princípios do SUS da universalidade e equidade. Esses tratamentos são necessários para oferecer qualidade de vida a esses doentes, e TODOS que podem se beneficiar dele tem o direito constitucional de recebe-lo.	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Isso o que a CONITEC pretende fazer é um absurdo!!! Todos nós, pacientes precisamos desse tratamento para ter uma boa qualidade de vida.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, A alteração irá prejudicar pacientes que necessitam do medicamento para ter o mínimo de uma boa condição de vida.	não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	--	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Como mãe de paciente vejo o progresso da 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 da minha filha não tem preço e esse critério de exclusão não condiz com a realidade de vários pacientes hoje no Brasil.	

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 tratamento para doenças genéticas, em especial a mucopolossacaridose, é de suma importância e traz benefícios incontestáveis para a vida dos pacientes que o recebem. No entanto, ao contemplar apenas crianças ate 5 anos de idade, excluindo todos os demais doentes fere a constituição federal brasileira, quando diz que a saúde é um direito de todo cidadão e um dever do estado, além dos princípios do SUS da universalidade e equidade. Esses tratamentos são necessários para oferecer qualidade de vida a esses doentes, e TODOS que podem se beneficiar dele tem o direito constitucional de recebe-lo.	O tratamento para doenças genéticas, em especial a mucopolossacaridose, é de suma importância e traz benefícios incontestáveis para a vida dos pacientes que o recebem. No entanto, ao contemplar apenas crianças ate 5 anos de idade, excluindo todos os demais doentes fere a constituição federal brasileira, quando diz que a saúde é um direito de todo cidadão e um dever do estado, além dos princípios do SUS da universalidade e equidade. Esses tratamentos são necessários para oferecer qualidade de vida a esses doentes, e TODOS que podem se beneficiar dele tem o direito constitucional de recebe-lo.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Discordo totalmente porque isso é um absurdo!!!	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Como mãe de paciente vejo o progresso da 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 da minha filha não tem preço e esse critério de exclusão não condiz com a realidade de vários pacientes hoje no Brasil.	
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 com esse tratamento melhorar tanto na parte respiratória, motora entre tantos outros que são comprovados por exames feitos periodicamente.	A vida dela não tem preço e esse critério de exclusão não condiz com a realidade de vários pacientes hoje no Brasil.	

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	Ruim	Não	Discordo com a política de inclusão e exclusão a terapia enzimática do paciente com mucopolissacaridose tipo IV, pois acima dos 5 anos só leva em consideração a limitação a locomoção, não considerando os diversos outros benefícios alcançados e comprovados cientificamente, além de observados na prática clínica. Isso implica exclui uma grande quantidade de paciente que se beneficiaram com alívio e redução de complicações cardíacas e respiratórias, privandoas de melhor qualidade e expectativa de vida. Isso a tolhem dos direitos mais básicos que são o direito a vida e a saúde.	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Muito ruim que e importante para todos os pacientes receberem a medicação.	mesmo cadeirantes,que esse não é um fator para excluir do tratamento.	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Muito ruim que é importante para todos os pacientes receberem a medicação.	Mesmo cadeirantes, que esse não é um fator para excluir do tratamento.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Como mãe de paciente vejo o progresso da 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 da 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	Boa	Não	Não	
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	Não	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Que todos os pacientes, tenham direito ao tratamento	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, Todo paciente de mps VIA e deve receber o tratamento sen nenhum restrição.	O tratamento para doenças genéticas, em especial a mucopolossacaridose, é de suma importância e traz benefícios incontestáveis para a vida dos pacientes que o recebem. No entanto, ao contemplar apenas crianças ate 5 anos de idade, excluindo todos os demais doentes fere a constituição federal brasileira, quando diz que a saúde é um direito de todo cidadão e um dever do estado, além dos princípios do SUS da universalidade e equidade. Esses tratamentos são necessários para oferecer qualidade de vida a esses doentes, e TODOS que podem se beneficiar dele tem o direito constitucional de recebê-lo.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Restringe o acesso do paciente que apresenta dificuldade locomotora, indo de encontro ao direito de todo cidadão ao tratamento de saúde recomendado.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Todos os pacientes devem receber o tratamento sem nenhum restrição independente de idade e de sua condição física. Todos tem o direito a ter qualidade de vida.	O tratamento para doenças genéticas, em especial a mucopolossacaridose, é de suma importância e traz benefícios incontestáveis para a vida dos pacientes que o recebem. No entanto, ao contemplar apenas crianças ate 5 anos de idade, excluindo todos os demais doentes fere a constituição federal brasileira, quando diz que a saúde é um direito de todo cidadão e um dever do estado, além dos princípios do SUS da universalidade e equidade. Esses tratamentos são necessários para oferecer qualidade de vida a esses doentes, e TODOS que podem se beneficiar dele tem o direito constitucional de recebê-lo.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Como ficarão os pacientes já em tratamento que não se "enquadram" nesse protocolo??	

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, Todo paciente deve ter seu tratamento independente de qualquer coisa. Todos tem direito a ter qualidade de vida.	O tratamento para doenças genéticas, em especial a mucopolossacaridose, é de suma importância e traz benefícios incontestáveis para a vida dos pacientes que o recebem. No entanto, ao contemplar apenas crianças ate 5 anos de idade, excluindo todos os demais doentes fere a constituição federal brasileira, quando diz que a saúde é um direito de todo cidadão e um dever do estado, além dos princípios do SUS da universalidade e equidade. Esses tratamentos são necessários para oferecer qualidade de vida a esses doentes, e TODOS que podem se beneficiar dele tem o direito constitucional de recebê-lo.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Discordo, acredito que todos os pacientes deveriam ter direito a medicação	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Discordo	
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	Regular	Sim, Seria bom salientar que a deambulação não devia ser pré-requisito para o acesso a medicação pois como a doença é multi-sistêmica existem outros órgãos que se beneficiam da diminuição do depósito lissomal. Outro ponto que não está claro é a forma da avaliação semestral do paciente pois não existem centros de referência no interior dos estados e qual o teste padrão que será utilizado e de que forma se dará o comparativo de vista, função pulmonar, audição, caminhada, capacidade respiratória e etc	NAO	
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.	

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	Não	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.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Toda forma de discriminação é crime segundo o Estatuto da Pessoa com deficiência ( Lei Federal 13.146/2015) em seu capítulo II: CAPÍTULO II – Da Igualdade e da Não Discriminação Art. 4º Toda pessoa com deficiência tem direito à igualdade de oportunidades com as demais pessoas e não sofrerá nenhuma espécie de discriminação. § 1º Considera-se discriminação em razão da deficiência toda forma de distinção, restrição ou exclusão, por ação ou omissão, que tenha o propósito ou o efeito de prejudicar, impedir ou anular o reconhecimento ou o exercício dos direitos e das liberdades fundamentais de pessoa com deficiência, incluindo a recusa de adaptações razoáveis e de fornecimento de tecnologias assistivas. § 2º A pessoa com deficiência não está obrigada à fruição de benefícios decorrentes de ação afirmativa. Art. 5º A pessoa com deficiência será protegida de toda forma de negligência, discriminação, exploração, violência, tortura, crueldade, opressão e tratamento desumano ou degradante. Parágrafo único. Para os fins da proteção mencionada no caput deste artigo, são considerados especialmente vulneráveis a criança, o adolescente, a mulher e o idoso, com deficiência. A pessoa com deficiência tem direito a igualdade de oportunidades, semelhantes aos não deficientes.	A Constituição Federal, no seu art. 5º, dispõe que todos são iguais perante a lei, sem distinção de qualquer natureza. A Declaração Universal dos Direitos Humanos, de 1948, no seu art. 1º, dispõe que todos os seres humanos nascem iguais em dignidade e direitos. O art. 2º ainda assevera que todos os seres humanos estão aptos a exercer os seus direitos sem distinção de nenhum tipo ou gênero, seja por raça, cor, sexo, língua, orientação política etc. A Constituição Federal, no seu art. 5º, incisos XLI e XLII, dispõe que a lei punirá qualquer discriminação atentatória aos direitos e liberdades fundamentais e que a prática do racismo constitui crime inafiançável e imprescritível, sujeito à pena de reclusão. Portanto, todo tipo de discriminação e preconceito é vedado pela legislação brasileira.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Minha filha está fazendo reposição enzimática a 1 ano e já observamos boa melhora em sua resistência física e na diminuição do acúmulo de Gag's na urina.	
12/08/2019	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
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	mudaria o critério de inclusão	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Para que todos cidadãos tivessem o direito a fazer seus tratamento .	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Para que todos tenham o direito da vida	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Os pacientes serão prejudicados com essa nova proposta.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	Essa medicação na minha opinião é de suma importância, ao se tratar dessa doenças, independentemente do grau da doença, não se deve parar com o tratamento! É muito fácil achar que só o tratamento só serve pra o início da doença! Se coloque no lugar dessas crianças! Saúde é um direito de todos! Acredito que sim.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Crianças acima de 5 anos , e cadeirantes devem ser incluídas no protocolo de tratamento da mucopolissacaridose. A evolução da insuficiência cardíaca é rápida e irreversível.	Não concordo com a decisão dos critérios de exclusão do protocolo	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	A mensuração de resultado baseada exclusivamente no teste de caminhada não reflete todo o benefício decorrente do tratamento específico com reposição enzimática.A experiência do uso da alfa1-antitripsina impacta positivamente na função pulmonar e qualidade de vida	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Que as pessoas que tenham essa doença, não deixe de receber a medicação necessária.	

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 boa	Não	Que o Ministerio possa realizar exames e liberação de medicamentos com mais agilidade	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Não	Que interropar o direito de todos viverem.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Todo paciente tem q ter seu tratamento independente de sua idade ou de sua condicao fisica.	O tratamento para doenças genéticas, em especial a mucopolossacaridose, é de suma importância e traz benefícios incontestáveis para a vida dos pacientes que o recebem. No entanto, ao contemplar apenas crianças ate 5 anos de idade, excluindo todos os demais doentes fere a constituição federal brasileira, quando diz que a saúde é um direito de todo cidadão e um dever do estado, além dos princípios do SUS da universalidade e equidade. Esses tratamentos são necessários para oferecer qualidade de vida a esses doentes, e TODOS que podem se beneficiar dele tem o direito constitucional de recebê-lo.	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Porque todaa tenha o direito da vida	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, CRITÉRIOS DE INCLUSÃO PARA TRENão temos no Brasil, Serviços de Referencias em Doenças Raras, o diagnóstico de uma doença rara é quase impossível nos primeiros anos de vida	A indicação do tratamento para MPS IV tomando como base a idade ou mobilidade é muito restrito. Sabemos que a qualidade de vida de um paciente com MPS IV, melhora significativamente com o inicio da TRE	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Tenho primas com mps e q fazem esse tratamento e elas nao podem ficar sem faze-lo pois e muito importante para sua qualidade de vida. Todos tem o direito de ter o tratamento independente de qualquer coisa.	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	Muito ruim	Sim, Minha irma tem mps viA e ela faz tratamento e ela esta muito melhor depois q comecou fazer as infusoes. Todos pacientes mps tem q ter seu tratamento pois e de muita importancia independente de sua idade ou condicao fisica.	Nao	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, CRITÉRIOS DE INCLUSÃO PARA TRENão temos no Brasil, Serviço de Referencia em Doenças Raras em todos os estados. O diagnóstico de uma doença rara é quase impossível nos primeiros anos de vida	A indicação de tratamento para MPS IV tomando como base a idade ou mobilidade é muito restrito. Sabemos que a qualidade de vida de um paciente com MPS IV, melhora significativamente com o início da TRE	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Minha irma tem mps tipo viA e ela faz tratamento e ela esta muito nelhor depois q comecou. Entao e de maxima importancia q continue fazendo seu tratamento. Todos q tem mps tipo viA tem q ter seu tramento mantido independete de idade e de sua condicao fisica.	Nao	
12/08/2019	Sociedade médica	Muito ruim	Sim, Retirar dos critérios de exclusão pacientes maiores ou iguais a 5 anos que não caminhem pelo menos 40 metros no teste de caminhada de 6 minutos, pois isto segundo a Constituição Federal é discriminação, as pessoas cadeirantes não tem direito a ter maior sobrevida e melhor qualidade de vida?	Criticamos a falta de instrumentos de qualidade de vida, escalas de fadiga e de dor no acompanhamento desses pacientes, que têm condições de se manifestar por não terem comprometimento cognitivo, por sinal estes testes são muito mis importantes para o paciente do o teste de caminhada.A indicação de transplante de células tronco hematopoiéticas não está de acordo com revisão recente sobre essa abordagem terapeutica pelo pequeno número de pacientes transplantados e ainda a alta mortalidade do procedimento, e ainda pela escassez de centros de referência em nosso país que façam o procedimento.	<a href="#">Clique aqui</a>
12/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Que independente de idade ou condição física todos tem o direito á qualidade de vida e por esse motivo se submetem a estar tomando essa medicao e nenhum cidadao pode ser privado dos seus direitos.	Saúde é 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	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Nao	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Todos merecem tomar a medicação.	A medicação melhora em tudo.	
12/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Sim, - critérios de inclusão em relação a idade limite de 4 anos, pela dificuldade de acesso aos exames para confirmar o diagnóstico;- monitoramento do tratamento: considerar mais as avaliações na evolução clínica, considerando que muitos exames exigidos não estão disponíveis no sus.	Não	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Nao	
12/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Todos tem o direito de receber o tratamento	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Todos os pacientes precisam da medicação	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Discordo totalmente porque isso é um absurdo!!!	
12/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nao gostei dessa proposta . Ela é horrível	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	A proposta é muito ruim	

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	Não	É DE FUNDAMENTAL IMPORTANCIA A IMPOSIÇÃO DE CRITÉRIOS PARA O ESTABELECIMENTO DO TRATAMENTO MEDICAMENTOSO AOS PACIENTES PORTADORES DESTES TIPOS DE MUCOPOLISSACARIDOSE. O MANEJO DAS VERBAS DA SAUDE PUBLICA DEVE SER DE INTERESSE DE TODOS. CONTUDO O TEXTO NÃO DEIXA CLARO, POR EXEMPLO, SE DURANTE A ANALISE DOS PACIENTES APOS OS 7 ANOS DE IDADE, SERÁ CONSIDERADA A LIMITAÇÃO DA MARCHA POR ALGUMA DEFORMIDADE ORTOPEDICA, POTENCIALMENTE CORRIGÍVEL. O USO DESTAS MEDICAÇÕES COM MELHORA DO STATUS PRE-CIRURGICO E VISIVEL EM ALGUNS CASOS. A CIRURGIA COMO TERAPIA ADJUVANTE APOS A MEDICAÇÃO MELHORA O PADRÃO DESTAS CRIANÇAS. POR NAO EXISTIREM TRABALHOS CIENTIFICOS QUE CORROBOREM ESTA NAO INCLUSAO, ACREDITO QUE O INVESTIMENTO NOS PACIENTES MESMO COM DIFICULDADE EM CAMINHAR OS 40M VALHA A PENA.	
12/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não	
12/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Sou amiga de uma pessoa com MPS, que faz tratamento e isso é muito importante, todos deveriam ter acesso independente de idade, ou condições físicas.	Não	
12/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito boa	Sim, gostaria que a medicação fosse liberada inclusive para os pacientes cadeirantes *sem marcha	doença sem comprometimento intelectual portanto extremamente válido 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
12/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Sim, Na verdade a minha critica é sobre o formato deste PCDT que chamou um número muito reduzido de médicos especialistas no tema e ainda a opinião dos mesmos não tem o menor peso na realização do documento. Não participei deste, mas de outros como o de MPS I e II e é esse mesmo formato, os especialistas são chamados só para constar, mas suas opiniões não são levadas em conta. Participei do PCDT de HPN elaborado pelo grupo da UFMG que tem um formato totalmente diferente o objetivo do mesmo foi atender as necessidades de tratamento de todos pacientes, ouviram os especialistas presentes e o documento realmente representou a opinião de especialistas de várias regiões do Brasil e os pacientes foram tratados com dignidade e respeito, porque afinal a saúde é um direito de todos. Eu sinceramente gostaria muito que as outras doenças raras tivessem o mesmo tipo de PCDT realizado pelo pessoal da UFMG, isento de conflitos de interesse aonde o objetivo é beneficiar o paciente que tem a doença e precisa de tratamento, e não deixar ninguém de fora. Bem diferente deste que coloca nos critérios de exclusão recomendações que discriminam o paciente cadeirante, negando a estes o direito de ter maior sobrevida e melhora da qualidade de vida.	Faltou também neste documento a recomendação do uso de medidas que mostram o impacto do tratamento na vida do paciente, instrumentos que medem qualidade de vida, escalas de fadiga e dor, que são na verdade mostram o real impacto dos tratamentos em doenças raras, medidas estas fortemente recomendadas por outras agências de tratamento européias e americana. Esses instrumentos são muito mais importantes do que um teste da caminhada ou uma prova de função respiratória para a vida do paciente.	
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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra a interromper tratamento de paciente que faz a muito tempo.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Sim, Solicito alteração dos criterios de inclusão para ter,incluindo os pacientes de todas as idades, principalmente nos cadeirantes.pois meu filho e um portador de MPS onde faz terapia a muitos anos	Os pacientes em terapia tiveram melhoras significativas na parte respiratória, cardíaca,motora e 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
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Quero contribuir para que não seja interrompido o tratamento de paciente que a muito faz tratamento.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Gostaria que nao interromper o tratamento	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra tirar o tratamento desses pacite	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Gostaria de que não interrompisse a medição	
13/08/2019	Interessado no tema	Ruim	Sim, Não está certo restringir o uso para determinados pacientes.Paciente cadeirante também merece viver, afinal de contas a vida não se restringe às pernas.	Que seja incorporado pra todos os pacientes de Mps	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nao	
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	Nao	
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	Não	
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	Interessado no tema	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 boa	Não	Não.	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	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	nao	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Os critérios são excludentes para pacientes já em tratamento e que mais necessitam de terapia.	Os critérios são excludentes para pacientes já em tratamento e que mais necessitam de terapia.	

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	Grupos/associação/organização de pacientes	Muito ruim	Sim, permitir que todos os pacientes tenham acesso ao tratamento melhorando assim sua qualidade de vida...	Impossibilitar que pacientes cadeirantes não tenham acesso ao tratamento é anuncio de morte cruel e lenta	
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	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Alterar. Não limitar em 5 anos o uso da medicação, remover o critério de exclusão referente à dificuldade de deambular ou uso de cadeira de rodas.	Por que limita a inclusao do paciente e o medico e quem deve definir quem deve medicar como no pcdt de mps 2	
13/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não deve restringir o acesso ao medicamento	
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, Mudaria esse critério de inclusão	não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Liberar medicação a todos os pacientes sem restrição	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, A medicação deve ser mantida. Exceto se o médico assistente achar conveniente suspender	A medicação tem ação multisistemica , agindo na função cardiovasculares, pulmonar e osteoarticulares. Melhora sobretudo a qualidade de cuida da pessoa	
13/08/2019	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
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Gostaria de incluir que os pacientes que fazem uso dessa medicação precisam dela para sobreviver e que independente de idade necessitam dela. Acredito que esses critérios de exclusão precisam serem revistos.	Gostaria de comentar que os pacientes que fazem uso da medicação melhoram o padrão respiratório e cardiovascular e consequentemente o padrão de sono é outro.	
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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, O tratamento é indispensável para os pacientes, mesmo estando em estado avançado, pois só agrava a situação da doença.	Há casos de morte quando a reposição é interrompida por tempo prolongado, por isso é semanal	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não!	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não	
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	
13/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	não	
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	Profissional de saúde	Muito ruim		Este protocolo exclui milhares de pacientes que sem a medicação, estarão condenados a perder a vida por essa doença.	



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, 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, 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	
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 dos nossos filhos não tem preço e esse critério de exclusão não condiz com a realidade de vários pacientes hoje no Brasil.	
13/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Não	Fiquei indignado que é recomendado que os pacientes cadeirantes não recebam o tratamento, além da idade estar muito restrita sabendo que trata-se de uma doença de difícil e tardio diagnóstico.	
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	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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	NÃO	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Sou prima de uma portadora de mps tipo viA e esse tratamento e muito importante para sua qualidade de vida. Todos devem ter acesso ao seu tratamento independente de sua condicao fisica ou idade.	Nao	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Todos os pacientes que tem mps deve ter seu tratamento mantido independente de sua situacao fisica ou de sua idade. Todos tem direito a ter uma qualidade de vida.	Nao	
13/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Os critérios de inclusão deverão ser modificados.Não existe centros de transplantes com experiência em Morquio para tal afirmação. A indicação de TRE nao pode se basear na idade ou na mobilidade do paciente .Quem atende ou conhece pacientes com Morquio sabe que alterações esqueléticas são importantes e que o pacientemente reposição enzimática pode melhorar sua performance motora e ter melhora significativa da dor.	A indicação de TRE nao pode se basear na idade ou na mobilidade do paciente .Quem atende ou conhece pacientes com Morquio sabe que alterações esqueléticas são importantes e que o pacientemente reposição enzimática pode melhorar sua performance motora e ter melhora significativa da dor.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Quero que o tratamento desses pacientes não seja interrompido	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou a favor da contenção para que não seja interrompido o tratamento desses pacientes	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nao concordo que interropam o tratamento depois de tanto tempo.	

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	<p>Sim, 1. Não haver critério de idade ou mobilidade como restrição ao início de tratamento ou seja, no critério de inclusão NÃO restringir a idade ou mobilidade . A restrição de indicação do tratamento com a alfaelossulfase, baseada em idade ou mobilidade, fará com que vários pacientes evoluam para o óbito devido ao caráter multissistêmico da doença , não se beneficiando de melhora de outros órgãos devido ao caráter multissistêmico da doença.</p>	<p>1.Excluir pacientes acima de 5 anos de idade do tratamento baseando-se em teste de caminhada não contempla as evidências comprovadas em vários estudos e em nenhum momento questionado pelos órgãos regulatórios FDA e EMA, que aprovaram o medicamento em todas as faixas etárias.2. A MPS IV é caracterizada por um fenótipo ósseo que causa impacto na mobilidade e qualidade de vida dos pacientes; as doenças genéticas são heterogêneas e por mais que se tente correlacionar a expressão genótipo/fenótipo muitas vezes não se define a evolução da doença; portanto a resposta terapêutica é individual. Generalizar critérios de exclusão em mobilidade e idade fará com que inúmeros pacientes evoluam para piora clínica , podendo ter um desfecho para o óbito3. Sabe-se que excreção de GAGs urinários em pacientes com MPS IVA, podem variar de acordo com a faixa etária e severidade da doença, podendo apresentar valores reduzidos,portanto é um biomarcador que não pode ser considerado como fator de interrupção quando não se observarem variação percentual após tratamento. 4. Inglaterra, Canadá por exemplo,são países que não limitam o tratamento baseado em idade e mobilidade; ambos possuem sistemas de saúde públicos.</p>	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra que tirem o tratamento desses 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, Como profissional de saúde vejo o quanto é importante e necessário 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 uma, melhora considerável do quadro respiratório, da mobilidade dentre outros	Considero as normas de exclusão fora dos padrões de realidade de cada paciente, pois pessoas que estudam, trabalham, tem família, sonhos e projeto de vida e falta da medicação acaba com tudo isso.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Retirar o critério de inclusão que só pacientes que andam sejam incluídos	Não	
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	Paciente	Muito ruim	Sim, a medicação é um direito de todos os portadores de MPS e não apenas para os que caminham, infelizmente não é a cura mas ameniza outros sintomas da mucopolissacaridose	não	
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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Gostaria que interrompesse o tratamento desses pacientes	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Não acho justo a perda deste mínimo direito que os portadores de MPS possuem. o coração chega doer ao se deparar com esta situação.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Não	Gostaria que todos tivessem o direito a vida e 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
13/08/2019	Grupos/associação/organização de pacientes	Muito ruim	Sim, Foram chamados um número muito reduzido de médicos especialistas no Tema, neste PCDT foram colocados nos critérios de exclusão recomendações que discriminam o paciente cadeirante, sendo negado a eles o direito de maior sobrevida e qualidade de vida	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Não	Gostaria que desse continuidade a o tratamento desse paciente	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra que interrogam o tratamento desses pacientes	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sabendo que todos têm o direito a vida por esse motivo sou a favor do que tratamento continue.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou a favor da continuidade do tratamento para esses paciente com doenças raras que necessita para ter uma qualidade de vida melhor.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Sim, QUE TAMBEM SE INCLUA PACIENTES QUE UTILIZAM CADEIRAS DE RODAS	QUE TAMBEM SE INCLUA PACIENTES QUE UTILIZAM CADEIRAS DE RODAS	
13/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Regular	Sim, Em relação ao tratamento específico (TRE) discordo do critério de exclusão: Paciente com idade igual ou superior a 5 anos e que não percorram pelo menos 40 metros noteste da caminhada de 6 minutos	Alguns artigos com resultados de estudos a longo prazo (de extensão) mostram a segurança e eficácia da TRE para adultos com MPS IV A , independente da deambulação...Clinical outcomes in a subpopulation of adults with Morquio A syndrome: results from a long-term extension study of elosulfase alfaD. Hughes, R. Giugliani, N. Guffon, S. A. Jones, K. E. Mengel, R. Parini, R. Matousek, S. M. Hawley & A. Quartel Orphanet Journal of Rare Diseasesvolume 12, Article number: 98 (2017)	<a href="#">Clique aqui</a>

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, Prejudicar várias pessoas	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Sim, Sim, gostaria que todos os portadores fossem incluídos sem discriminação de mobilidade.	Não	
13/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, - A experiência de transplante de células-tronco hematopoiéticas para MPS IV ainda é limitada, se comparada a MPS I (Hurler).- O critério de inclusão beneficiando apenas pacientes ambulatoriais e capazes de percorrer pelo menos 40 metros no teste da caminhada de 6 minutos irá excluir muitos pacientes, além de não considerar as limitações impostas pela doença, tais como compressão medular, baixa estatura, comprometimento pulmonar, articular e cardíaco.	Os critérios de interrupção de tratamento incluem a melhora de pelo menos 20 metros no teste da caminhada, sem considerar a idade / estatura do paciente e redução de pelo menos 30% dos níveis de GAGs urinários em comparação aos níveis basais, sem considerar se o paciente já se encontrava em TRE antes da publicação do PCDT. Além disso, pacientes com MPS IV podem apresentar níveis borderline ou levemente elevados de GAGs.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, todos os pacientes diagnosticados com MPS tem direito a medicação sem excessão	Não	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, O medicamento deve beneficiar a todos. Os que andam e os que não andam.	A vida é direito de todos	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, A MEDICAÇÃO FAZ COM QUE OS PACIENTES TENHAM UMA QUALIDADE DE VIDA MELHOR!	8. A MEDICAÇÃO MELHORA A QUALIDADE DE VIDA DE TODOS OS PACIENTES DE FORMA MULTISISTÊMICA, PORTANTO, TODOS DEVEM RECEBER A MEDICAÇÃO, NÃO APENAS QUEM ANDA.	
13/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, GERALMENTE O DIAGNÓSTICO EM ALGUNS CASOS É TARDIO. DESTA MODO, A CRIANÇA 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	

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, A retirada dos critérios de exclusão de pacientes	Se o indivíduo é claramente identificado como portador de MPS IV A, por que então o setor critérios tão degradantes a pessoa do paciente para ser beneficiando com um tratamento que retarda os efeitos degenerativos da doença? Crianças e adultos já estudados a anos por geneticistas brasileiros e estrangeiros já identificaram efeitos benéficos da infusão, por que então adicionar critérios claramente financeiros para excluir pacientes de um tratamento? O índice de portadores é pequeno diante da Gama de benefícios que o tratamento, já consolidado oferece de sobrevida dos pacientes.	
13/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	A MEDICAÇÃO MELHORA A QUALIDADE DE VIDA DE TODOS OS PACIENTES DE FORMA MULTISISTEMICA, PORTANTO, TODOS DEVEM RECEBER A MEDICACAO, NAO APENAS QUEM ANDA.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Sim, Que incluísse os pacientes que fazem uso de cadeiras de rodas	Nao	
14/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não se pode excluir uma faixa etária para o tratamento	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, excluir do texto:que tenham idade igual ou superior a 5 anos, sejam ambulantes e capazes de percorrer pelo menos 40 metros no teste da caminhada de 6 minutos.Att,	não	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Os portadores dessa doença devem ser respeitados e continuar recebendo ajuda	
14/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	eu acho essa proposta muito ruim	
14/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Sou enfermeira assisto a pacientes portadores de MPS IV A que serão totalmente prejudicados com a aprovação deste protocolo.	Pacientes assistidos na instituição em que trabalho serão prejudicados.Participei do estudo clinico desta medicação e sei o quanto é importante para estes 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
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	eu acho muito ruim essa prospota	
14/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, 5.2.2.2 Critérios de Exclusão de TRESerão excluídos do tratamento com alfaelossulfase os pacientes que se enquadrarem nas seguintes situações: Paciente com idade igual ou superior a 5 anos e que não percorram pelo menos 40 metros noteste da caminhada de 6 minutos;	Gostaria que os pacientes cadeirantes, que não conseguem deambular mais de 40 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	Instituição de saúde	Regular	Sim, critérios de inclusão: creio que em uma doença com morbidade tão elevada, o tratamento não deveria ser limitado a uma idade tão baixa, pois os benefícios para os pacientes acima de 5 anos é muito grande, Diminui muito a morbimortalidade. Este critério é aleatório e chega a ser perverso com os indivíduos que muitas vezes tem seu diagnóstico mais tardio.	sobre os exames necessários para avaliação da resposta ao tratamento que muitas vezes são inacessíveis ao paciente pelo SUS	<a href="#">Clique aqui</a>
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Gostaria que não interrompisse o tratamento desses pacientes	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou a favor o tratamento de pessoas com doenças raras	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra a o interrupção desse tratamento assim estão tirando o direito de cidadãos tem o direito a vida.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Gostaria que não fosse interrompido o tratamentos desses pacientes	



<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Não	Sou contra que esses pacientes de doenças raras fiquem sem fazer o tratamento, É para quem que continua fazendo a reposição enzimática.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra que interrompam o tratamento desses pacientes que tem doenças raras	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra que o tratamento desses pacientes sejam interrompido	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra que interrompam o tratamento desses paciente com doenças raras.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Sou contra que interrompam o tratamento desses pacientes	
14/08/2019	Interessado no tema	Regular	Não	Não	
14/08/2019	Paciente	Regular	Sim, Todos tem Direito de qualidade de vida ,um não é menos importante que o outro ,todos merecem viver bem !	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 IV A. 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	Profissional de saúde	Muito ruim		Discordo totalmente destes pareceres restritivos que podem excluir milhares de pacientes com Mucopolissacaridose tipo IV A. 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, Minha filha não deambula, mas merece o tratamento.	Infelizmente ela ainda não faz tratamento, foi diagnosticada recentemente. Tenho certeza que com o acesso ao medicamento a vida dela será melhor.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Minha filha possui MPS IV e não deambula, mas merece o tratamento caso ele saia.	

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		acredito que todos os pacientes devam ter acesso ao tratamento, independentemente de qualquer situação física, desde que prescrita pelo médico.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Retirar o critério de inclusão que limita o tratamento para apenas pacientes que possam andar	Não	
14/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Não	Deveriam ser revistos os protocolos de inclusão e exclusão.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
14/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Regular	Sim, Pag 8 - Item 4 - critérios de inclusão – considerar inclusão exclusivamente após resultado de exame molecular, com variantes patogênicas que confirmem o diagnóstico, em especial em casos familiares Utilizar dosagem enzimática + GAG OU só molecular para confirmação do diagnóstico Não precisa reavaliar ou fazer novos exames, so comprovar o diagnóstico (há pacientes há mais de 10 anos em terapia) Pg 9 – item 5.1 – considerar neurocirurgião ou cirurgião ortopédico especializado em coluna	Não	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	não	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Não	
14/08/2019	Paciente	Regular	Sim, Todos precisam viver ,a vida é direito a todos , saúde é preciosa a todos !É crueldade querer tirar a medicação de quem precisa, de quem luta todos os dias pra ter uma qualidade de vida !	Não	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Mudaria o critério de inclusão	

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, De acordo com minha experiência profissional, discordo com o 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. Observei na prática uma evolução significativa dos pacientes acima de 5 anos e mobilidade reduzida nos quesitos: aumento do tempo de caminhada, melhor qualidade do sono, melhora da vida social, maior força muscular e outras variáveis.	Todos pacientes com MPS IVA merecem receber o tratamento visto os ótimos resultados que já vêm trazendo a estes pacientes.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nao.	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	NAO	
14/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Faço parte de um trabalho voluntário evangelístico no Setor de Terapia Enzimática e sofremos muito quando vemos os pacientes sem a medicação, passando mal. Essa enzima é vital para a sobrevivencia desses pacientes. Eles não podem ficar sem ela.	Sim. o sistema de exclusão é inviável. São vidas e vidas preciosas, brasileiros com direitos e deveres. Somos todos raros. Vida para os nossos queridos pacientes.	
14/08/2019	Grupos/associação/organização de pacientes	Ruim	Sim, Critérios de acesso a 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 alfaelosulfase 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.	

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, Precisa ser revisto os critérios de inclusão, que não deveria ser limitado pela idade, mas sim analisando a condição atual do paciente no momento do diagnóstico e a evolução de progressão da doença, em cada caso.	Não	
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 IV A	Não	
14/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Sim que todos consigam pq só sabe quem passa	
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.	
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.	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	A mucopolissacaridose uma doença grave que necessita de tratamento, caso contrário o paciente não sobrevive, requer cuidados, não pode faltar medicamentos acho que deveria ter um processo mais sério não só pra mucopoli mas em outras doenças graves também. O governo deveria dar mas atenção para essas causas , não é o que vimos porque temos que lutar na justiça se o diagnóstico e uma causa grave. E se mesmo depois de aprovado o processo ainda falta medicamentos acho que algo errado tem aí. Fica aqui meu apelo para nossos governantes. Mais atitudes	

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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, q a proposta ira prejudicar os pacientes em tratamento e interromper uma condição de vida melhor sem esses medicamentos	que essa medicação nunca venha ter restricoes pra essas doenças raras so quem tem na familia sabe como e dificil sem essa medicação.	
15/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Nao acho justo os pacientes cadeirantes ou os que param de andar durante o tratamento perderem o direito ao tratamento A qualidade de vida que eles têm durante o tratamento muda tudo e se perderem o tratamento como ficaram? Tratamento para todos	
15/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Sim, Alterar os critérios de inclusão para TRE	Vejo que a proposta é abusiva e entendo que todos têm direito ao tratamento.	
15/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, 5.2.2.1 Critérios de Inclusão para TRE Poderão fazer uso de alfaelossulfase todos os indivíduos com diagnóstico de MPS IVA realizado de acordo com o item 3 deste PCDT E:a) que tenham idade entre 0-4 anos de idade (ou seja, idade inferior a 5 anos completos)OU b) que tenham idade igual ou superior a 5 anos, sejam ambulantes e capazes de percorrer pelo menos 40 metros no teste da caminhada de 6 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	Sim, A medicação é de extrema importância para a continuidade de vida dos pacientes.	A MEDICAÇÃO MELHORA A QUALIDADE DE VIDA DE TODOS OS PACIENTES DE FORMA MULTISISTEMICA, PORTANTO, TODOS DEVEM RECEBER A MEDICACAO, NAO APENAS QUEM ANDA.	

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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Essa proposta só vai está contribuindo tirando a qualidade de vida para os pacientes de mucopolissacaridose, o direito de ter uma vida melhor. Estão tirando o direito a vida de milhares de paciente raros. Sem qualidade de vida, sem direito a vida, infelizmente esse é o país que vivemos. Mas Não concordo com essa consulta publica. Serei sempre pelos raros. Quem tem um paciente raro por perto vive muito feliz independente dos obstáculos que aparecer na vida.	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, 5.2.2.1 Critérios de Inclusão para TREPoderão fazer uso de alfaelossulfase todos os indivíduos com diagnóstico de MPS IVA realizado deacordo com o item 3 deste PCDT E:a) que tenham idade entre 0-4 anos de idade (ou seja, idade inferior a 5 anos completos)OUb) que tenham idade igual ou superior a 5 anos, sejam ambulantes e capazes de percorrer pelomenos 40 metros no teste da caminhada de 6 minutos.Isto é um absurdo. excluir quem tem dificuldade de locomoção não é critério de decisão para quem vai viver ou não. Chama-se extermínio. EXCLUAM ESTE ITEM IMORAL E CRUEL.	Gostaria que quem idealizasse esse tipo de programa e de consulta desenvolvesse empatia, pondo-se no lugar daqueles que serão atingidos por suas consequências.	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Pense nos necessitados infelizmente nem todos tem a opção de ter tratamento em um hospital particular	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	É um absurdo essa proposta.	
15/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Sim, Artigo 5.2.2.1 deveria ser revisto. Critério de locomoção é um desrespeito!	Não	
16/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		todos os RAROS necessitam dos medicamentos, jamais podem cortar. seja qual for a limitação.	

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
16/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Mudaria muito o critério de inclusão.	
16/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Não	não	
16/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Eu que luto pela minha família, também acho injusto o texto incluir apenas pacientes cadeirantes, uma vez que o tratamento deveria ser disponibilizado para todos os pacientes com indicação para tomar medicamento.	Desde que minha filha passou a utilizar o medicamento, ela tem uma qualidade de vida melhor, além de manter uma vida de certa forma independente. mesmo diante de suas limitações causadas pela doença.	
16/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Acredito que todos os pacientes diagnosticados com MPS IV merecem o tratamento, independentemente de idade e de questões físicas/motoras.	O tratamento deve ser garantido para todos, pois o medicamento retarda o agravamento e na progressão da doença no organismo.	
16/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	NÃO	
16/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Peco para continuar fornecendo a medicacao para as criancas viverem com qualidade e comde vida	
16/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Continuar doando o remedio para as criancas viverem melhor	
16/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nao pare de doar o remedio para as criancas e adiltos q precisam dele para viver	
17/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		Não	
17/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Nenhum paciente deve ser excluído por qualquer critério que seja!	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
17/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
17/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não	
17/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	A vida é um direito de todos a saúde é garantia da lei como excluir quem por um aspecto ou outro sem ouvir profissional que o acompanha?	
17/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	.	
17/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Incluir todos os pacientes no tratamento	
17/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Incluir todos os pacientes no tratamento	
17/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Mais respeito a todas deficiências	
17/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não	
18/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Ruim	Sim, Aumentar os critérios de inclusão do uso Alfaelosulfase.	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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nao	
18/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	É um absurdo pq esse medicamento que traz qualidade de vida aos pacientes	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
18/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Desumano cortar a medicação que melhora a qualidade de vida do portador de necessidade especial	
18/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Um absurdo parar com a medicação que melhora a qualidade de vida dos portadores de nos.	
18/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Todos, sem exceção, tem direito à vida!!	
18/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
18/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
18/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
18/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
19/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
19/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	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
19/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
19/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
19/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
19/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	TODOS TEM DIREITO A VIDA.	
19/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Sou paciente de Mórquio e cadeirante. Minha doença foi diagnosticada tardiamente e um tempo atrás ainda conseguia me locomover mais. Em decorrência dos anos, hoje necessito de cadeira de rodas. Eu, enquanto paciente discordo dos aspectos levantados.	Todos os pacientes com o diagnóstico confirmado deverão ter acesso ao medicamento, pois assim como eu, muitos também poderão ser diagnosticados mais tarde. Essa doença traz muitas sequelas e se o paciente não consegue o tratamento, sua saúde fica mais delicada. Então assim como eu, todos devem ter acesso ao tratamento para melhorar sua qualidade de vida.	
19/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Que o tratamento seja para crianças de qualquer idade.	Não	
19/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, A parte de critérios de inclusão/ exclusão ao acesso do tratamento de TRE.A forma descrita acaba selecionando entre os que devem viver e os que devem morrer.	Os PCDT são uma ferramenta importante para nossa atuação na assistência à saúde. Porém a definição deve ser muito cuidadosa, para que assim não haja limitação de direitos garantidos pela constituição Brasileira.	
19/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Tirar ou mudar o critério de inclusão	Não	
20/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	REAVALIAR AS NORMAS DE INCLUSÃO	

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	Sim, O direito ao cadeirante a medicação porque todo ser humano tem o direito a vida	Sim a medicação e muito boa desde quando começou a tomar tem qualidade de vida melhor	
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Ter direito a medicação	
20/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Que ajudassem estas pessoas pois elas precisam muito.	Todos nós temos direito a vida, nosso país já sofre com tanto roubo e pq não ajudar estas pessoas?	
20/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, É um absurdo tirar o direito de cadeirantes ao remédio.	Não façam a essa covardia de tirar o remédio dos cadeirantes. Já estão em situação difícil, ainda passarão por isso ? Desnecessário.	
20/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Que estejam incluídos pacientes acamados e cadeirantes.	Não	
21/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Consuta pouco divulgada entre os interessados	Melhorar divulgação	
21/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não deveriam excluir ninguém, todos os portadores da doença precisam de medicamentos.	Não	
21/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não tira as medicações de quem está em cadeira de rodas ou acamados pois os mucopolissacaridose precisa viver...	Não aprovo essa campanha de tira as medicações dos mps	
21/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Poderia ser mas rápido o tratamento deles	Pra conseguir a medicação demora muito e nossos filhos precisa dessa medição	
21/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não	
21/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Sou fisioterapeuta, acompanho uma paciente com MPSIVA e acho injusto uma criança com mais de seis anos ser privada do tratamento.	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	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Acho injusto uma criança ficar sem tratamento adequado.	NÃO	
21/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, INJUSTIÇA AS CRIANÇAS QUE NECESSITAM DE TRATAMENTO.	NAO	
21/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não	
21/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Não	
21/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		CONTESTAÇÃO contra as exigências inconstitucionais e desumanas que querem impor aos pacientes de MUCOPOLISSACARIDOSE IVA e VI para continuarem a ter acesso aos seus tratamentos que lhes garantem a vida	
21/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Não	
21/08/2019	Interessado no tema	Boa	Não	Não	
21/08/2019	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
21/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Há vários motivos para um paciente com MPS deixar de deambular, por exemplo: dor, subluxação de quadril, compressão medular... No entanto, não é porque uma pessoa parou de deambular que ela perdeu todas as suas capacidades...Sou Fisiatra (médica de reabilitação) e o papel da equipe multidisciplinar de médicos e terapeutas é incentivar o paciente a ter o máximo de funcionalidade possível, seja sem um membro, ou sentado numa cadeira de rodas, ou sem mexer partes do corpo. A funcionalidade compreende tanto as estruturas e funções do corpo como as atividades (execução de tarefas realizadas no dia a dia) e participação (envolvimento numa situação da vida social) de um indivíduo! Aí está a inclusão! Assim, acredito que o critério "pacientes que se tornarem não-deambulante durante o tratamento" – para interrupção do tratamento – seja muito amplo e pode piorar as condições de muitos pacientes. Por exemplo: se um paciente parou de andar por problemas no quadril, ele pode realizar atividades em uma cadeira de rodas. Se o tratamento for interrompido, o paciente pode ter a progressão da doença e desenvolver uma deficiência visual ou uma compressão medular, condições que piorariam a qualidade de vida e aumentariam a morbidade (pela bexiga neurogênica, úlceras por pressão pela alteração de sensibilidade, etc).	Não	
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.	
21/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	É um absurdo essa proposta da CONITEC, os pacientes precisam desse medicamento para ter uma 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
22/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito boa	Não	Nao	
22/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Todos os portadores de mucopolissacaridose IV A, tem direito ao tratamento,e que inclui os cadeirantes também.	Os cadeirantes, também tem direito ao tratamento.	
22/08/2019	Paciente	Muito ruim	Sim, Muito ruim que e importante para todos os pacientes receberem a medicação	Mesmo Caderantes que esse não e um fato para excluí o tratamento	
22/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Os pacientes com mpsIVA, e mpsVI, necessitam dessa medicação, para tanto terem mobilidade melhorada, como na questão respiratória.	Eles tem o direito de viver, e terem uma qualidade de vida melhor, tendo a medicação isso é possível.	
22/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Muito ruim que e importante para todos os pacientes Receberem a medicação	Mesmo cadeirantes que esse e não e um fato para excluir o tratamento	
22/08/2019	Profissional de saúde	Ruim	Sim, Acredito que todas as faixas etárias se beneficiariam do tratamento. Os paciente de idade avançada podem apresentar compressão medular irreversível.	Infelizmente vários pacientes realizam o diagnóstico tardio, prolongando o inicio do tratamento adequado, sendo assim mais sintomático.	
23/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Todos, sem exceção, tem direito à vida.	
23/08/2019	Interessado no tema	Muito boa	Não	Aprovação já!!!	
23/08/2019	Paciente	Muito ruim	Não	Não	
23/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Contra as propostas que estão colocando	Não	
23/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	Nenhum paciente deve FICA excluído 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
23/08/2019	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	Ruim	<p>Sim, Referente à consulta pública nº 42 (“Consulta Pública”), aberta pela CONITEC e publicada no D.O.U em 25 de julho de 2019 para contribuições da sociedade à proposta de PCDT (Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas) para o tratamento mucopolissacaridose tipo IVA (Morquio A), a BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. (BIOMARIN), detentora do registro do medicamento Vimizim® (alfaelosulfase), indicado para o tratamento específico da MPS IVA, 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 de Vimizim® (alfaelosulfase), submetido pela BIOMARIN e realizado pela CONITEC, recebemos com entusiasmo a recomendação de incorporação da terapia usada para o tratamento da MPS IVA. No entanto, a proposta de PCDT (Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas) alvo desta Consulta Pública apresenta restrições graves, excluindo população que estima-se em 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 IVA, 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:</p> <p>I. Na página 11, no item 5.1.6. Tratamento cirúrgico. Não há nenhuma referência nesse item de que pacientes com MPS IVA 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 ou até mesmo a morte precoce.</p> <p>II. Na página 12, item 5.2 TRATAMENTO ESPECÍFICO “5.2.1 TRANSPLANTE DE CÉLULAS-TRONCO HEMATOPOIÉTICAS (TCTH) As evidências atualmente disponíveis sugerem que existem benefícios da realização de TCTH em indivíduos com MPS IVA, especialmente naqueles em idade precoce.</p>	<p>Artigos que embasam o parecer da empresa: Referências bibliográficas: Akyol MU, Tord D. TD, Amartino H et al. Recommendations for the management of MPS IVA: systematic evidence- and consensus-based guidance. Orphanet J Rare Dis. 2019; 14: 137.(VIMIZIM) [Bula do Produto]. São Paulo, Brasil; BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. BULA). Hendriks CJ, Burton B, Fleming TR, Harmatz P, Hughes D, Jones SA, Lin SP, Mengel E, Scarpa M, Valayannopoulos V, Giugliani R; STRIVE Investigators, Slasor P, Lounsbury D, Dummer W. Efficacy and safety of enzyme replacement therapy with BMN 110 (elosulfase alfa) for Morquio A syndrome (mucopolysaccharidosis IVA): a phase 3 randomised placebo-controlled study. J Inher Metab Dis. 2014 Nov;37(6):979-90 Harmatz PR et al. Impact of elosulfase alfa in patients with morquio A syndrome who have limited ambulation: An open-label, phase 2 study. Am J Med Genet A. 2017 Feb;173(2):375-383. Hendriks CJ, Harmatz P, Beck M, Jones S, Wood T, Lachman R, et al. Review of clinical presentation and diagnosis of mucopolysaccharidosis IVA. Vol. 110, Molecular Genetics and Metabolism. 2013. p. 54–64. Tomatsu S, Montano AM, Oikawa H, Smith M, Barrera L, Chinen Y, et al. Mucopolysaccharidosis type IVA (Morquio A disease): clinical review and current treatment. Curr Pharm Biotechnol. 2011;12(6):931–45 Peracha H, Sawamoto K, Averill L, Kecskemethy H, Theroux M, Thacker M, Nagao K, Pizarro C, Mackenzie W, Kobayashi H, Yamaguchi S, Suzuki Y, Orii K, Orii T, Fukao T, Tomatsu S. Molecular genetics and metabolism, special edition: Diagnosis, diagnosis and prognosis of Mucopolysaccharidosis IVA. Mol 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>(37, 38) Como a MPS IVA envolve principalmente complicações esqueléticas e o osso é um órgão de difícil acesso à TRE IV, haveria maiores possibilidades de melhora deste desfecho com o TCTH heterólogo não aparentado (39). Desta forma, indivíduos com MPS IVA 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 IVA e ainda não há um consenso de que pacientes com MPS sem comprometimento 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. 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 1 caso descrito era de paciente com MPS IVA, e os desfechos finais deste caso não foram apresentados na publicação – sucesso, insucesso, complicações ou óbitos. Tomatsu et al. 2015, publicaram um artigo de revisão sobre a possibilidade de TCTH, que cobria o caso já relatado anteriormente. Referem os autores que outros pacientes foram tratados com esta alternativa terapêutica no Japão, porém, não apresentaram dados ou referências na mesma. Yabe et al, 2016, publicaram série de 4 casos de TCTH, com longo período de seguimento e desfechos positivos. Porém, trata-se de publicação sobre o seguimento, não randomizado e baixo nível de evidência. Consoante com tal experiência e evidências, os autores do recente consenso sobre manejo de mucopolissacaridose IVA (Akyol et al., 2019) – um total de 194 especialistas de 24 países - foram</p>	<p>Metab. 2018 Sep;125(1-2):18-37. Harmatz P, Giugliani R, Schwartz I, et al. 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;148:533-539. Hendriksz CJ, Parini R, AlSayed MD, et al. Long-term endurance and safety of elosulfase alfa enzyme replacement therapy in patients with Morquio A syndrome. Mol Genet Metab. 2016a Jun 16. pii: S1096-7192(16)30117-2. Hendriksz C, Berger K, Parini R, et al. Impact of long-term elosulfase alfa treatment on respiratory function in patients with Morquio A syndrome. 2016b Aug 23. J Inher Metab Dis. American Thoracic Society. ATS statement: guidelines for the six-minute walk test. Am J Respir Crit Care Med. 2002; 166:111-117. Hughes D, Giugliani R, Guffon N, Jones SA, Mengel KE, Parini R, et al. Clinical outcomes in a subpopulation of adults with Morquio A syndrome: results from a long-term extension study of elosulfase alfa. Orphanet J Rare Dis. 2017;12(1):98. Hendriksz CJ, Parini R, AlSayed MD, Raiman J, Giugliani R, Solano ML, et al. Long-term endurance and safety of elosulfase alfa enzyme replacement therapy in patients with Morquio A syndrome. Mol Genet Metab. 2016;119(1-2):131-43. Hendriksz CJ, Berger KI, Parini R, AlSayed MD, Raiman J, Giugliani R, et al. Impact of long-term elosulfase alfa treatment on respiratory function in patients with Morquio A syndrome. J Inher Metab Dis. 2016;839-47. Long B, Tompkins T, Decker C, Jesaitis L, Khan S, Slasor P, et al. Long-term immunogenicity of Elosulfase Alfa in the</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>assertivos quanto a seu nível de recomendação: “Due to the lack of evidence related specifically to MPS IVA, and the recognised risks of transplantation, HSCT cannot be considered as a recommended therapy in patients with MPS IVA...” (Devido à falta de evidências relacionadas especificamente à MPS IVA, e os reconhecidos riscos do transplante, o TCHT não pode ser considerado como uma terapia recomendada em pacientes com MPS IVA, 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 no item 5.2.2.1 Critérios de Inclusão para TRE: Poderão fazer uso de alfaelosulfase todos os indivíduos com diagnóstico de MPS IVA realizado de acordo com o item 3 deste PCDT E:a) que tenham idade entre 0-4 anos de idade (ou seja, idade inferior a 5 anos completos)OUb) que tenham idade igual ou superior a 5 anos, sejam ambulantes e capazes de percorrer pelo menos 40 metros no teste da caminhada de 6 minutos.Vale ressaltar que a alfaelosulfase é a única medicação aprovada pela ANVISA e por vários órgãos regulatórios do mundo como terapia específica para MPS IVA. A MPS IVA deve ser tratada o mais precocemente possível por se tratar de uma doença de depósito progressiva.Os estudos com alfaelosulfase comprovaram sua eficácia e segurança em todas as faixas etárias, incluindo estudo pediátrico (Jones et al, 2015) que avaliou pacientes menores de 5 anos de idade (0,8-4,9 anos) mostrando segurança nessa população, assim como redução de GAGs urinários.Os estudos de Fase 3 (ECR) mostram um efeito positivo da alfaelosulfase em relação ao placebo, uma melhoria estatisticamente significativa em relação ao placebo no objetivo primário do estudo (TC6M). Vale</p>	<p>Treatment of Morquio A Syndrome: Results from MOR-005, a Phase III Extension Study. Clin Ther. 2017;39(1):118–129.e3.Hendriksz CJ, Lavery C, Coker M, et al. Burden of disease in patients with Morquio A syndrome: results from an international patient-reported outcomes survey. Orphanet J Rare Dis. 2014a;9:32.Hendriksz CJ, Lavery C, Coker M, et al. The burden endured by caregivers of patients with Morquio A Syndrome: results from an international patient-reported outcomes survey. J Inborn Errors Metab Screenings. 2014b;2:2326409814540872.Hendriksz CJ, Giugliani R, Harmatz P, Mengel E, Guffon N, Valayannopoulos V, et al. Multi-domain impact of elosulfase alfa in Morquio A syndrome in the pivotal phase III trial. Mol Genet Metab. 2015;114(2):178–85.Lampe C, Jain M, Olaye A, et al. Relationship between patient-reported outcomes and clinical outcomes in patients with Morquio A syndrome. J Inborn Errors Metab Screening. 2015;3:2326409815576188. doi: 10.1177/2326409815576188.Hendriksz CJ, Berger KI, Giugliani R. International guidelines for the management and treatment of Morquio A syndrome. Am J Med Genet A. 2015a;167A:11-25.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, BrasilRelatório 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</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>aqui discutir que os critérios de inclusão para o ECR incluíam pacientes maiores de cinco anos com deambulação presente, com a gravidade menos acentuada da doença. Além disso, outros desfechos secundários e terciários devem ser considerados como: prova de função pulmonar, função cardíaca, teste de destreza e força muscular, impacto na qualidade de vida e atividade da vida diária. O tratamento a longo prazo com alfaelosulfase continua a beneficiar os pacientes em detrimento da trajetória de declínio baseada na história natural. Os estudos de extensão de alfaelosulfase de 96 e 120 semanas apoiam os resultados de eficácia positivos do estudo de Fase 3 (Hendriksz, 2016 e Hughes, 2017). Eles também mostram que o tratamento a longo prazo com alfaelosulfase continua a beneficiar os pacientes, o que é clinicamente significativo, dada a trajetória natural baseada na história do declínio causado pela doença. Além disso, estudo de Fase 2, internacional, multicêntrico e aberto com pacientes com dificuldade de deambulação entre 9,8 e 42 anos de idade mostrou melhora na qualidade de vida e melhora da dor nessa população, além de benefícios subjetivos reportados pelos pacientes, sobretudo nos sintomas pulmonares (Harmatz et al., 2016). Assim, a restrição de indicação de TRE com a alfaelosulfase, baseada em idade ou mobilidade, de forma a replicar os critérios utilizados no Ensaio Clínico Randomizado (ECR) por Hendriksz et col (2014), 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:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. As evidências científicas publicadas e sintetizadas acima, que compõem um conjunto que respalda a segurança, a eficácia e a efetividade da alfaelosulfase em diferentes faixas etárias, com benefícios que vão além do ganho mensurado por meio dos testes de endurance (resistência) reportado no ECR fase 3;</li> <li>2. A recomendação apontada pela própria CONITEC em seus relatórios pós-Consultas Públicas (relatórios de</li> </ol>	<p>Health - Australian Government. Documento disponível em <a href="https://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/lsdp-criteria">https://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/lsdp-criteria</a> Common Drug Review (CDR); CADTH - Canada. Documento disponível em <a href="https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/complete/SR0456_complete_Vimizim_May-26_16.pdf">https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/complete/SR0456_complete_Vimizim_May-26_16.pdf</a> Inglaterra: <a href="https://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2019/04/nhs-england-drugs-list-v14.1.pdf">https://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2019/04/nhs-england-drugs-list-v14.1.pdf</a>; Detalhes do acordo de acesso gerenciado podem ser encontrados em: <a href="https://www.nice.org.uk/guidance/hst2/resources/managed-access-agreement-december-2015-pdf-2238935869">https://www.nice.org.uk/guidance/hst2/resources/managed-access-agreement-december-2015-pdf-2238935869</a> 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 Marrow Transplantation. Lancet. 1995;345(8962):1398-402. Tomatsu S, Sawamoto K, Alméciga-Díaz CJ, Shimada T, Bober MB, Chinen Y, et al. Impact of enzyme replacement therapy and hematopoietic stem cell transplantation in patients with Morquio A syndrome. Drug Des Devel Ther. 2015;9:1937-53. Yabe H, Tanaka A, Chinen Y, Kato S, Sawamoto K, Yasuda E, et al. Hematopoietic stem cell transplantation for Morquio A syndrome. Mol Genet Metab. 2016;117(2):84-94.</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>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.”<sup>3</sup>.<sup>3</sup> A experiência de mundo real de centros de referência, que reportaram benefício em distintas faixas etárias e com populações heterogêneas, conforme publicações de séries de casos ou por estudos de extensão. Ponto este reforçado por especialistas internacionais, incluindo o consenso por Akyol et col (2019).<sup>4</sup> As outras incorporações da alfaelosulfase nos sistemas de saúde, dentre os quais destacamos: a. <sup>1</sup> Sistema Nacional de Saúde da Inglaterra (NHS – National Health Service England), mediante avaliação e acordo de acesso gerenciado (managed access agreement) firmado entre representantes dos envolvidos no cuidado dos pacientes com MPS IV A: BioMarin Europe e BioMarin International Ltda, NHS England, MPS Society UK, Médicos especialistas, Organizações de pacientes e o National Institute of Clinical Excellence (NICE); b. <sup>2</sup> sistema de saúde Australiano, por meio de inclusão da alfaelosulfase no “programa de medicamentos que salvam vidas” (LSDP – Life Saving Drug Program); c. <sup>3</sup> sistema de saúde Canadense, por meio de recomendação do CADTH (Canadian Agency for Drugs and Technology in Health), que recomendou a incorporação da alfaelosulfase independentemente de faixa etária ou limitação de capacidade de deambulação. Ressalte-se que o medicamento encontra-se comercializado em 53 países, com reembolso por mecanismos nacionais ou regionais em 27 destes.<sup>5</sup> <sup>4</sup> 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</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>           mobilidade.IV. Na página 13 onde contém o item:            5.2.2.2 Critérios de Exclusão de TRESerão excluídos do tratamento com alfaelosulfase os pacientes que se enquadrarem nas seguintes situações:            Paciente com idade igual ou superior a 5 anos e que não percorram pelo menos 40 metros no teste da caminhada de 6 minutos;            Condição médica irreversível e que implique em sobrevida provavelmente &lt; 6 meses como resultado da MPS IVA ou de outra doença associada, em acordo entre mais de um especialista;            Pacientes com idade &gt; 18 anos que, após serem informados sobre os potenciais riscos e benefícios associados ao tratamento com alfaelosulfase, 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 1 ano.Em relação ao primeiro item, que restringe o tratamento de acordo com a mobilidade (40 metros), vale discutir que é sabido que pacientes com Morquio A têm limitações de qualidade de vida causadas por baixa resistência e mobilidade prejudicada (Hendriksz, 2013). Tais limitações são mais graves em pacientes não tratados com alfaelosulfase, conforme demonstrado em estudo de história natural como grupo controle do estudo de extensão.As deficiências respiratórias e cardiovasculares desempenham um papel significativo, juntamente com anormalidades musculoesqueléticas clássicas, na redução da força e resistência. A baixa resistência gera aos pacientes uma maior dependência de auxílio na caminhada e uso de cadeiras de rodas, o que tem mostrado impacto direto na qualidade de vida. A incapacidade para o trabalho está associada a uma qualidade de vida significativamente menor (Hendriksz, 2014a).Em um estudo com 24 pacientes alemães com Morquio A foi demonstrada uma correlação forte e estatisticamente significativa entre a capacidade de andar (TC6) e subir escadas (3MSCT) e a qualidade de vida dos pacientes medida pelo EuroQoL (EQ) 5D-5L         </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>(EQ5D-5L) (TC6, R = 0,884; 3MSCT, R = 0,852) (Lampe, 2015).O uso da alfaelosulfase a longo prazo também foi associada com uma maior resistência e melhora no desempenho das atividades do dia-a-dia. A alfaelosulfase apresenta um perfil de segurança aceitável, a curto prazo e a longo prazo. V. Na página 14, no item 5.2.2.5: Esquema de administração. Lê-se que o peso de 20 kg que deve receber 250 mL de SF0,9: no entanto a bula de alfaelosulfase diz que: Para pacientes com menos de 25 kg, a alfaelosulfase não deve ser preparada em bolsas de solução salina maiores que 100 mL. Quando diluída em 100 mL, a taxa de infusão inicial deve ser de 3 mL/h. A taxa de infusão pode ser aumentada conforme tolerância, a cada 15 minutos como segue: primeiro, aumentar a taxa para 6 mL/h, depois, a cada 15 minutos, em incrementos de 6 mL/h até a taxa máxima de 36 mL/h ser atingida.Quando diluída em 250 mL, para pacientes com mais de 25 kg, a taxa de infusão inicial deve ser de 6 mL/h. A taxa de infusão pode ser aumentada conforme tolerância, a cada 15 minutos, como segue: primeiro, aumentar a taxa para 12 mL/h, depois, a cada 15 minutos, em incrementos de 12 mL/h até a taxa máxima de 72 mL/h ser atingida.Portanto, sugere-se a correção desse item para o peso de 25 kg e não de 20 kg.VI. Na página 15 no item 6. TEMPO DE TRATAMENTO – CRITÉRIOS DE INTERRUPÇÃO a) Pacientes com idade igual ou superior a 5 anos que não apresentarem melhora após 6 meses de tratamento em alguma das seguintes manifestações clínicas que comprovadamente respondem ao tratamento com TRE: teste da caminhada de 6 minutos (melhora de pelo menos 20 metros); redução de pelo menos 30% dos níveis de GAGs urinários em comparação aos níveis basais;b) Pacientes com idade inferior a 5 anos que não apresentarem melhora após 6 meses de tratamento nos níveis de GAGs urinários em relação aos níveis basais (espera-se redução de pelo menos 30% dos mesmos);Em relação aos dois primeiros itens, sobre critérios de interrupção, discute-se mais profundamente na Europa e em outros países avaliações mais criteriosas de endurance em pacientes com</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>dificuldade de deambulação, como o teste adaptado de 25 pés e avaliação de outros parâmetros clínicos como teste de destreza e qualidade de vida (Harmatz, 2016). Sabe-se que a excreção de GAGs urinários em pacientes com MPS IVA, dependendo da faixa etária e da gravidade da doença, é reduzida. Vale ressaltar que é importante comparar com sua linha de base, ou seja, antes de se iniciar a TRE. Conclusões: Com base nos resultados dessa análise e em resposta a essa proposta de PCDT, sugere-se cautela no tocante ao TCTH, bem como a 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 da Consulta Pública da alfaelossulfase, faz-se necessária a 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. Não por outro motivo, 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 Austrália.</p>		
24/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Sim, Não deixar nenhum paciente para trás	Todos têm direito ao tratamento de forma igualitária	
24/08/2019	Interessado no tema	Muito ruim	Não	Nenhum deve ser excluído	
24/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	Que não haja critérios de exclusão	

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	Profissional de saúde	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	<a href="#">Clique aqui</a>
24/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, alterar a indicação de transplante. No último guideline mundial publicado, foi um consenso de 98% que não há indicação de transplante para esse tipo de MPS. Outro ponto seria não limitar a mobilidade como um critério de indicação de terapia enzimática. A Síndrome de MPS IVA afeta gravemente as articulações e a coluna vertebral, pacientes com essa doença perderão sua mobilidade caso não sejam submetidos a cirurgias precoces de descompressão medular, cirurgias de displasia coxofemoral bilateral com utilização de próteses. Além disso, diversos artigos como estudo de fase que avaliou dor e teste de destreza mostrou melhora em pacientes com a dose aprovada em bula (ANVISA). Alfaelossulfase é aprovada há 5 anos por agências regulatórias do mundo sem restrição de indicação por fenótipo ou status de mobilidade.	A terapia enzimática incorporada pelo SUS é um direito de todos os indivíduos com MPS IVA. O paciente assim como sua família tem o direito de receber a terapia específica, assim como receber a informação correta por profissionais capacitados em centros de referência quais são os benefícios da terapia em todos os aspectos. A terapia de reposição enzimática mostrou melhora da função pulmonar e cardíaca mesmo em pacientes com alterações de mobilidade. outros estudos devem ser adicionados ao PCDT.	<a href="#">Clique aqui</a>
24/08/2019	Paciente	Ruim	Não	Isso precisa ser aprovado com urgência para não morrer mais 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
25/08/2019	Profissional de saúde	Regular	<p>Sim, A Mucopolissacaridose IVA (MPS IVA ou Síndrome de Morquio A, CID 10: E76.2, OMIM 253000) pertence ao grupo dos erros inatos do metabolismo dos glicosaminoglicanos (GAGs), sendo geneticamente determinada, herdada em caráter autossômico recessivo. Na MPS IVA, há deficiência da enzima N acetilgalactosamina-6 sulfatase (GALNS, OMIM 612222), 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 queratan sulfato e condroitina 6-sulfato. A MPS IVA manifesta-se de forma crônica e progressiva, como doença multissistêmica, sendo observado o seguinte quadro clínico: baixa estatura, tronco curto, macrocefalia, face grosseira, prognatismo, hirsutismo, perda da audição, glaucoma, opacificação corneana, macrostomia, aumento do espaço interdental, esmalte acinzentado, cáries dentárias, acometimento valvar (valvas aórtica e mitral), infecções respiratórias de repetição, distúrbio respiratório restritivo, hérnia inguinal, hepatomegalia, osteoporose, platispondilia, hipoplasia de odontoide, subluxação cervical, cifose, corpos vertebrais ovoides, hiperlordose, escoliose, coxa valga, lassidão ligamentar, genu valgu, mielopatia cervical, porém com inteligência normal. O fenótipo é variável quanto à gravidade, porém, os pacientes com fenótipo grave geralmente não sobrevivem após a segunda ou terceira década de vida. Porém, o devastador quadro clínico da MPS IVA tem sido modificado pela Terapia de Reposição Enzimática (TRE) com o medicamento Elosulfase alfa (Vimizim®). Trata-se de uma variante da enzima humana N acetilgalactosamina-6 sulfatase, produzida através da tecnologia do DNA recombinante. A substância, infundida por via endovenosa semanalmente nos pacientes com MPS IVA, funciona como fonte exógena da enzima, aumentando o catabolismo dos glicosaminoglicanos. Estudos clínicos com Elosulfase alfa em pacientes com MPS IVA mostraram melhora</p>	<p>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 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</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>significativa da capacidade respiratória e da marcha, além de redução da excreção urinária de glicosaminoglicanos. Não há contra-indicações significativas para o uso da elosulfase alfa. Ressalto também, que não há outro produto similar no Brasil e no mercado mundial capaz de substituir o Vimizim® no tratamento da MPS IVA, o que o caracteriza como droga-órfã. O Elosulfase alfa possui registro na ANVISA: 173330002, de 08/12/2014. Neste momento, uma paciente com MPS IVA é atendida 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) e recebe infusões semanais com Elosulfase alfa há mais de 1 ano, sem apresentar quaisquer efeitos adversos. Em virtude do acima exposto, concluo que Elosulfase alfa modifica o grave curso natural da MPS IVA e deve ser incorporado com celeridade no rol de medicamentos fornecidos pelo SUS para o tratamento dos pacientes tão logo seja feito o diagnóstico MPS IVA, 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.</p>	<p>geneticista no HUCAM/UFES/EBSERH. Tais informações podem ser confirmadas no site Plataforma Lattes do CNPq (<a href="http://lattes.cnpq.br/6438981250094401">http://lattes.cnpq.br/6438981250094401</a>). 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	Regular	<p>Sim, Critérios de inclusão devem ser reavaliado, tanto em caso de pacientes com Morqui A, abaixo de 5 anos que são deambulantes e tornam-se não demambulantes durante o tratamento. Além disso, os pacientes não deambulantes não podem ser excluídos do tratamento, pois os resultados dos estudos clinicos não estão baseados na resposta terapeutica das manifestações esqueléticas e sim sobre os parametros de capacidade ventilatória, redução de GAGs. O teste de caminhada é um avaliador de capacidade respiratória e não pode ser realizado em pacientes com grave displasia óssea. Nestes casos, o teste de caminhada não pode mais ser utilizado como parametro de resposta clinica, pois a limitação esquelética limita este teste. Diante disso, discriminar paciente não deambulantes seria um erro de avaliação, visto que as funções respiratórias e cardiovasculares seriam preservadas com a manutenção do tratamento. Sabe-se que em doenças lisossomicas de depósito, há mais danos ocasionados pelo acúmulo de material não degradado, mas sim há um processo inflamatório crônico que pode ser evitado. Acompanh</p>	<p>Não é possível discriminar não deambulantes do protocolo clínico bibliografia recomendada Harnatz PR et al. Impact of elosulfase alfa in patients with morquio A syndrome who have limited ambulation: An open-label, phase 2 study. Am J Med Genet A. 2017</p>	<a href="#">Clique aqui</a>

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, Tenho 27 pacientes com MPSIVA e minha experiência com a TRE me leva a considerar absurdas as restrições da PCDT para MPSIVA, , considerando que:1- MPSIVA é uma doença rara e, como tal, de difícil diagnóstico!! Como limitar o tratamento aos pacientes com diagnóstico até os 5 anos de idade?! A idade média de diagnóstico de nossos pacientes é superior a 20 anos, o que não difere muito de outras regiões do país, pois publicação brasileira mostra a longa peregrinação dos pacientes durante anos, passando por diversos especialistas até obter o diagnóstico! O médico geeticita é sem dúvida o profissional mais habilitado para fazer mais precocemente o diagnóstico, mas setrata de uma especialidade com pouco mais de 300 profissionais em todo o Brasil.!2-A MPSIVA é uma doença progressiva, como então esperar que os pacientes tendo um diagnóstico tardio, por se tratar de doença rara, ainda apresente capacidade de deambulação que satisfaça este PCDT proposto?! 3-abe-se que a progressão da MPSIVA não ocorre da mesma forma em todos os órgãos e sistemas. Não ter capacidade de deambular os 40 metros em 6 minutos não significa que o paciente sob TRE não terá uma melhora significativa na capacidade respiratória, resistência e qualidade de vida !! É essa a nossa observação no acompanhamento de pacientes com MPSIVA e referendada por artigos científicos, muitos deles citados no PCDT.4- capacidade de deambulação dos pacientes MPSIVA comprovadamente aumenta após 6 meses de TRE e continua melhorando. Devo então, de acordo com o proposto PCDT, impedir que uma paciente que deambula receba a TRE porque não consegue deambular exatamente os 40 metros em 6 minutos ?!!! Essa capacidade de deambulação muitas pacientes poderão adquirir e ultrapassar com a TRE! 5- caso a PCDT proposta seja aprovada, aproximadamente 2/3 dos meus pacientes ficarão sem TRE! Sempre nós médicos explicamos aos pacientes com MPSIVA a importância da regularidade do tratamento. Enfatizamos que se trata de uma doença de depósito, progressiva e fatal, sem o tratamento específico.</p>	<p>Além da utopia de diagnóstico precoce de uma doença rara como MPSIVA para ter direito à TRE, o PCDT propõe que "indivíduos com MPS IVA até 6 anos de idade, deverão ser encaminhados a centros transplantadores de referência, a fim de ser verificada a possibilidade de realização de TCTH", o que considero que além da elevada mortalidade inerente ao procedimento, é escassa a experiência mundial de TCTH em pacientes com MPSIVA, como segue: 1-Referência citada no PCDT (39) : No systemic report on a long-term effect of hematopoietic stem cell transplantation (HSCT) for Morquio A has been described. We conducted HSCT for 4 cases with Morquio A (age at HSCT: 4–15 years, mean 10.5 years). Dos 4 pacientes, um precisou de cirurgia ortopédica2-conclusão do artigo acima é: the long-term study of HSCT has demonstrated therapeutic effect in amelioration of progression of the disease in respiratory function, ADL, and biochemical findings, suggesting that C is a therapeutic option for patients with Morquio A. Ora, esses benefícios obtidos com a HSCT podem ser igualmente obtidos com a TRE sem expor o paciente ao risco de morte! 3-Dados referentes a transplante em MPS I incluem taxa de mortalidade de cerca de 25% em centros de referência fora do Brasil. 4-elo exposto acima, opino que a HSCT não deva ser considerada como opção terapêutica para MPSIVA, pois seria o mesmo que recomendar uma droga sem teste de eficácia e segurança.</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
			Acompanhamos com grande preocupação as dificuldades respiratórias, de resistência e depressão que os pacientes experimentam cada vez há falta de fornecimento da enzima . Com essa PCDT proposta, que explicação teremos para justificar a suspensão definitiva da TRE? São pacientes com inteligência normal , sabendo portanto que sem a TRE terão uma piora clínica progressiva e antecipação do óbito! 6-Se fizermos uma analogia da MPSIVA com a diabetes, será que o paciente diabético com complicações que o impedem de deambular, enxergar, deveria deixar de receber insulina, já que ela não é capaz de reverter as complicações instaladas? Sabe-se que a TRE para MPSIVA não reverte também as sequelas da doença , mas sabe-se que insulina na diabetes e TRE na MPSIVA ambas impedem ou tornam mais lenta a progressão das respectivas doenças, prolongam a vida e asseguram uma qualidade de vida aos pacientes !		
26/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito boa	Não	Esse foi um a dissertação de mestrado realizado no IFF-Fiocruz sobre o tema	<a href="#">Clique aqui</a>
26/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, EU GOSTARIA DE RETIRAR A DECISÃO EUGÊNICA DE QUE CADEIRANTES DEVEM SER PENALIZADOS E NÃO TER ACESSO AO MEDICAMENTO.	DA FORMA COMO ENTENDO, TAL PCDT INVIABILIZARÁ O ACESSO A METADE DOS PACIENTES QUE TEM ESTA DOENÇA.	
26/08/2019	Profissional de saúde	Boa	Sim, A restrição para pacientes com idade menor 5 anos e deambulando. A Terapia de Reposição enzimática é o tratamento mais importante das MPS. Pacientes com idade superior a 5 anos também necessitam na terapia. Se o paciente não deambula ele tem grave comprometimento osteoarticular e necessita da terapia.	A restrição de idade e deambulação para tratamento da MPS IV.	
26/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	EU SOU MÃE DE UMA CRIANÇA COM MPS E TEMO MUITO PELA CIDA DO MEU FILHO POIS JA PERDI 3 FILHOS	
26/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Não	a VIDA DO MEU FILHO NÃO TEM PREÇO ESSA MEDIDA É IRREAL PARA OS PACIENTES DE MPS AQUI NO Brasil.	

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, O tratamento foi liberado apenas a pacientes com idade abaixo de 5 anos de idade. Já para os pacientes com idade superior, somente aos pacientes ambulantes capazes de caminhar ao menos 40 metros no teste de caminhada de 06 minutos, sem levar em consideração o status clínico e funcional de outros orgaos-alvo, funciona do paciente. I	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 mostra 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	
26/08/2019	Especialista no tema do protocolo	Muito ruim	Sim, O tratamento foi liberado apenas a pacientes com idade abaixo de 5 anos de idade. Já para os pacientes com idade superior, somente aos pacientes ambulantes capazes de caminhar ao menos 40 metros no teste de caminhada de 06 minutos, sem levar em consideração o status clínico, função de outros orgaos-alvo e vida funcional do paciente.	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 mostra 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	
26/08/2019	Profissional de saúde	Regular	Sim, Considero a proposta de liberação do medicamento para pacientes apenas que deambulam limitado pelo benefício em relação a outros sistemas que não somente o osteoarticular , como: sistema cardiovascular e pulmonar /respiratório	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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Fico feliz em saber que estão avançando e confiante que a disponibilização das tecnologias previstas no PCDT serão muito em breve incorporadas ao SUS. Quando parlamentar, fiz apelo nesse sentido e sempre procurei chamar atenção das autoridades para que os portadores de doenças raras pudessem receber as medicações devidas e os tratamentos apropriados, que pudessem ser assistidos de maneira integral e lhe fossem garantido o direito de viver, com qualidade de vida. Há muito tempo acompanho Patrick Dorneles, portador de MPS e ativista na luta dos portadores de doenças raras no Brasil, e posso afirmar que são grandes os entraves enfrentados por ele e por milhões de brasileiros com patologias incuráveis, que enfrentam uma verdadeira via-crúcis para terem acesso a medicações, tratamentos e tecnologias.	

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.	<a href="#">Clique aqui</a>
26/08/2019	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Saúde é um 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
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.	
26/08/2019	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, Em relacao a idade do inicio da terapia de reposicao enzimática(TRE) nao deveria haver limite de faixa etária porque todos pacientes independente da idade se beneficiam com o único tratamento existente, a única esperanca com a Elosulfase Alfa.Porque a medicacao mesmo nao ultrapassando a barreira hematoencefálica ela muda o prognóstico , a qualidade de vida em geral e as complicacoes devido ao fato que diminui o depósito de GAGS nas fibras cardíacas, vísceras abdominais, tecido conectivo, vias aéreas, pulmão, ossos. Aumenta a sobrevida, melhora o sono, função dos orgaos acometidos pela doenca,melhora a movimentacao motora, diminui a número de infeccoes. Os pacientes tardiamente diagnosticados saem do alacance terapêutico do transplante de medula óssea restando apenas a TRE	NAO	<a href="#">Clique aqui</a>

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>	<a href="#">Clique aqui</a>

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	Profissional de saúde	Regular	Sim, Os pacientes não deambulantes não devem ser excluídos do PCDT, uma vez que se trata de condição multissistêmica e considerar indicação de tratamento apenas pela capacidade de deambulação restringe os pacientes não deambulantes dos demais benefícios da terapia.	Pacientes não deambulantes correspondem a parcela importante dos casos que serão privados de terapia específica se não houver adequação do protocolo.	
26/08/2019	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, Não aos critérios de exclusão!	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.	

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 IVA, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada	Surgiu que seja concedido a medicação para todos os pacientes com MPS IV A, 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.	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.	

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?</b>	<b>Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)</b>	<b>Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?</b>	<b>Referência</b>
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 IVa, 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 IVa,  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, 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 IVa, 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 IVa, com a ressalva de que o médico decida quando e qual o tratamento adequado para cada paciente.	