

Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Lumacaftor e ivacaftor para tratamento de fibrose cística (FC) - Conitec

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
12/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
13/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Sim, Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014). 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Sim, Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. Tratamento da doença</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p>	
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. - Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim, - Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para queos pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mastambém na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladorese corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença(MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para queos pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mastambém na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladorese corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença(MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Sim, Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para queos pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mastambém na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladorese corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença(MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Todos os medicamentos são de uso paliativos para a doença. Está seria a chance de estabilizar a doença, atuando diretamente no defeito genético do paciente. É comprovado em estudos, que o uso desse medicamento sozinho após um certo tempo já melhora o quadro, com isso o paciente poderia suspender o uso dos demais remédios.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim, Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença(MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Já existem evidências científicas publicadas suficientes que o Orkambi é capaz de corrigir os defeitos da proteína CFTR nas membranas celulares e trás efeitos bastante benéficos aos pacientes como redução dos níveis de cloro no suor, melhora da função pulmonar, ganho de peso, ganho de massa muscular, redução do número de exacerbações e melhora significativa da qualidade de vida dos pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Cada vez mais as evidências clínicas são favoráveis ao uso contínuo do Orkambi em Pacientes com Fibrose Cística que tenham as mutações indicadas. Exemplos vindos da Europa mostram significativas mudanças no estado geral de pacientes com 2 meses de uso da medicação. Inclusive com redução do numero de internamentos hospitalares.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Certamente que o valor gastos em internamentos hospitalares e medicamentos antibióticos venosos ou orais, suplementos nutricionais para garantir uma dieta hipercalórica dispendem muito mais que o valor gasto com o Orkambi.</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim, Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionado benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim, Com as novas estratégias terapêuticas, é importante que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, tratando não apenas os sintomas, mas também sua causa, como, por exemplo, com o uso de medicamentos moduladores e corretores de CFTR. (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. - Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. - Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim, - Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Os pacientes precisam desses medicamentos e eles deveriam ser fornecidos pelo governo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. O medicamento é um dos poucos que possibilita o verdadeiro tratamento da doença e tem demonstrado bons resultados internacionalmente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. O medicamento é um dos poucos que possibilita o verdadeiro tratamento da doença e tem demonstrado bons resultados internacionalmente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim, Embora os resultados na função pulmonar são modestos, a estabilização da doença pulmonar e a redução nas taxas de exacerbação ao longo do tempo justificam o uso clínico dessa medicação para a mutação mais comum encontrada na Fibrose Cística.</p> <p>3ª - Sim, A redução nas taxas de internação hospitalar contribui para uma redução nos custos do tratamento</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Seria muito bom esse medicamento para as crianças e adolescentes. Ajudaria demais as famílias com o problema de saúde bem como a saúde e bem estar delas !</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Os remédios atuais só tratam o sintoma e a doença evolui, Muitos morrem ou vai pra fila de transplante de pulmão, mesmo tratando eles estão piorando, e muitos vindo a óbito.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. É importante para que os pacientes possam ter uma nova perspectiva do controle da doença, não agindo somente no controle dos sintomas mas sim em sua causa como medicamentos modificadores da própria doença agindo logo no gene CFTR como nos é ensinado beneficiando então a morbidade da doença</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. - Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. No Brasil não tem tratamento 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. No Brasil não tem tratamento curativo da Fibrose 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. No Brasil não tem tratamento curativo para Fibrose 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
13/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
13/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Desfavorável. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Desfavorável.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Gente, esses remédios são essenciais e muitas pessoas não tem direito pra pagar.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, São vidas que precisam ser cuidadas e o Estado precisa ter esse cuidado.</p>	
14/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. É necessário a inclusão destes medicamentos</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Diferentemente dos tratamentos atualmente vigentes para o tratamento da Fibrose Cística, como alfadornase e pancreatina que atuam apenas nas consequências da doença, o Lumacaftor/Ivacaftor apresenta ação direta na mutação do gene CFTR normalizando a função desta proteína. Com isso, há uma melhora importante tanto de sintomas, da função pulmonar, e lesões na tomografia de tórax, com redução das taxas de exacerbações e internações, bem como melhora da qualidade de vida nunca antes alcançadas por outros tratamentos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

[Clique aqui](#)

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Os remédios atuais tratam apenas os sintomas, os pacientes permanecem ruins mesmo com o tratamento. Existem muitos que estão na fila de espera para um transplante de pulmão, e outros não resistem, e se existe uma esperança que seja feito.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Todos devem ter direito ao tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. sendo doença crônica e de mutação grave, sem terapêuticas curativas no momento, deve-se liberar a medicação aos pacientes, visando a qualidade de vida deles</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. - Com as novas estratégias terapêuticas, é importante para que os pacientes possam ter um melhor controle da doença, agindo não apenas nos sintomas, mas também na causa, como medicamentos modificadores da doença (por exemplo: moduladores e corretores de CFTR), proporcionando benefícios à morbimortalidade relacionada à doença (MARTINIANO et al., 2014).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Os pacientes precisam dessa medicação</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
15/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
15/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Nso hs nenhum tratamento similar para a Fibrose cística mutação delta F 508 homozigoto.</p> <p>2ª - Sim, Paciente ganhou 6kg em apenas 9 meses de uso do medicamento. Cresceu 3cm, nso tece nenhuma intercorrência alérgica e de saúde, nem mesmo um resfriado. A melhora do seu quadro geral foi significativa. A fibrose cística que nso tem cura. Este medicamento é capaz de evitar danos pulmonares e pancreáticos que são irreparáveis. Hoje no Brasil a expectativa de vida de um paciente com fibrose cística e de 20 anos.</p> <p>3ª - Sim, Não há nenhum medicamento para tratamento da doença como este capaz de tratar a doença Fibrose Cística.</p> <p>4ª - Sim, O meu paciente apresentou melhoras no quadro respiratório e no quadro nutricional. Ganho de peso com e altura, melhora na imunidade. A vida do paciente passou a ser outra, com muito mais saúde. Redução das colonizações bacterianas.</p> <p>5ª - Sim, Não nenhum medicamento como este aprovado para o tratamento da fibrose cística mutação delta F 508 homozigoto.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Nso hs nenhum tratamento similar para a Fibrose cística mutação delta F 508 homozigoto.</p> <p>2ª - Sim, Paciente ganhou 6kg em apenas 9 meses de uso do medicamento. Cresceu 3cm, nso tece nenhuma intercorrência alérgica e de saúde, nem mesmo um resfriado. A melhora do seu quadro geral foi significativa. A fibrose cística que nso tem cura. Este medicamento é capaz de evitar danos pulmonares e pancreáticos que são irreparáveis. Hoje no Brasil a expectativa de vida de um paciente com fibrose cística e de 20 anos.</p> <p>3ª - Sim, Não há nenhum medicamento para tratamento da doença como este capaz de tratar a doença Fibrose Cística.</p> <p>4ª - Sim, O meu paciente apresentou melhoras no quadro respiratório e no quadro nutricional. Ganho de peso com e altura, melhora na imunidade. A vida do paciente passou a ser outra, com muito mais saúde. Redução das colonizações bacterianas.</p> <p>5ª - Sim, Não nenhum medicamento como este aprovado para o tratamento da fibrose cística mutação delta F 508 homozigoto.</p>	
16/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Os reguladores da cftrs melhora qualidade de vida dos pacientes e reduz número de internações.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
16/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Todos tem direito à vida.</p> <p>2ª - Sim, Os estudos clínicos referente ao lumacaftor-Ivacfator, nome comercial Orkambi, evidenciam melhora da função pulmonar através da variável VEF1, aumenta o índice de massa corporal, diminuição nos ciclos de antibióticos intravenosos e a taxa de hospitalização anual foi menor. Cito dois papers publicados em dois períodos muito respeitados na comunidade científica, um da Am J Resp Crit Care Med 2020 e o outro do J Cystic Fibrosis 2018. Segue em anexo .</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Segue uma carta em anexo.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
16/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Sim, Há estudos que comprovam a melhora clínica de pacientes em uso da medicação em questao 3ª - Sim, Considero que a questao econômica não pode interferir nesta chance fundamental de obtermos uma melhora na sobrevida de pacientes com FC. E há estudos que comprovam sua eficiência. 4ª - Não 5ª - Não	
16/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
16/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Sim, 3ª - Sim, 4ª - Sim, 5ª - Sim,	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. Deus não faz acepção de pessoas. Para dor não existe escolha</p> <p>2ª - Sim, Melhoria na qualidade de vida do paciente e de toda família Menos cansaço respiratório Melhor introdução na rotina do paciente na sociedade</p> <p>3ª - Sim, Existe um planejamento justamente para isso , melhoria nas políticas públicas</p> <p>4ª - Sim, Existem um poder público justamente para isso melhor distribuição dos gastos</p> <p>5ª - Sim, É necessário devolver a qualidade de vida das pessoas , para isso o dinheiro público precisa ser bem distribuído</p>	
17/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. As evidências mostram benefício do tratamento para a qualidade de vida e preservação da função pulmonar desses pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. A Fibrose Cística esteve sempre presente na vida de minha família, sua condição degenerativa e absolutamente incapacitante é uma das dificuldades que sempre tivemos em nosso grupo familiar. Meu irmão portador desta nosologia sempre teve uma vida marcada por o uso de inúmeros medicamentos para controle do pâncreas, fígado e pulmão, além de ter se submetido a várias cirurgias na obtenção tanto de testes operados no Hospitais das Clínicas Unicamp quanto para inserir o balão de oxigênio (Última cirurgia realizada), visto que sua capacidade pulmonar está atualmente em 20% e ele necessita dos balões de oxigênio 24 horas. Em sua condição atual e evolutiva da doença ele não consegue mais percorrer distâncias do quarto para a cozinha sem ficar com falta de ar, não desce escadas, as vezes não consegue tomar banho sozinho e ele só possui 21 anos. Tenho inteira consciência da responsabilidade da CONITEC na incorporação do medicamento na rede dos SUS, pois sei que meu irmão não irá suportar por muito tempo o quadro de vida que ele está vivendo, ele já não possui muitas esperanças quanto a sua condição atual de vida e também o transplante parece ser algo cada vez mais distante visto que ele pesa 42 quilos e possui um sangue raro (O-). Enquanto Psicólogo clínico posso ver que a condição psicológica do meu irmão está se ruindo cada vez mais e sei que ele precisa desta medicação para não desistir de viver e ter a chance de voltar a ter saúde, jogar bola, praticar esportes, coisas que ele sempre amou e praticou enquanto a doença não o limitava. O sonho dele era ser jogador de futebol e sei que talvez este sonho já tenha sido perdido devido a sua idade, mas sei que neste momento o maior sonho de sua vida é estar vivo e por isso ele precisa dessa medicação. Em tempos de Pandemia da COVID- 19 já fazem meses que eu não o vejo por conta de sua condição vulnerável ao vírus, mas eu amo meu irmão e ainda quero que ele participe da minha vida e da vida de minha família. Por favor CONITEC permita que eu possa ainda, em um futuro próximo, desfrutar da presença dele na minha vida ele é muito importante pra mim e toda minha família, ele precisa deste medicamento para enfim viver.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Este medicamento contribui para dar mais qualidade de vida e sobrevida aos pacientes em tratamento de Fibrose Cística. Portanto, o SUS deve receber este medicamento para ajudar os pacientes em tal situação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Isso salva vida direito de uma criança</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Está é uma doença muito agressiva os pacientes já sofrem o suficiente, não a necessidade de o governo não fornecer este medicamento, medicamento inclusive que os pais não tem como manter é dever o governo atender estas famílias e não desamparalas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
17/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. O remédio e de suma importancia aos pacientes e maioria das famílias não tem condições de comprar, os remédios liberados hj trata os sintomas e não a doença sendo.q.muitos vem a obto.</p> <p>2ª - Sim, Minha contribuição e postando sobre a doença e esclarecendo pois muitas pessoas desconhecem a existência da mesma.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
17/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Minha prima tem fibrose cistica e sofre por muitos anos com isso, é apenas uma criança, ela e sua família tem lutado dia após dia para conseguir dar o melhor, mas sabemos todos que é complicado, graças a Deus que traz sempre o sustento! A medicação deve ser incluída sim no SUS para que muitas pessoas possam ser ajudadas e tratadas da forma que merecem. O melhor deve ser feito!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
18/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. É obrigação do estado zelar pela saúde de seus cidadãos, nesse contexto deve fornecer todo e qualquer medicamento que possibilite o aumento da sobrevida e qualidade de vida de qualquer paciente brasileiro, independente de questões econômicas.</p> <p>2ª - Sim, Países que utilizam esse medicamento em pacientes de fibrose cística tem apresentado uma expectativa de vida maior para os pacientes, ele de melhorar a qualidade de vida.</p> <p>3ª - Sim, Nenhum aspecto econômico deve sobrepor o possibilidade de melhorar a qualidade de vida e sobrevida de pacientes, pois essa é uma obrigação do Estado, conforme deixa claro nossa constituição.</p> <p>4ª - Sim, Da mesma forma que os aspectos econômicos, a questão orçamentária não pode ser empecilho para salvar vidas.</p> <p>5ª - Sim, Tive oportunidade de conhecer uma criança com fibrose cística, ela é linda, inteligente, sensível, alegre, com pais que buscam fazer de tudo para que ele tenha uma vida leve e feliz, o Estado não pode ser insensível a isso. A Conitec tem que buscar sempre medicamentos que permitam prolongar a vida é melhorar a qualidade de vida dos pacientes, e o Estado tem obrigação de fornecer os recursos para isso.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
18/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Tem que haver a possibilidade de cura !Não podemos deixar nossas crianças morrerem ! 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
18/08/2020	Interessado no tema	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
18/08/2020	Interessado no tema	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
18/08/2020	Interessado no tema	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
18/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
18/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A Fibrose Cística é uma doença rara porem é a doença rara mais comum no Brasil com grande número de casos... o tratamento pode evitar o transplante pulmonar que hoje ainda é o único meio para aumentar a expectativa de vida desses pacientes que pode aumentar muito com essa nova medicação</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes testados obtiveram uma resposta muito positiva ao tratamento tendo uma melhorava curto prazo diferente de outros tratamentos já testados</p> <p>3ª - Sim, Saúde é direito de todos e dever do Estado... apenas a lei e neste caso nem diria saúde e sim a vida</p> <p>4ª - Sim, Pacientes com fibrose cística tem durante sua vida várias internações com mais de 15 dias e com antibióticos caros a maioria pelo sus...Pacientes chegam a internar mais de 4 vezes ao ano...Essa nova possibilidade de tratamento irá diminuir muito as internações dando mais qualidade no tratamento para os pacientes ao invés de internações frequentes e econômica as sus... Ambos irão ganhar</p> <p>5ª - Não</p>	
19/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. A vida não tem preço.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
19/08/2020	Paciente	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. Não tenho conhecimento sobre o assunto.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	Clique aqui
19/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Essas medicações trazem melhorias contínuas para o não avanço da doença e também melhora na qualidade de vida do portador da doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo. A vida com fibrose Cística não é nada fácil. Nossa rotina é de muitos cuidados e muito desgastante. No entanto todos esses cuidados e medicações que usamos São apenas avaliativas. Nada ainda existe gratuitamente que de fato nos ajude a melhorar.</p> <p>2ª - Sim, Me coloco a disposição para dar o informações de como o medicamento age em nossa melhora. Caso tenha a chance de utilizar a medicação.</p> <p>3ª - Sim, Independente do valor, está na constituição que temos direito a saúde. Então penso que é obrigação do estado garantir isso a todos.</p> <p>4ª - Sim, Vemos diariamente muitos gastos com verbas de gabinetes para compra de cotas para ser aprovado essa ou aquela lei. Apenas jogos de interesse, imagino que se isso fosse revisto ja resolveria o problema das verbas para medicamentos.</p> <p>5ª - Sim, Nossa vida depende da ciência. A alguns anos quando recebi o diagnóstico, né falaram que eu não chegaria aos 18 anos. Hoje sabemos que com avanço da ciência teremos uma chance de vocês. No entanto precisamos ter acesso a essa ciência.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
19/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo. Se existe uma medicação para nissa melhora temos direito de recebê -la</p> <p>2ª - Sim, Precisamos urgente de medicações sua eficientes e não apenas avaliativas.</p> <p>3ª - Sim, O poder público deve levar em conta o que está na lei. Que é dever do estado zelar pela saúde da população.</p> <p>4ª - Sim, Dinheiro nosso país possui o que precisa é melhor gerenciamento dele assim terá para garantir a saúde da população.</p> <p>5ª - Sim, Temos direito a saúde. E isso não podemos abrir mão.</p>	
19/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. O medicamento é a luz para diversas famílias que convivem com as dores e incertezas da fibrose cística. O medicamento já é usado em outros países e alguns estudos (G. Peter et al., 2019; L. Jennifer et al, 2017) já demonstraram efetividade do medicamento Mais de 5 mil famílias podem ser beneficiadas diante da incorporação do fármaco ao SUS.</p> <p>2ª - Sim, Existem estudos que demonstram os efeitos positivos com o uso do medicamento</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
19/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Medicamentos são fundamentais para sobrevida dos pacientes, bem como para manter convívio com outras pessoas, tendo uma vida social o mais próximo do normal.</p> <p>2ª - Sim, Sendo membro da diretoria da Associação de Fibrose Cística de Belém, tenho conhecimento dos benefício que o medicamento proporcionou. Aumento de estatura, peso e função respiratória.</p> <p>3ª - Sim, Com uso da medicação, as crianças pararam de precisar dos antibióticos inalatórios, os quais são extremamente caros para o sistema da saúde.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
20/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A fibrose cística é doença crônica progressiva que pode levar à morte, e seu tratamento melhora qualidade de vida função pulmonar e diminui numero de internamentos (exacerbações pulmonares).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A fibrose cística é doença crônica progressiva que pode levar à morte, e seu tratamento melhora qualidade de vida função pulmonar e diminui numero de internamentos (exacerbações pulmonares).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Tenho acompanhado uma paciente que sofre dessa doença desde que a conheci com 7. Hoje,ela já é mais dependente de oxigênio do que antes, ,mtas vezes,ela precisa ficar presa nele 24 hs,usando ar emprestado e precisando de ajuda até para coisas simples,como tomar banho... além de ter uma tosse constante e infinita, que a impede até de ter uma vida normal. Ela saiu recentemente de uma internação, e a angústia de todos é: Ela voltará pra casa? Quanto tempo de vida resta pra ela? Eu me ponho no lugar tambem da mãe dela e de tantas outras que ja perderam os seus filhos ou estão os vendo ir embora,.sendo iqe poderiam usar estes medicamentos, mas receberam o não!! Todas essas pessoas verão seus filhos morrerem aos poucos. Tantos milhões em hospitais de campanha pelo COVID jogados no lixo, pq fecharam, e essas pessoas que tambem brigam pela vida não sao tratadas com a mesma importância. Por quê,? Não dá IBOPE? A Fibrose cística existe, é cruel e progressiva,leva ao acometimento do pulmão e pâncreas, é extremamente mortal,mas pode ser combatida! , A solução é brigamos juntos por essa causa. NAO IREMOS DESISTIR!!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
20/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Estamos esperando a anos por um medicamento mais eficaz para fibrose cística, algo que atue no problema é não seja um paliativo como os antibióticos. Este medicamento é fundamental para uma melhor qualidade de vida dos fibrocísticos, ele melhora o sistema pulmonar e pancreático .</p> <p>2ª - Sim, Há aumento significativo na melhora da função pulmonar, com melhora na espirometria, diminuição de diarreias e pancreatite, melhora da diabetes desenvolvida pela Fc, devido ao mau funcionamento do pâncreas.</p> <p>3ª - Sim, O medicamento é caro mas as inúmeras internações ao longo da vida denúncia fibrocístico e inumerosbexames e medicamentos custam caro também, o medicamento diminui estes outros gastos.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, O medicamento fornece uma vida mais justa e humana, não podemos fechar os olhos para o sofrimento que está doença causa.</p>	
20/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
20/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. A medicação é muito importante para as pessoas c fibrose cistica e que tem direito a saúde e que a vida não tem preço. Se essa medicação está dando certo, porque ã liberar a deixar as pessoas sofrendo? Se com essa medicação podem ter mais expectativa de vida com menos limitações.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. São vidas que dependem desses modeladores. A qualidade e a perspectiva de vida desses pacientes aumentam consideravelmente, sem comparação com.o uso de qualquer outro medicamento. Tenho um filho com fibrose cistica. Vivo isso na pele diariamente. Problemas pulmonares, dificuldade de crescer e ganhar peso, instalações, fisioterapia pulmonares. Uma luta constante pela vida.</p> <p>2ª - Sim, Crianças e adolescentes que começam o uso destes modulares passam a ter menos internações, menos interferências por problemas pulmonares. Além de conseguir ganhar peso, crescer, com a necessidade de ingerir bem menos enzimas pancreaticas. Ou seja transformam suas vidas. Isso é um sonho para nós pais.</p> <p>3ª - Sim, Economicamente, o estado terá menos gastos com internações, transplantes, antibióticos de uso frequente e a expectativa de vida desses pacientes será muito maior.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Peço encarecidamente a esta comissão que possa reconsiderar sua decisão, colocando como prioridade o direito a saúde pública, qualidade de vida que deve ser garantida pelo Estado. Esses pacientes dependem de medicamentos como esse para permanecerem vivos! Tomem a decisão pensando como se fosse para o seu filho esse benefício! Obrigada</p>	
20/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Tem muita s pessoas q precisam dessa medicação,se coloquem no lugar delas e de seus familiares q sofrem muito com TD isso..</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
20/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Por se tratar de medicamentos com comprovação científica para a melhora do tratamento de fibrose cística, é completamente viável a disponibilidade de tais medicamentos no Sistema Único de Saúde, o que beneficiada inúmeros portadores da doença, promovendo assim a dignidade da pessoa humana.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. tenho uma sobrinha que precisa melhorar sua condicao de vida</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. É uma doença sistêmica que atualmente no Brasil são ofertados medicamentos paliativos que limitam-se a minimizar os sintomas, tendo como severa consequência a falta de perspectivas de vida para esses pacientes e de suas famílias, que vivem sob a égide de uma pena de morte diante de uma doença que é progressiva e ininterrupta. Tal realidade, no entanto, pode ser modificada com a incorporação de medicamentos, utilizados em diversos outros países , que conseguem promover a estagnação da doença, possibilitando que essas pessoas possam ter perspectivas de vida e de futuro.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
20/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. Todos têm o direito à vida e preservação de sua saúde, inclusive pacientes com doenças raras.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
20/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. As pessoas portadoras da doença necessitam desta medicação, para melhor condição de vida, sendo assim, discordo com a recomendação preliminar da Conitec. Meu apoio aos pais que tanto sofrem com seus filhos para que consiga a liberação desta medicação, para melhor condição de vida, será bênção para os que precisam quanto dos pais que acompanha. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Paciente	1ª - Discordo. Todos os testes foram favoráveis, tenho a consciência que a medicação não vai melhorar as partes comprometidas e danos causados pela doença, mas por ser uma doença genética e progressiva vai ajudar em danos futuros, podendo até aumentar anos de vida de muitos pacientes, e que muitos pacientes entrem para fila de transplante precocemente. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Interessado no tema	1ª - Não Concordo e Não Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
21/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Se existe tratamento, sendo que este irá ajudar o paciente ter uma qualidade de vida melhor, então ele tem esse direito independente do estágio ou gravidade da doença. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
21/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. SOU MÉDICA PEDIATRA COORDENO O PROGRAMA DE FIBROSE CÍSTICA NO ESTADO DO PARÁ.HOJE EM USO DE LUMACAFITOR/IVAKAFITOR TEMOS 7 PACIENTES, 3 PROVENIENTES DO AMAPÁ, E 4 DE BELÉM. OS PACIENTES TEM SIDO ACOMPANHADOS COM UM ANO DE USO DO MEDICAMENTO COM EXCELENTE RESPOSTA CLÍNICA. PARÂMETROS AVALIADOS=GANHO DE PESO E ESTATURA, FUNÇÃO HEPÁTICA, TESTE DO SUOR, EXACERBAÇÃO RESPIRATÓRIA, RADIOLOGIA DE TÓRAX E PROVA FUNCIONAL RESPIRATÓRIA.OS CRITÉRIOS PARA USO DA MEDICAÇÃO FORAM CLÍNICOS, GENÉTICO (HOMOZIGOTO F508DEL) E ADESÃO PRÉVIA AO TRATAMENTO INSTITUÍDO NO AMBULATÓRIO. PACIENTE COM BAIXA ADESÃO AO TRATAMENTO COM USO IRREGULAR DE MEDICAMENTOS E FISIOTERAPIA RESPIRATÓRIA FORAM EXCLUÍDOS DA PRESCRIÇÃO. OS RESULTADOS FORAM SURPREENDENTES: AS IMAGENS RADIOLÓGICAS DE PACIENTE QUE TINHA BRONQUIECTASIAS APRESENTOU REGRESSÃO DE IMAGENS, UMA PACIENTE TINHA IMAGEM PERSISTENTE DE ATELECTASIA QUE NÃO SE RESOLVIA COM AS TERAPIAS INSTITUÍDAS PREVIAMENTE, OU APENAS DE FORMA TEMPORÁRIA, MAS LOGO O LOBO COLABAVA NOVAMENTE, MAS APÓS USO DESSA MEDICAÇÃO HOUVE COM RESOLUÇÃO DA LESÃO. NO PERÍODO DE MONITORAMENTO APENAS UM DOS PACIENTES TEVE EXACERBAÇÃO RESPIRATÓRIA POR INFECÇÃO POR VIRUS SEM NECESSIDADE DE INTERNAÇÃO OU HOMECARE.NA QUESTÃO DE GANHO PONDERAL FOI EXTRAORDINÁRIO PRINCIPALMENTE NOS PACIENTES COM GRANDE DIFICULDADE DE GANHO PONDERAL E DESNUTRIÇÃO. O GANHO DE PESO VARIOU DE 5 A 8 QUILOS EM UM ANO DE USO. TESTE DO SUOR FOI UM PARÂMETROS QUE TAMBÉM TEVE IMPACTO CHEGANDO A PADRÕES PROXIMO A NORMALIDADE E EM UM PACIENTE CHEGANDO A VALOR MENOR QUE 60 MeQ/L, ISSO TEVE IMPACTO NA REDUÇÃO DO RISCO DE DESIDRATAÇÃO HIPOCLORÊMICA , REDUZINDO A NECESSIDADE DE REPOSIÇÃO DIÁRIA DE SORO ORAL, PRINCIPALMENTE NAQUELES COM HÁBITO DE ATIVIDADE FÍSICA REGULAR. DOIS PACIENTES COM ALTERAÇÃO DE FUNÇÃO HEPÁTICA E HEPATOMEGALIA, VIRAM REDUZIR O TAMANHO DO FÍGADO E MELHORA DA FUNÇÃO HEPÁTICA, REDUÇÃO DO SANGRAMENTO DIGESTIVO E DAS DIARRÉIAS RECORRENTES . HOUVE MELHORA DA AUTOESTIMA POR MELHORA DA IMAGEM CORPORAL POIS REDUZIU O TAMANHO DO ABDOMEN, HOUVE GANHO PONDERAL E ESTATURAL PERMITINDO OS PACIENTES SE DESPIREM SEM VERGONHA DO CORPO. O ÚNICO PARÂMETRO QUE NÃO OBSERVAMOS MUITA ALTERAÇÃO FOI NA PROVA FUNCIONAL RESPIRATÓRIA, MESMO PORQUE A MAIORIA DOS PACIENTES QUE ESTÃO EM USO TINHAM POUCA ALTERAÇÃO NESSE EXAME, MESMO PORQUE É UM PARÂMETRO QUE SÓ MAIS TARDIAMENTE SE ALTERA NA FIBROSE CÍSTICA, QUANDO JÁ SE TEM GRANDE DESTRUÇÃO PARÊNQUIMA PULMONAR. AINDA ASSIM FOI OBSERVADA DISCRETA MELHORA DO FEV1 EM DOIS PACIENTES E EM NENHUM PACIENTE TRATADO HOUVE EVOLUÇÃO PARA PIORA DO FEV1 OU CVF. INFORMO QUE A MEDICAÇÃO TEVE UM IMPACTO NA QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES E O RISCO DE NÃO APROVAÇÃO TEM GERADO MUITA ANGÚSTIA NAS FAMÍLIAS E NAS PRÓPRIAS CRIANÇAS QUE TEM SE SENTIDO EM MOMENTO DE NORMALIDADE CLÍNICA QUE NUNCA EXPERIMENTARAM ANTES.</p> <p>2ª - Sim, SOU MÉDICA PEDIATRA COORDENO O PROGRAMA DE FIBROSE CÍSTICA NO ESTADO DO PARÁ.HOJE EM USO DE LUMACAFITOR/IVAKAFITOR TEMOS 7 PACIENTES, 3 PROVENIENTES DO AMAPÁ, E 4 DE BELÉM. OS PACIENTES TEM SIDO ACOMPANHADOS COM UM ANO DE USO DO MEDICAMENTO COM EXCELENTE RESPOSTA CLÍNICA. PARÂMETROS AVALIADOS=GANHO DE PESO E ESTATURA, FUNÇÃO HEPÁTICA, TESTE DO</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>SUOR, EXACERBAÇÃO RESPIRATÓRIA, RADIOLOGIA DE TÓRAX E PROVA FUNCIONAL RESPIRATÓRIA. OS CRITÉRIOS PARA USO DA MEDICAÇÃO FORAM CLÍNICOS, GENÉTICO (HOMOZIGOTO F508DEL) E ADESÃO PRÉVIA AO TRATAMENTO INSTITUÍDO NO AMBULATÓRIO. PACIENTE COM BAIXA ADESÃO AO TRATAMENTO COM USO IRREGULAR DE MEDICAMENTOS E FISIOTERAPIA RESPIRATÓRIA FORAM EXCLUÍDOS DA PRESCRIÇÃO. OS RESULTADOS FORAM SURPREENDENTES: AS IMAGENS RADIOLÓGICAS DE PACIENTE QUE TINHA BRONQUIECTASIAS APRESENTOU REGRESSÃO DE IMAGENS, UMA PACIENTE TINHA IMAGEM PERSISTENTE DE ATELECTASIA QUE NÃO SE RESOLVIA COM AS TERAPIAS INSTITUÍDAS PREVIAMENTE, OU APENAS DE FORMA TEMPORÁRIA, MAS LOGO O LOBO COLABAVA NOVAMENTE, MAS APÓS USO DESSA MEDICAÇÃO HOUVE COM RESOLUÇÃO DA LESÃO. NO PERÍODO DE MONITORAMENTO APENAS UM DOS PACIENTES TEVE EXACERBAÇÃO RESPIRATÓRIA POR INFECÇÃO POR VIRUS SEM NECESSIDADE DE INTERNAÇÃO OU HOMECARE. NA QUESTÃO DE GANHO PONDERAL FOI EXTRAORDINÁRIO PRINCIPALMENTE NOS PACIENTES COM GRANDE DIFICULDADE DE GANHO PONDERAL E DESNUTRIÇÃO. O GANHO DE PESO VARIOU DE 5 A 8 QUILOS EM UM ANO DE USO. TESTE DO SUOR FOI UM PARÂMETROS QUE TAMBÉM TEVE IMPACTO CHEGANDO A PADRÕES PROXIMO A NORMALIDADE E EM UM PACIENTE CHEGANDO A VALOR MENOR QUE 60 MeQ/L, ISSO TEVE IMPACTO NA REDUÇÃO DO RISCO DE DESIDRATAÇÃO HIPOCLORÊMICA, REDUZINDO A NECESSIDADE DE REPOSIÇÃO DIÁRIA DE SORO ORAL, PRINCIPALMENTE NAQUELES COM HÁBITO DE ATIVIDADE FÍSICA REGULAR. DOIS PACIENTES COM ALTERAÇÃO DE FUNÇÃO HEPÁTICA E HEPATOMEGALIA, VIRAM REDUZIR O TAMANHO DO FÍGADO E MELHORA DA FUNÇÃO HEPÁTICA, REDUÇÃO DO SANGRAMENTO DIGESTIVO E DAS DIARRÉIAS RECORRENTES. HOUVE MELHORA DA AUTOESTIMA POR MELHORA DA IMAGEM CORPORAL POIS REDUZIU O TAMANHO DO ABDOMEN, HOUVE GANHO PONDERAL E ESTATURAL PERMITINDO OS PACIENTES SE DESPIREM SEM VERGONHA DO CORPO. O ÚNICO PARÂMETRO QUE NÃO OBSERVAMOS MUITA ALTERAÇÃO FOI NA PROVA FUNCIONAL RESPIRATÓRIA, MESMO PORQUE A MAIORIA DOS PACIENTES QUE ESTÃO EM USO TINHAM POUCA ALTERAÇÃO NESSE EXAME, MESMO PORQUE É UM PARÂMETRO QUE SÓ MAIS TARDIAMENTE SE ALTERA NA FIBROSE CÍSTICA, QUANDO JÁ SE TEM GRANDE DESTRUIÇÃO PARÊNQUIMA PULMONAR. AINDA ASSIM FOI OBSERVADA DISCRETA MELHORA DO FEV1 EM DOIS PACIENTES E EM NENHUM PACIENTE TRATADO HOUVE EVOLUÇÃO PARA PIORA DO FEV1 OU CVF. INFORMO QUE A MEDICAÇÃO TEVE UM IMPACTO NA QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES E O RISCO DE NÃO APROVAÇÃO TEM GERADO MUITA ANGÚSTIA NAS FAMÍLIAS E NAS PRÓPRIAS CRIANÇAS QUE TEM SE SENTIDO EM MOMENTO DE NORMALIDADE CLÍNICA QUE NUNCA EXPERIMENTARAM ANTES.</p> <p>3ª - Sim, CONSIDERANDO O ALTO CUSTO DA MEDICAÇÃO E CONSIDERANDO O ALTO CUSTO PARA TRATAMENTO DAS INTECORRÊNCIAS QUE A ENFERMIDADE EXPÕES OS PACIENTES, OBSERVAMOS QUE A REDUÇÃO DAS INTERNAÇÕES E EXACERBAÇÕES, REDUÇÃO NECESSIDADE DE EXAMES, ANTIBIOTICOTERAPIAS, BRONCOSCOPIA ENTRE OUTRAS INTERVENÇÕES E PROCEDIMENTOS PODEM JUSTIFICAR O USO DE IVACAFTOR+ LUMACAFTOR NOS PACIENTES ELEGÍVEIS. IMPORTANE SERÁ DEFINIR O PACIENTE PRA USO. ISSO É O PACIENTE QUE TEM BOA ADESÃO AO TRATAMENTO E A OBSERVAÇÃO DE QUE SE NÃO HOUVER IMPACTO NA MELHORA CLÍNICA APÓS UM ANO DE USO A SUSPENSÃO DA PRESCRIÇÃO DEVE SER CONSIDERADA.</p> <p>4ª - Sim, O CUSTO DAS INTERNAÇÕES, O CUSTO DE PROCEDIMENTOS DE BRONCOSCOPIA, E OUTROS</p>	

PROCEDIMENTOS NECESSÁRIOS PARA TRATAMENTO DE ALGUMAS EXACERBAÇÕES, O CUSTO DE ANTIBIÓTICOS INTRAVENOSOS E VIA ORAL, O CUSTO DE HOMECARE,. O CUSTO DE TUDO ISSO DEVE SER COMPUTADO QUANDO SUGIRIMOS O USO DE UMA MEDICAÇÃO QUE REDUZ TODOS ESSES PROCESSOS. CONSIDERAR O IMPACTO NA VIDA D CADA PACIENTE. ISSO DEVE SER SOMADO E AVALIADO QUANDO CONSIDERAMOS A UTILIZAÇÃO DE UMA NOVA DROGA, PARA ENTENDER O VALOR FINAL DE CUSTO.

5ª - Sim, SOU MÉDICA PEDIATRA COORDENO O PROGRAMA DE FIBROSE CÍSTICA NO ESTADO DO PARÁ.HOJE EM USO DE LUMACFTOR/IVAKAFTOR TEMOS 7 PACIENTES, 3 PROVENIENTES DO AMAPÁ, E 4 DE BELÉM. OS PACIENTES TEM SIDO ACOMPANHADOS COM UM ANO DE USO DO MEDICAMENTO COM EXCELENTE RESPOSTA CLÍNICA. PARÂMETROS AVALIADOS=GANHO DE PESO E ESTATURA, FUNÇÃO HEPÁTICA, TESTE DO SUOR, EXACERBAÇÃO RESPIRATÓRIA, RADIOLOGIA DE TÓRAX E PROVA FUNCIONAL RESPIRATÓRIA.OS CRITÉRIOS PARA USO DA MEDICAÇÃO FORAM CLÍNICOS, GENÉTICO (HOMOZIGOTO F508DEL) E ADESÃO PRÉVIA AO TRATAMENTO INSTITUÍDO NO AMBULATÓRIO. PACIENTE COM BAIXA ADESÃO AO TRATAMENTO COM USO IRREGULAR DE MEDICAMENTOS E FISIOTERAPIA RESPIRATÓRIA FORAM EXCLUÍDOS DA PRESCRIÇÃO. OS RESULTADOS FORAM SURPREENDENTES: AS IMAGENS RADIOLÓGICAS DE PACIENTE QUE TINHA BRONQUIECTASIAS APRESENTOU REGRESSÃO DE IMAGENS, UMA PACIENTE TINHA IMAGEM PERSISTENTE DE ATELECTASIA QUE NÃO SE RESOLVIA COM AS TERAPIAS INSTITUÍDAS PREVIAMENTE, OU APENAS DE FORMA TEMPORÁRIA, MAS LOGO O LOBO COLABAVA NOVAMENTE, MAS APÓS USO DESSA MEDICAÇÃO HOVE COM RESOLUÇÃO DA LESÃO. NO PERÍODO DE MONITORAMENTO APENAS UM DOS PACIENTES TEVE EXACERBAÇÃO RESPIRATÓRIA POR INFECÇÃO POR VIRUS SEM NECESSIDADE DE INTERNAÇÃO OU HOMECARE.NA QUESTÃO DE GANHO PONDERAL FOI EXTRAORDINÁRIO PRINCIPALMENTE NOS PACIENTES COM GRANDE DIFICULDADE DE GANHO PONDERAL E DESNUTRIÇÃO. O GANHO DE PESO VARIOU DE 5 A 8 QUILOS EM UM ANO DE USO. TESTE DO SUOR FOI UM PARÂMETROS QUE TAMBÉM TEVE IMPACTO CHEGANDO A PADRÕES PROXIMO A NORMALIDADE E EM UM PACIENTE CHEGANDO A VALOR MENOR QUE 60 MeQ/L, ISSO TEVE IMPACTO NA REDUÇÃO DO RISCO DE DESIDRATAÇÃO HIPOCLORÊMICA , REDUZINDO A NECESSIDADE DE REPOSIÇÃO DIÁRIA DE SORO ORAL, PRINCIPALMENTE NAQUELES COM HÁBITO DE ATIVIDADE FÍSICA REGULAR. DOIS PACIENTES COM ALTERAÇÃO DE FUNÇÃO HEPÁTICA E HEPATOMEGALIA, VIRAM REDUZIR O TAMANHO DO FÍGADO E MELHORA DA FUNÇÃO HEPÁTICA, REDUÇÃO DO SANGRAMENTO DIGESTIVO E DAS DIARRÉIAS RECORRENTES . HOVE MELHORA DA AUTOESTIMA POR MELHORA DA IMAGEM CORPORAL POIS REDUZIU O TAMANHO DO ABDOMEN, HOVE GANHO PONDERAL E ESTATURAL PERMITINDO OS PACIENTES SE DESPIREM SEM VERGONHA DO CORPO. O ÚNICO PARÂMETRO QUE NÃO OBSERVAMOS MUITA ALTERAÇÃO FOI NA PROVA FUNCIONAL RESPIRATÓRIA, MESMO PORQUE A MAIORIA DOS PACIENTES QUE ESTÃO EM USO TINHAM POUCA ALTERAÇÃO NESSE EXAME, MESMO PORQUE É UM PARÂMETRO QUE SÓ MAIS TARDIAMENTE SE ALTERA NA FIBROSE CÍSTICA, QUANDO JÁ SE TEM GRANDE DESTRUIÇÃO PARÊNQUIMA PULMONAR. AINDA ASSIM FOI OBSERVADA DISCRETA MELHORA DO FEV1 EM DOIS PACIENTES E EM NENHUM PACIENTE TRATADO HOVE EVOLUÇÃO PARA PIORA DO FEV1 OU CVF. INFORMO QUE A MEDICAÇÃO TEVE UM IMPACTO NA QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES E O RISCO DE NÃO APROVAÇÃO TEM GERADO MUITA ANGÚSTIA NAS FAMÍLIAS E NAS PRÓPRIAS CRIANÇAS QUE TEM SE SENTIDO EM MOMENTO DE NORMALIDADE CLÍNICA QUE NUNCA EXPERIMENTARAM ANTES.

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
21/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Esses são os únicos medicamentos capazes que tratam diretamente na causa da doença, enquanto os outros só tratam de sintomas 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. O tratamento pode melhorar a qualidade de vida os pacientes. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. O medicamento é muito importante pra os pacientes. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não Concordo e Não Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
21/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Os medicamentos oferecidos pelo sus para fibrose cística são para tratamento apenas sintomático da doença mas não para a cura. Esse medicamento lumacaftor/ivacaftor é utilizado em outros países dando bons resultados e permitindo a sobrevida do paciente até a a idade adulta (uma média de 50 anos ou mais), enquanto no Brasil com o tratamento atual, a maioria das crianças com fibrose cística nem chegam à adolescência.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
21/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
21/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Eu discordo pq esse medicamento pode mudar a vida de quem tem fibrose cística</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
21/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
21/08/2020	Paciente	1ª - Discordo. Porque medicamento melhora qualidade de vida dos pacientes 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
22/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo. Não é um estudo experimental e já se tem comprovação da eficácia atuando diretamente no gene murado, melhorando a capacidade pulmonar, qualidade e expectativa de vida dessas pessoas. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
22/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Deve- se garantir o direito conforme a constituição a vida, saúde, bem estar bio psicossocial, também minimizar danos e sofrimento para o paciente e família. É de extrema importância utilizar o tratamento para aumentar a expectativa de vida dos portadores da doença e reduzir com isso internações, sofrimento, danos e custos com tratamentos paliativos 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Todos tem direito a acesso a medicação comprovadamente eficaz as suas condições de saúde.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
22/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
22/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Ambos medicamentos são extremamente necessários para todos os pacientes que possuem a fibrose cística, pois não apenas agem nos sintomas e sim diretamente no gene. Este medicamento vai prolongar a vida e dar qualidade de vida a elas. Tem que ser incorporado ao SUS sim. Vai ajudar milhares de crianças que sofrem com a doença e estão morrendo precocemente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
22/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Ambos medicamentos são extremamente necessários para todos os pacientes que possuem a fibrose cística, pois não apenas agem nos sintomas e sim diretamente no gene. Este medicamento vai prolongar a vida e dar qualidade de vida a elas. Tem que ser incorporado ao SUS sim. Vai ajudar milhares de crianças que sofrem com a doença e estão morrendo precocemente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo. Porque medicamento melhora qualidade de vida dos pacientes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
22/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Como pediatra me parece claro que, na missão do Programa Nacional de Triagem Neonatal, encontramos as bases que justificam discordar da recomendação preliminar da Conitec: O Programa Nacional de Triagem Neonatal é uma agenda transversal às políticas, coordenações e áreas técnicas (Sangue e Hemoderivados, Saúde da Criança, e Saúde da Pessoa com Deficiência e) e às Redes Temáticas do SUS (Rede Cegonha e Rede de Cuidados à Pessoa com Deficiência). Missão: "Promover, implantar e implementar as ações de Triagem Neonatal no âmbito do SUS, visando o acesso universal, integral e equânime, com foco na prevenção, na intervenção precoce e no acompanhamento permanente das pessoas com as doenças incluídas no Programa". Este programa tem como objetivo geral identificar distúrbios e doenças no recém-nascido em tempo oportuno para intervenção adequada, garantindo tratamento e acompanhamento contínuo às pessoas com diagnóstico positivo, conforme estabelecido nas Linhas de Cuidado, com vistas a reduzir a morbimortalidade e melhorar a qualidade de vida das pessoas com doenças previstas na política. Como parte do programa de triagem, se encontra a Fibrose Cística. Ora, se triamos os recém-nascidos para esta doença e se dentre os objetivos do programa de triagem está o de garantir o tratamento e acompanhamento contínuo destas pessoas, não me parece fazer sentido o parecer não favorável. Se triamos, triamos com um objetivo. Se temos uma droga eficaz para um grupo desses pacientes, não vamos torná-la acessível? Repito, como pediatra não faz sentido triar, ter um medicamento para um grupo em torno de 50% dos pacientes identificados pela triagem e não dar acesso a um medicamento eficaz.</p> <p>2ª - Sim, Ainda que os estudos citados tenham sido citados, no relatório da Conitec, como de moderada qualidade de evidência, o FDA aprovou este medicamento igualmente baseado em estudos. Vejam o que diz a publicação The Medical Letter on Drugs and Therapeutics, n 1491, de 26 de março de 2016: "CONCLUSION — The fixed-dose combination of lumacaftor and ivacaftor (Orkambi) is the first disease-modifying therapy to be approved for the 50% of patients with cystic fibrosis who are homozygous for the F508del mutation. "</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
22/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Prezados senhores. O motivo desta manifestação é o parecer contrário à incorporação ao rol de medicamentos do SUS de Lumacaftor já aprovados pela FDA e Anvisa para o tratamento da fibrose cística na 88 reunião da CONITEC. Aquela é uma doença hereditária relativamente rara (cerca de 5000 pacientes no Brasil e 70000 no mundo). Deve-se a mutações no cromossoma 7, que interferem com a bomba de Cl. Com isto as secreções se tornam espessas e vão obstruindo vários órgãos, não somente (é uma doença sistêmica), mas predominantemente, pulmões e pâncreas. A expressão clínica mais comum são infecções respiratórias repetidas, levando à destruição progressiva do órgão, levando a insuficiência respiratória, com dispneia progressiva e Insuficiência pancreática com grave e progressiva desnutrição. É um quadro progressivo com várias internações e que acaba em média a levar ao óbito aos 20 anos no Brasil e 40 nos EEUU. As medicações habituais, que são fornecidas pelo SUS tratam apenas as consequências da doença, mas não interferem com a gênese dos distúrbios. Diferentemente, esses dois novos medicamento corrigem as alterações que estão na origem da doença, de forma que desaparecem as consequências da alteração cromossomial. Infelizmente é uma medicação para o resto da vida. São drogas caras, para poucas pessoas (Drogas órfãs) mas evitando internações repetidas acabariam por trazer economia para a rede. Os resultados no exterior são altamente positivos permitindo uma vida normal ou quase, na dependência das lesões já existentes.</p> 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
22/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
22/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Todos devem ter direito a saúde. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
22/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Toda vida é importante ser cuidada e tratada. A medicação citada tem sido utilizada em outros países com êxito na melhora dos sintomas. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
22/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. todo brasileiro tem direito à saúde e educação 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
22/08/2020	Paciente	1ª - Discordo. Sim a vida 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Medicações muito preciosa para prolongar e mais qualidade de vida aos pacientes com fc.</p> <p>2ª - Sim, Medicações muito preciosas para prolongar a vida e a qualidade de vida dos pacientes com fibrose cística.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
23/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Medicação comprovada cientificamente ser muito eficaz no tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
23/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Temos relatos (vídeos) de pacientes em outros Países, que passaram a usar o medicamento e houve uma melhora significativa, alguns chegando a sair da fila de transplante de pulmão. Uma esperança para todos os pacientes e familiares, ter uma condição de vida melhor com o uso dessa medicação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. A fibrose cística é uma doença grave, com o passar dos anos o paciente vai entrando num quadro de debilidade irreparável. Uma doença genética crônica grave, progressiva e letal. NÃO HÁ NENHUM MEDICAMENTO INCORPORADO CAPAZ DE EVITAR A EVOLUÇÃO DA DOENÇA NO SUS. Isto faz com que tens, dos uma expectativa de vida no Brasil de 20 anos. Apesar de tem apresentado uma Expectativa de vida de 37 anos no relatório. NÃO HÁ no Brasil paciente delta F508 no zigoto COM VIDA no Brasil. Os medicamentos que estão disponíveis só tratam os SINTOMAS e NÃO EVITA a falência pulmonar. Estes pacientes CLAMAM por AJUDA. no dia 20/08/2030 tiveram 2(dois) óbitos por falência pulmonar. A doença seria e carece de entendimento dos membros da CONITEC para assegurar o seu direito a vida previsto na art. 196 da CONstitucional de 1988.</p> <p>2ª - Sim, Paciente em uso do lumacfaktor / ivacaftor, ESTAGNOU os avanços da doença, como a falência do pulmonar ganhou peso, reduziu a quantidade de enzimas que usava. Não teve mais Processo inflamatórios no pulmão. Melhorou a lesão pulmonar. Retirou da sua relação de medicamentos diários os antibióticos e corticoide.</p> <p>3ª - Sim, Não há no Sus nenhum tratamento capaz de evitar a evolução da doença, óbito, transplante pulmonar. Famílias são DESTRUÍDAS advindas da gravidade da doença.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, O paciente melhorou toda a sua situação de saúde. Estagnou a evolução da doença, reestabeleceu e reverteu o dano pulmonar que estava acontecendo no seu pulmão. A lesão no pulmão acontece de forma silenciosa e pode levar a uma perda de função pulmonar de mais de 10% em apenas 1 ano, a depender da bactéria que está colonizada no pulmão. Hoje no Brasil a expectativa de vida é de 20 anos.</p>	
23/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. esse remédio é essencial na vida desses pacientes, melhorando a qualidade de vida, é de suma importância. A vida não tem preço.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Pois essa medicação, é fundamental para os pacientes com Fibrose Cística, e a pesar de existir outras medicações que compõem o tratamento da mesma, ainda não é suficiente. Tendo em vista que, eles tratam apenas dos sintomas, Já o Orkambi trata não apenas os sintomas dela, mais sim a doença por completo: "contém duas substâncias ativas, lumacaftor e ivacaftor, que atuam em conjunto para melhorar a função da proteína CFTR anormal em pacientes que apresentam as duas cópias da mutação F508del em seu gene CFTR. Lumacaftor aumenta a quantidade disponível de CFTR, e ivacaftor ajuda a proteína anormal a funcionar mais normalmente." . Logo, os pacientes portadores da fibrose tem uma melhor qualidade de vida efetuando o uso do medicamento, visto que ele ajuda a respira mais facilmente, que eles não adoecem tão frequentemente e/ou que é mais fácil ganhar peso. Contudo, por ser uma medicação de auto custo muitos acabam morrendo antes de fazer o tratamento com ele. assim é verídico dizer que o mesmo é um direito de todos e que o Estado deve se esforçar para disponibilizar essas medicações de auto custo, para promover a saúde e o bem-estar social, ec cumprir com seu princípio fundamental de cidadania previsto na CF/88.</p> <p>2ª - Sim, "Orkambi® contém duas substâncias ativas, lumacaftor e ivacaftor, que atuam em conjunto para melhorar a função da proteína CFTR anormal em pacientes que apresentam as duas cópias da mutação F508del em seu gene CFTR. Lumacaftor aumenta a quantidade disponível de CFTR, e ivacaftor ajuda a proteína anormal a funcionar mais normalmente." "Ao tomar Orkambi®, você pode notar que respira mais facilmente, que você não adoecer tão frequentemente e/ou que é mais fácil ganhar peso." https://consultaremedios.com.br/orkambi/bula</p> <p>3ª - Sim, É uma medicação de auto custo, ou seja, deixa inúmeras familiares de mãos atadas vendo lentamente a morte de seus familiares, visto que as medicações já disponibilizada combate apenas os sintomas e não de fato a doença.</p> <p>4ª - Sim, CF/88 SEÇÃO IIDA SAÚDE " 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."</p> <p>5ª - Sim, A Conitec, não é aceitável a justificativa que foi dada, tendo em vista que esses pacientes acreditam na possibilidade dessa medicação ser benéfica para eles, visto que trata a doença como toda, e não apenas os sintomas. Ademais, ele já esta sendo usado em outros países, bem como Canadá e EUA, trazendo bons resultados e uma vida melhor para eles.</p>	
23/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Esse medicamento é essencial , pois gera melhor qualidade de vida para as pessoas com FC. Ele não só trata o problema, pode estacionar e até curar, pois age diretamente na célula , modificando a proteína defeituosa. O custo do medicamento é alto, entendo, mas vida não tem preço.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
23/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. ESSA MEDICAÇÃO VAI TRATAR A DOENÇA E NÃO APENAS OS SINTOMAS, já as medicações disponibilizadas tratam apenas os sintomas.</p> <p>2ª - Sim, Ambos ajudam em uma melhor qualidade de vida para os portadores da fibrose, já que trabalha justamente na célula como toda.</p> <p>3ª - Sim, É uma medicação de auto custo, logo as vítimas dessa doença não possui recursos financeiros para adquiri-las, e leva muito tempo para conseguir ela na justiça. Ademais, é um direito deles previsto na Magna Carta.</p> <p>4ª - Sim, Não irá gerar impacto para o Estado, pois o mesmo possui receitas que auxiliam nas despesas necessárias para atender as demandas da população, principalmente a da área da saúde, visto que muitos desses pacientes dependem de medicações como essa para ter fôlego para respirar, e respirar sem um auxílio mecânico de um oxigênio, que gera desconforto e limita a vida deles.</p> <p>5ª - Sim, Essa medicação deve ser disponibilizada para eles, tendo em vista os benefícios que ele possui, sem contar que ele irá tratar a doença como toda, ou seja, dará esperança para inúmeros deles, que tem principalmente um quadro clínico desfavorável e exaustivos de internações.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A fibrose cística é uma doença genética rara e progressiva levando à comorbidades que diminuem a qualidade e expectativa de vida. No Brasil, o tratamento atual é focado apenas nos sintomas, o que não evita a progressão da doença, além de serem poucos os medicamentos disponíveis no SUS. Enquanto a expectativa de vida dos pacientes com fibrose cística no Brasil é de 20 anos, no mundo é em torno de 40 anos, ou seja, o dobro. A fibrose cística acomete vários outros órgãos além dos pulmões, como pâncreas e outros órgãos do sistema digestivo. A progressão da doença em cada área afetada levam à: 1) na parte pulmonar, os pacientes são direcionados à fila de transplante pulmonar; 2) no pâncreas, desenvolvem um tipo raro de diabetes que é a diabetes relacionada à fibrose cística, cujo tratamento é a administração de insulina; 3) no sistema digestivo, ocorrem inflamações intestinais frequentes, desnutrição grave e disfunção hepática. Além de outros sintomas, como sinusite e otite recorrentes devido ao excesso de muco espesso. No entanto, o medicamento lumacaftor/ivacaftor (Orkambi), aprovado tanto pela agência reguladora internacional (FDA) e nacional (ANVISA) vem mudando significativamente a qualidade e expectativa de vida dos pacientes que já fazem uso há pelo menos 6 anos em outros países. Há relatos na literatura científica (pesquisa PUBMED) de redução da inflamação intestinal, normalização do índice glicêmico na diabetes relacionada à fibrose cística, reversão do quadro de desnutrição e melhora do quadro pulmonar de pacientes portadores de fibrose cística após o uso do medicamento Orkambi. Levando em consideração o artigo 196 da Constituição Brasileira, onde se lê: “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.”, concluímos que os pacientes portadores de fibrose cística têm direito à vida e a possibilidade de um tratamento direcionado à sua doença, já que esse poderá lhe trazer qualidade e expectativa de vida, pois a vida é soberana e simplesmente não tem preço.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A literatura científica (pesquisa em dados de base PUBMED), mostra resultados clínicos satisfatórios em um número significativo de pacientes elegíveis à administração de lumacaftor/ivacaftor (Orkambi). Os resultados mostram uma melhora não apenas da função pulmonar, mas também do estado nutricional, melhora do índice glicêmico e redução da inflamação intestinal.</p>	<p>Clique aqui</p>
24/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Esses são os únicos medicamentos capazes que tratam diretamente na causa da doença, enquanto os outros só tratam de sintomas</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Porque crianças com fibrose cística necessitam de várias mediações como suporte de vida São criança com muitos problemas respiratórios excesso de secreção é isso ajudaria muito</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Com certeza a liberação das medicações ajudaria muito a diminuir o número de internações dessas crinas e melhorar a qualidade de vida</p> <p>5ª - Não</p>	
24/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Pois sera de grande resultados positivo para estes pacientes com fribrose cistica, imagina dar mais qualidade de vida a eles, uma expectativa muito grande de vida .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Atualmente, no Brasil, o tratamento para Fibrose Cística é voltada para combater os sintomas. O medicamento em questão trata a causa da doença, sendo uma inovação benéfica para o bem estar da população alvo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Há evidências de que o medicamento em questão promove uma melhora nos índices glicêmicos em pacientes que desenvolveram diabetes relacionada à FC, além da melhora da função pulmonar e estado nutricional.</p>	
24/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. discordo , porque é fundamental para a sobrevida do Portador e o mesmo tem outros tratamentos paralelos e caros. A medicação é de alto custo e não condiz com nossa realidade economica</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. esse remedido é muito importante na vida do fibrocístico, pois ele vai agir diretamente na doença e permitir que essas pessoas vão ter uma qualidade de vida melhor, ganhando muitos benefícios a sua saúde. pois com o tratamento correto podem ser salvas muitas vidas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. O medicamento está sendo utilizado em diversos países, está salvando vidas, foi aprovado pela ANVISA.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Esses medicamentos são eficazes no tratamento da fribose cistica, uma luz no fim do túnel, todos temos direitos a uma qualidade de vida, eu digo sim a incorporação, pelo SUS, do Lumacaftor/ivacaftor, no tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Ninguém tem condições de arcar c o valor dos medicamentos.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
24/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Disxordo .pois este medicamento vai ajudar no tratamento da criança</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
24/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Sim, 3ª - Sim, 4ª - Sim, 5ª - Sim,	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Os custos do tratamento da fibrose cística (FC) são elevados para o sistema de saúde no Brasil e, no presente, as medicações utilizadas visam apenas o melhor controle dos sintomas. A associação Lumacator/Ivacaftor foi mais recentemente aprovada por diversas agências regulatórias internacionais e também pela ANVISA, e objetiva corrigir o defeito na proteína CFTR, sendo indicada para pacientes homocigotos para a variante F508del, que é genótipo mais comum na FC, mesmo no Brasil que tem população com elevado grau de miscigenação. A pesquisa da variante F508del tem baixo custo com altas sensibilidade e especificidade, o que não pode ser considerada uma dificuldade para a incorporação desta droga no tratamento da FC. Destaque-se, também, que esta é a única medicação moduladora da proteína CFTR disponível para crianças de 6-12 anos com este genótipo. Ainda que os estudos científicos apontem para apenas uma pequena melhora da função pulmonar dos pacientes tratados com Lumacator/Ivacaftor em comparação ao grupo placebo, é importante destacar o caráter crônico e progressivo da FC, o que significa que a manutenção da função pulmonar pode ser um ganho para o paciente, enquanto medicações mais efetivas sejam disponíveis. Entretanto, considerando o custo elevado da medicação, defendo que os critérios para sua prescrição estejam claramente definidos e que parâmetros objetivos de seguimento da resposta ao tratamento sejam utilizados, a fim de definir quais pacientes devem manter o uso da medicação e quais não têm benefícios com o uso. Recentemente, o Conselho Estadual do Estado de São Paulo recomendou a atualização do PCDT da FC e a incorporação dos moduladores de CFTR no protocolo clínico.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Recentemente, estive em estágio em um grande centro de assistência à FC no Reino Unido e presenciei a incorporação das drogas moduladoras do CFTR no tratamento dos pacientes, o que ocorreu após negociação entre o governo britânico e o laboratório Vertex, o que resultou em redução importante dos custos com estes medicamentos. Penso que este seja um caminho viável para nosso país, evitando-se judicialização por parte das famílias, o que beneficia apenas um número reduzido de pacientes e mantém custos muito elevados para o tratamento. Em nosso centro, temos um paciente que iniciou o uso da Lumacator/Ivacaftor, após processo judicial. O pouco tempo de uso da medicação não nos permite trazer informações sobre a resposta ao tratamento. Entretanto, grupo de familiares de pacientes elegíveis para o tratamento com esta associação têm se mobilizado para a judicialização pelo uso do medicamento.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
25/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Acredito que todas as pessoas deveriam ter uma oportunidade, se a chances de combate a doença seja por meio de tratamentos que a interrompam ou que sejam a cura, deixar que apenas algumas pessoas possam fazelas por conta de idade é errado, muitos sofrem com a doença a anos e a maneira de combater não deveria ser decidida por idade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. MEDICAÇÃO QUE PODE TRAZER GRANDES BENEFÍCIOS PARA O TRATAMENTO DOS PACIENTES COM MUTAÇÕES ESPECÍFICAS DA FIBROSE CÍSTICAS</p> <p>2ª - Sim, Davies JC, Wainwright CE, Canny GJ, Chilvers MA, HowenstineMS, Munck A. Efficacy and safety of ivacaftor in patients aged 6to 11 years with cystic fibrosis with a G551D mutation. Am J RespCrit Care Med. 2013;187(11)1219-25. https://doi.org/10.1164/rccm.201301-0153OC163. Ramsey BW, Davies J, McElvaney NG, Tullis E, Bell SC, D&#345;evínekP, et al. A CFTR potentiator in patients with cystic fibrosis and theG551D mutation. N Engl J Med. 2011;365(18):1663-72. https://doi.org/10.1056/NEJMoa1105185</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A droga apresentou melhora significativa do ganho ponderal, de massa muscular, da função pulmonar e redução dos níveis de cloro no suor, mostrando que havia recuperação da função de transportador transmembrana. Isso, certamente, se introduzido precocemente, irá refletir em melhora da qualidade de vida e aumento da sobrevida dessa população.</p> <p>2ª - Sim, Vários países já aprovaram essa droga, inclusive o FDA, devido às consistentes respostas clínicas observadas, com melhora de parâmetros objetivos de Função pulmonar, IMC e melhora da qualidade de vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
25/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo. Não concordo com a recomendação, pois, em toda a vida de pacientes com fibrose, nunca houve uma medicação que agisse diretamente da causa da doença. Nós pacientes sabemos que o avanço da doença acomete nosso pulmão, nosso sistema digestivo, nossa capacidade viver e trabalhar. Vejam claramente meus exames de função pulmonar, que se degrada ano a ano, chegando na porcentagem abaixo de 30% da capacidade total, indicado-me o transplante pulmonar. Este medicamento é nosso sonho de cura e qualidade de vida, inclusive a possibilidade de minha saída da fila de transplante pulmonar, que acomete quase todos pacientes com o avanço da doença.</p> <p>2ª - Sim, Minha função pulmonar degradando-se ano a ano, conforme exames anexo. Fevereiro/2009 - Capacidade pulmonar de 74% Abril de 2010 - Capacidade pulmonar de 64% Setembro de 2010 - Capacidade pulmonar de 66% Março de 2012 - Capacidade pulmonar de 68% Setembro de 2016 - Capacidade pulmonar de 46% Outubro de 2017 - Capacidade pulmonar de 28% Janeiro de 2019 - Capacidade pulmonar de 27% Abril de 2019 - Capacidade pulmonar de 30% Novembro de 2019 - Capacidade pulmonar de 25%</p> <p>3ª - Sim, Não temos condições financeiras para compra deste medicamento, que salvará nossas vidas</p> <p>4ª - Sim, O impacto orçamentário compensará os gastos atuais com internações, TRANSPLANTES PULMONAR, dias sem trabalho devido infecções frequentes, etc</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
25/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. O medicamento é extremamente importante para beneficiar uma grande parcela de fibrocísticos, além disso, não existe outro medicamento no Brasil que faça o que esse medicamento faz.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Discordo, porque estes fármacos vão favorecer e muito todos os portadores de fibrose cística, aumentando sua qualidade e expectativa de vida!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
25/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Não há outros medicamentos como o Ivacaftor/lumacaftor que tratam diretamente as causas de fibrose cística, há apenas medicamentos que tratam dos sintomas. Por isso, é necessário que o ivacaftor seja incorporado ao tratamento de fibrose cística.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Poderá ajudar muitos pacientes com fibrose cística que não dispõe de nenhum esquema terapêutico apenas paleativo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
25/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. A Fibrose cística é uma doença genética, rara, que não possui cura. Uma doença progressiva, obstrutiva e que não possui nenhum medicamento capaz de tratar a CAUSA da doença hoje disponível pelos pacientes. Os medicamentos que existem só tratam os sintomas. Por isso, a expectativa de vida dos pacientes é muito curta, cerca de 20 anos. O motivo se dá pela falência pulmonar.</p> <p>2ª - Sim, Acompanho um paciente que faz o uso há 9 meses. Tenho visto o quanto ele melhorou o aspecto clínico, de saúde, redução na quantidade de medicamentos, inclusive medicamentos que faziam o uso contínuo. Além disso o paciente melhorou o seu condicionamento físico, conseguiu reverter a lesão muscular, de postura que estava começando a apresentar. O lumacaftor/ivacaftor é realmente um medicamento que faz diferença, no primeiro momento, atua eliminando secreções mais profundas, em seguida, acelera o ganho de peso e massa muscular.</p> <p>3ª - Sim, Não condicionar o fator econômico sobre um problema crônico que acomete a todos os pacientes que convivem com fibrose cística. Na condição de órgão regulamentador, capaz de avaliar a eficácia terapêutica do medicamento, as evidências clínicas, o direito à vida se sobrepõe. Não se mensura vidas. Questão orçamentária refere-se à gestão pública, e para isso, estratégias estão aí para subsidiar as negociações. Hoje a expectativa de vida da fibrose cística é de 20 anos. Há crianças na fila do transplante. O risco de vida é altíssimo, o custo é altíssimo, e a sobrevida muito pequena. Familiares convivem com o medo, com a ameaça da morte a cada colonização que acomete o paciente. As pessoas com Fibrose Cística têm que ter o direito de viver com dignidade, ter acesso a tecnologias que já estão sendo utilizadas fora do Brasil há mais de 8 anos. Não se pode limitar o direito à vida, à saúde, à liberdade, de uma pessoa que já convive com tantas privações. Além de não ser justo, é imoral. Afronta o Estado Democrático de Direito, o preceito fundamental constitucional que é assegurar uma sociedade livre, justa e solidária e que tem como fundamento a DIGNIDADE DA PESSOA HUMANA.</p> <p>4ª - Sim, A vida não tem preço. O papel da Conitec é avaliar SE HÁ MEDICAMENTO SEMELHANTE CAPAZ DE TRATAR a doença, HOJE NÃO TEMOS NA GRADE DO SUS MEDICAMENTO CAPAZ DE EVITAR A evolução da doença. As pessoas com Fibrose Cística PRECISAM VIVER, precisam construir uma vida digna. Não podem ser limitados e carimbados pelo fato de terem nascido com uma doença genética, FIBROSE CÍSTICA. Famílias são destruídas, lares desfeitos, sonhos perdidos. Por favor, a Fibrose Cística clama por socorro. So no dia 20 de agosto de 2020 morreram 2 (duas) pacientes, ambas por falência pulmonar.</p> <p>5ª - Sim, Estabilização no quadro clínico geral, redução de enzimas, houve menor sobrecarga pancreática, Ganho de massa muscular, retirada do uso crônico de corticoides, antibióticos, remédios para gastrite, retirada de remédios para gases. Reversão de dano postural que estava tendo em função da debilidade muscular acometida pela patologia.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O diagnóstico de uma doença rara hereditária como a Fibrose Cística representa uma trajetória de procuras, cuidados e adversidades na vida do paciente, da sua família e de amigos. Após o longo e doloroso caminho percorrido, com a peregrinação por vários especialistas, os problemas não se resolvem quando se encontra um serviço especializado. Os cuidados diários da pessoa com Fibrose Cística exigem tempo, paciência, perseverança e conhecimento e envolve diferentes profissionais no acompanhamento e manejo do paciente. E mesmo assim é comum acontecerem intercorrências médicas, exigindo intervenções mais especializadas e custosas. Dos primeiros diagnósticos da Fibrose Cística, até o momento, muito já ficou conhecido sobre a doença. Inicialmente a sobrevida era bastante reduzida, mas com a evolução dos métodos diagnósticos (a começar pelo screening neonatal) e das terapias envolvendo tratamento dos sintomas, reposições enzimáticas, nutricionais, e antibióticos de última geração, agora vemos indivíduos afetados com Fibrose Cística na idade adulta. O progresso das pesquisas focadas nos tratamentos farmacológicos e na promissora terapia gênica de diversas doenças genéticas com certeza irá beneficiar pacientes em todos os estágios da doença. Essa consulta se refere a um desses fármacos, capaz de transformar a vida de um portador de uma importante mutação da Fibrose Cística de forma impressionante. A consulta levanta questões relacionadas aos custos do medicamento. Essa análise requer um entendimento dos custos de longo prazo do tratamento de um paciente com Fibrose Cística. Conhecendo-se o modelo de progressão da doença, sabemos que a maioria dos custos deriva das internações hospitalares, seguidas dos gastos com os produtos farmacêuticos, serviços médicos, serviços dos demais profissionais de saúde, exames de laboratório. Muito importante ainda considerar os altos custos dos transplantes pulmonares, terapia que vem ganhando relevância no tratamento de casos avançados de pacientes com Fibrose Cística. Essas informações são fundamentais quando o foco é no custo imediato do medicamento e se despreza o impacto financeiro do tratamento a longo prazo. Quando se chega a um novo medicamento como o Ivacaftor - lumacaftor capaz de atuar na proteína defeituosa, suspendendo ou retardando a progressão da doença, temos também uma valiosa contribuição para a diminuição das despesas a longo prazo com o tratamento dos pacientes. É inadmissível privar um indivíduo com Fibrose Cística da possibilidade de viver uma vida plena. Um medicamento que reconhecidamente é capaz de transformar a vida de um paciente com Fibrose Cística, aprovado e utilizado em outras regiões do mundo não pode ser desprezado no nosso meio. É obrigação do ser humano proteger indivíduos em situação de risco de morte e é isso que a disponibilização desse medicamento na rede pública de saúde brasileira irá prover.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Conforme consta no prontuário arquivado nesta instituição, paciente e portador de fibrose cística, teve pneumonia ainda no primeiro mês de vida 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Tenho amigos com Fibrose sística 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Essa medicação melhora a função pulmonar e a condição clínica do paciente com fibrose cística. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Ressalta-se a importância do convívio escolar para a criança com FC, a interação, o brincar e aprender propiciam momentos não somente de aprendizagem, pois a distração através das aulas a criança também se aproxima um pouco da realidade de seu cotidiano. Resgatando o lado sadio da criança, amenizando a hospitalização, pois as crianças com FC tem o cognitivo preservado.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. não existe nenhum outro medicamento que trate especificamente a fibrose cística, que o caso do medicamento proposto. Todas as medicações utilizadas atualmente tratam apenas os sintomas, não impedindo que a doença, que é progressiva, evolua, trazendo outros problemas. Apesar de ser uma doença rara, quem tem fibrose cística tem tanto o direito pela vida como qualquer outra pessoa. Esse medicamento dá a esperança de planejar um futuro e já é utilizado em diversos países da América do Norte e Europa há quase 10 anos, com resultados excelentes. Nossos raros também tem direito a vida e uma vida não tem preço.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
26/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. No exterior funciona</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Mãe de filho portador de Fibrose Cística. Somente nós sabemos a esperança que temos de dar uma vida melhor para nossos filhos com a introdução do lumacaftor/ivacaftor nos tratamentos deles. Por favor, Precisamos deste medicamento também aqui no Brasil.</p> <p>2ª - Sim, Vários vídeos de pacientes portador de Fibrose Cística em outros países em que introduziram o ivacaftor no tratamento, tiveram um excelente resultado. a ponto de sair de fila de transplante de pulmão, por haver recuperação da saúde.</p> <p>3ª - Sim, Sabemos que por mais caro que fica, não tem o valor da vida de um filho. Por favor. Introduza o medicamento no tratamento, aqui no Brasil também.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo. Como paciente, Portador de Fibrose Cística, Gostaria de ter o medicamento ivacaftor introduzido em meu tratamento. Uma esperança de ter uma saúde melhor.</p> <p>2ª - Sim, Amigos, portador de Fibrose Cística, residentes em Portugal e Também nos Estados Unidos, que faz uso de medicamento, falou da melhora que teve quando passou a usá-lo. Gostaria também ter essa esperança de melhora.</p> <p>3ª - Sim, Não importa o quanto fica em espécie, para quem pode contribuir, em relação a milhares de pacientes que pode ter uma condição de vida melhor. Sonhar, ter esperança de vida!</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Discordo, porque estes fármacos vão favorecer e muito todos os portadores de fibrose cística, aumentando sua qualidade e expectativa de vida!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Hoje não existe nenhuma medicação que trate a causa da fibrose cística, existem medicamentos apenas para sintomas, consequências da fibrose cística.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Para pacientes homozigotos para a mutação F508del, a combinação do lumacaftor/ivacaftor é a única medicação disponível no mercado que é capaz de desacelerar e em muitos casos até melhorar a queda do VEF1 decorrente da doença.</p> <p>2ª - Sim, Para pacientes homozigotos para a mutação F508del, a combinação do lumacaftor/ivacaftor foi capaz de desacelerar e em muitos casos até melhorar a queda do VEF1 decorrente da doença, não apresentando efeitos colaterais significativos e mantendo essa melhora por até semanas.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Essa medicação é uma esperança de melhora de qualidade de vida para os pacientes com, fibrose cística que apresentam uma mutação grave (F508Del) me que leva à complicações pulmonares incapacitantes.</p>	<p>Clique aqui</p>
27/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Esse medicamento é necessário para o tratamento da fibrose e tem como finalidade melhorar a qualidade de vida do portador.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/08/2020	Paciente	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Sim, Preciso desse remédio urgente, ou não irá demorar muito para eu precisar de um ttansplante</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Sou favorável à incorporação do Lumacftor/Ivacaftor para o tratamento de fibrose cística.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. O medicamento fará diferença no tratamento e na qualidade de vida do paciente. Os medicamentos diários de enzimas, fisioterapia, antibióticos não são suficientes para muitas vezes salvar a vida. A esperança é a nova fórmula. A oportunidade que a medicina avançada poderá transformar na vida dos pacientes adultos e nós bebês.</p> <p>2ª - Sim, Minha filha tem FC em heterozigoto e nossa esperança para prolongar sua vida é a medicação de alta tecnologia, pois o fato de ser crônica progressiva nós deixa com apenas o tratamento paliativo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/08/2020	Sociedade médica	<p>1ª - Discordo. O Grupo Brasileiro de Estudos da Fibrose Cística (GBEFC), Sociedade Brasileira de Pneumologia e Tisiologia (SBPT), Sociedade Brasileira de Pediatria (SBP) se uniram com intuito de apresentar uma proposta de uso mais racional dos moduladores da proteína CFTR. As associações médicas levaram em consideração o custo dos medicamentos e seu impacto orçamentário, porém ressaltam a importância da incorporação dos mesmos. A associação Lumacaftor+Ivacaftor (moduladores da CFTR) se configura como um marco histórico no tratamento de uma doença extremamente grave e associada à redução significativa da expectativa de vida e baixa qualidade de vida dos pacientes. As entidades médicas aqui representadas reconhecem algumas limitações nos resultados clínicos do uso dessa associação. Além disso, as entidades reconhecem a existência de uma nova associação de moduladores da CFTR de tripla combinação (elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor), recentemente aprovada nos EUA e Europa, com resultados muito superiores para indivíduos, homocigotos para variante F508del. Entretanto, por se tratar de uma doença progressiva, muitos pacientes não podem esperar até a chegada desta nova associação, com risco de consideráveis agravos à saúde, inclusive risco de morte. A não incorporação desse medicamento seria um prejuízo incomensurável para os pacientes, sobretudo nos pacientes com doença mais avançada.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Sugerimos abaixo algumas indicações adicionais para garantir o acesso, sobretudo ao grupo de pacientes sob maior risco, incluindo um modelo de acompanhamento clínico, assim como critérios de descontinuação da droga quando apropriado. Indicações adicionais para prescrição da droga (necessário atender aos 3 requisitos): A. Estar vinculado a um Centro de Atendimento Especializado à FC; Justificativa: a fibrose cística é uma doença multissistêmica e complexa. Os centros de referência estão capacitados para o atendimento destes pacientes através de atendimento multiprofissional e seguimento de protocolos rígidos de acompanhamento. Além disso, isso garante um seguimento mais controlado dos pacientes, sendo possível acompanhar e avaliar os efeitos do tratamento. B. Ter manifestações da doença respiratória ou comprometimento nutricional (qualquer um dos itens); • FEV1 entre 40 e 70% do predito OU • Exacerbações pulmonares frequentes com necessidade de admissão hospitalar (>2x/ano) OU • Desnutrição ou percentil IMC < 15 Justificativa: As entidades médicas reconhecem a eficácia comprovada da associação lumacaftor+ivacaftor no ganho de função pulmonar, redução do número de exacerbações e melhora nutricional (aumento do peso e índice de massa corpórea) dos pacientes. Diante da existência de uma nova combinação tripla de modulador do CFTR com maior eficácia com perspectiva de chegada ao Brasil nos próximos anos e os custos atuais do medicamento, as entidades consideram apropriado garantir o acesso pelo menos ao grupo de pacientes de maior risco, como descrito acima, em que o atraso ao acesso do tratamento com moduladores da CFTR pode resultar em grave impacto negativo no prognóstico. C. Ter boa adesão ao tratamento: retirada regular e frequente de medicação no Centro de Atendimento, comparecimento regular às consultas ambulatoriais e de fisioterapia. D. NÃO ter sido submetido a transplante Justificativa: O objetivo do tratamento com os moduladores do CFTR é evitar a progressão da</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>doença. Além disso, existe interação medicamentosa entre o uso dos imunossupressores e os moduladores do CFTR. Apresentações: Comprimidos revestidos contendo a associação lumacaftor/ivacaftor nas doses de 100mg/125mg e 200mg/125mg. Posologia: Pacientes com 12 anos ou mais: 2 comprimidos de 200mg/125mg (dose diária total de 800mg de lumacaftor e 500mg de ivacaftor). Pacientes entre 6 e 12 anos: 2 comprimidos 100mg/125mg (dose diária total de 400mg de lumacaftor e 500mg de ivacaftor). Deve ser tomado por via oral, com alimentos contendo gordura. O comprimido não deve ser mastigado, dividido ou dissolvido. Se tiverem decorrido mais de 6 horas de esquecimento da dose, o paciente deve aguardar a próxima dose. Avaliação prévia à prescrição: antropometria, avaliação oftalmológica, espirometria, cultura de secreção respiratória, avaliação da função hepática e novo teste do suor (cloridômetro). Avaliação da resposta à medicação: • 30 dias: espirometria, antropometria • 3 meses: teste do suor (cloridômetro), espirometria, antropometria, avaliação da função hepática OBS: Caso o paciente apresente uma exacerbação pulmonar infecciosa nos primeiros 3 meses de tratamento, a reavaliação será postergada por 3 meses, mantendo o uso da medicação. Critérios de resposta satisfatória à medicação para continuidade do tratamento (qualquer um dos itens): • Redução de pelo menos 10 mmol/L na dosagem de cloretos no suor (cloridrômetro). • Aumento do VEF1 igual ou superior a 5% do valor prévio. Conduta frente a efeitos adversos à medicação: Os pacientes que apresentarem efeitos adversos à medicação deverão ser avaliados caso a caso, devendo ser considerada a suspensão da medicação na eventualidade de reações adversas moderadas a severas. Por se tratar de um medicamento com evidências inquestionáveis na melhora da evolução natural da doença, a equipe de saúde deve avaliar detalhadamente o caso com intuito de reverter os potenciais efeitos adversos e permitir que o paciente tolere o uso do medicamento.</p>	
27/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. ACREDITO QUE É UMA MEDICAÇÃO QUE TRARÁ MELHORA SIGNIFICATIVA PARA PACIENTES COM FC</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Discordo porque como Psicanalista acompanhei durante 6 anos pais e familiares dos pacientes em Grupos Terapêuticos Operativos na ACAMRJ/ Instituto Fernandes Figueira. Um trabalho de escuta e busca de elaboração das angústias frente ao trauma do contato com o diagnóstico, dos impactos desestruturantes no seio das famílias, e no lidar com as vicissitudes e dramas cotidianos do tratar e oferecer a medicação vital necessária! Acompanhei a luta permanente, mas também o luto dilacerante dessas famílias, enfrentando perdas de seus filhos em tenra ou jovem idade. Sobre esta experiência apresentei um trabalho no 1º Congresso de FC, com a presença do eminente pesquisador da Universidade de Stanford nesta área, o dr Richard Moss (vd anexo).A FC é uma doença de mutação genética até aqui incurável, mas que vem respondendo cada vez melhor a promissores medicamentos sintomáticos, com o avanço do conhecimento e das pesquisas sobre a moléstia. Como é o caso do Lumacaftor/Ivacaftor, de altíssimo custo e que somente o SUS pode suprir, esperança de melhor qualidade de vida dos pacientes FC, e conseqüentemente de seus familiares, e sobretudo de estender em muito o tempo para uma vida digna e produtiva!</p> <p>2ª - Sim, Vide resposta nº 7 porque Discordo da recomendação preliminar da CONITEC de NÃO incorporação ao SUS do medicamento Lumaftor/Ivafcor aos portadores de Fibrose Cística(FC)</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
27/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Desfavorável</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Porque o medicamento tem excelente resultado para os pacientes portadores de fibrose cística , melhorando absurdamente a função pulmonar e gástrica . Diminuindo assim a quantidade de enzimas pancreáticas usadas e deixando de tomar vários outros medicamentos . O número de internação diminui , chegando a quase zero nos pacientes que já fazem uso do medicamento. E melhor , não relatam efeito colateral ao ponto de ter que parar o medicamento.</p> <p>2ª - Sim, Todos sem exceção que estão fazendo uso do medicamento , estão com qualidade de vida próximo ao normal .</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O medicamento em questão apresenta, a anos, resultados satisfatórios em vários países e seria a única esperança de tratamento atualmente conhecida para a fibrose cística, um esforço justo pelo direito à vida desses pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
27/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. O medicamento oferece melhorias rápidas e prolongadas da função pulmonar, reduzindo as situações de hospitalização dos pacientes. Outro efeito positivo do medicamento é a melhora nas avaliações nutricionais das pessoas que se submeteram ao tratamento.Sendo assim, além de o estado economizar com o custo de eventuais e certas hospitalizações (sem contar todo o trâmite necessário de TFDs, consultas iniciais e encaminhamentos), o mesmo proverá uma melhor qualidade de vida ao paciente, o que, por via de lei, é dever do estado.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, O medicamento oferece melhorias rápidas e prolongadas da função pulmonar, reduzindo as situações de hospitalização dos pacientes. Outro efeito positivo do medicamento é a melhora nas avaliações nutricionais das pessoas que se submeteram ao tratamento.Sendo assim, além de o estado economizar com o custo de eventuais e certas hospitalizações (sem contar todo o trâmite necessário de TFDs, consultas iniciais e encaminhamentos), o mesmo proverá uma melhor qualidade de vida ao paciente, o que, por via de lei, é dever do estado.Uma vez sendo dever do estado, o paciente poderá entrar com ação contra o estado por não prover o básico, que neste caso, refere-se a saúde e bem estar.</p> <p>4ª - Sim, O mesmo do item 12</p> <p>5ª - Não</p>	
28/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Queremos os remédios. São uma esperança de qualidade de vida p os fibrocisticos. Nessas condições o direito à vida por se só não basta, o estado tem que garantir uma qualidade de vida para essas pessoas e se esses medicamentos vão contribuir para isso eu discordo com essa posição da conitec.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/08/2020	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
28/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
28/08/2020	Paciente	1ª - Discordo. Unidos para receber os medicamentos.Sou paciente tenho FC preciso dos medicamentos 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
28/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. A incorporação do lumacaftor/ivacaftor para tratamento da fibrose cística é de fundamental importância para mudança no cenário de mortalidade do paciente com fibrose cística. A fibrose cística em pacientes com mutação homozigotos para deltaF508 geralmente apresentam uma doença grave, com evolução rápida e mortalidade precoce. Uma medicação que muda o curso da doença é de fundamental importância para seu tratamento. Como a doença causa uma lesão pulmonar progressiva e permanente, não se espera um grande aumento da melhora da função pulmonar com qualquer medicação administrada, assim, uma pequena melhora pode significar uma possibilidade de redução rápida de perda. Necessitamos avaliar outros parâmetros para inclusão da medicação no SUS como redução das exacerbações, redução dos custos dos tratamentos instituídos, melhora da qualidade de vida e melhora de outras funções como função pancreática, ganho de peso e assim, poderemos estimar que esses pacientes terão consequentemente aumento significativo da sobrevida. 2ª - Sim, 3ª - Sim, 4ª - Não 5ª - Não	Clique aqui Clique aqui

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. ATE 5 ANOS ATRAS , A FIBROSE CISTICA ERA TRATADA APENAS COM SUPORTE RESPIRATORIO MEDICAMENTO E GASTROINTESTINAL .NAO TENDO NENHUMA MEDICACAO ESPECIFICA PARA O RESOLUCAO DO DEFEITO GENETICO DA ENFERMIDADE.COM A DESCOBERTA DE MOLECULAS MODIFICADORAS DA PROTEINA CFTR , RTEMOS AGORA UM NOVO GRUPO DE MEDICAMENTOS QUE ATUAM CORRIGINDO O DEFEITO BASICO DA FIBROSE CISTICA .A ASSOCIAÇÃO DE LUMACFTOR E IVACAFTOR TROUXE UMA NOVA REALIDADE PARA NOS MEDICOS QUE CUIDADOS DE PACIENTES COM FIBROSE CISTICA .A PARTIR DE AGORA TEMOS UMA EFETIVA QUE ATUA NA CORREÇÃO DA PROTEÍNA CFTR , CAUSADORA DA ENFERMIDADE .</p> <p>2ª - Sim, TRABALHOS PUBLICADOS NA LITERATURA ESPECIALIZADA EM DIVERSOS PAISES , ONDE O LUMACAFTOR E IVACAFTOR FORAM PADRONIZADOS , MOSTRARAM O BENEFICIO CLINICO E DE VIDA REAL DA DROGA .1. GANHO DE FUNÇÃO PULMONAR2, MELHORA DA FUNÇÃO GASTROINTESTINAL3,DIMINUIÇÃO DOS NÍVEIS DE CLORO NO SUOR 4. MELHORA DA QUALIDADE DE VIDA5, DIMINUIÇÃO DAS EXACERBA COES E INTERNACOES HOSPITALARES6. GANHO NA SOBREVIDA</p> <p>3ª - Sim, EMBORA SEJA UMA DROGA DE ALTO CUSTO , ACREDITAMOS QUE O PRECO PARAATICADO PELA INDUSTRIA DEVA CAIR AO LONGO DO TEMPO , ATE UM CUSTO MUITO BAIXO QUANDO DA QUEDA DA PATENTE,DEVEMOS LEMBRAR QUE UM PACIENTE CONTROLADO CLINICAMENTE IRA GASTAR MENOS REMEDIOS DE EXACERBACOES E INTERNACOES HOSPITARES, QUE ;E O MAIOR CUSTO NA FIBROSE CISTICA .ALEM DISSO TERMOS UMA SOBREVIDA MAIOR, COM POSSIBILIDADE D E UM CONTROLE QUASE TOTAL COM AS NOVAS DROGAS DA CLASSE QUE VIRAO.NAO PODEMOS DEIXAR ESTES PACIENTE EVOLUÍRAM MAL E DOM DIMINUIÇÃO DA FUNÇÃO PULMONAR .AS POSSIBILIDADES FUTURAS DE MELHORA DO TRATAMENTO DA FC SAO REAIS</p> <p>4ª - Sim, O IMPACTO ORÇAMENTÁRIO , APARENTEMENTE NAO SERÁ MUITO, POIS OS CRITÉRIOS DE ELEGIBILIDADE , RESPOSTA AO TRATAMENTO E RETIRADA DA DROGA PROPOSTOS PELO gbefc, SAO BEM DEFINIDOS .E SOMENTE OS PACIENTE COM BOA RESPOSTA CLINICA CONTINUARAO NO TRATAMENTO</p> <p>5ª - Sim, UMA MEDICAÇÃO QUE ATUA NO DEFEITO BÁSICO DA ENFERMIDADE ,(PRIMEIRA CLASSE DE DROGAS PARA FC)COM MELHORA DA FUNÇÃO PULMONAR E GASTROINTESTINAL COM GANHO DE PESO E QUALIDADE DE VIDA E PRINCIPALMENTE AUMENTANDO A SOBREVIDA E DIMINUINDO AS EXACERBACOES PULMONARES E SER POR VIA ORAL , SERIA ALTAMENTO RECOMENDADO A SUA INCOORPORACAO AOS PACIENTES</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/08/2020	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo. Discordamos do relatório que não recomenda a incorporação, pois não existe nenhum medicamento disponível no Sistema Único de Saúde (SUS) com ação direta na proteína CFTR e no seu funcionamento. Por isso é de suma importância a incorporação deste medicamento no rol do SUS para tratamento dos pacientes com fibrose cística que apresentam a mutação na qual o lumacaftor/ivacaftor tem ação. Esse medicamento associa um corretor (lumacaftor, que melhora a produção e transporte do canal de cloreto para a membrana da célula) e um potencializador (ivacaftor, que aumenta a probabilidade de abertura do canal e transporte de íon cloreto pelo canal) do gene regulador de condutância transmembrana da fibrose cística e foi a primeira terapia gênica aprovada pelos órgãos reguladores de saúde mundiais para o tratamento da fibrose cística.</p> <p>2ª - Sim, Com relação as evidências científicas do relatório em questão, que se basearam em seis estudos clínicos, podemos observar que houve melhora nos resultados apresentados em todos os estudos. Foi observado melhora na função respiratória, ganho de peso, redução de cloreto no suor e de eventos adversos graves nos grupos de pacientes tratados com lumacaftor/ivacaftor quando comparados com o grupo placebo. Esses resultados já são favoráveis e já qualificam a inclusão do medicamento no SUS. O relatório da CONITEC considera resultados de “moderada qualidade de evidência”, no entanto quando se trata de uma patologia onde se tem comprovadamente uma baixa qualidade de vida em consequência de suas complicações uma moderada melhora pode ser considerada um grande ganho. O relatório ainda cita que não existem trabalhos que mostram melhora na sobrevida dos pacientes. No entanto, Rubin e colaboradores (2019) mostraram dados que preveem que a associação de lumacaftor/ivacaftor + tratamento padrão podem aumentar a sobrevida em 7,8 anos a mais do que sem o moderador.</p> <p>3ª - Sim, Não há de se considerar que o maior problema para a inclusão do lumacaftor/ivacaftor no rol do SUS, assim como de outros moduladores do canal CRFT, seja a questão do custo da medicação, considerando inacessível a sua compra pelos pacientes, que, é infelizmente um grande empecilho para o uso do medicamento, restando a eles somente a tutela governamental. Outros países apresentaram a mesma dificuldade, conforme descrito pelo próprio relatório da CONITEC, o qual afirma que vários países atrelaram a incorporação do medicamento a redução de seu preço pelo demandante. Por isso sugerimos que o governo brasileiro faça um acordo com o demandante, onde vincule a incorporação do medicamento na lista do SUS a redução do custo do medicamento, já que a relevância do uso do medicamento na vida do paciente deve sobrepor fatores econômicos. Com essa sugestão acreditamos que a compra do lumacaftor/ivacaftor terá no futuro um menor impacto orçamentário.</p> <p>4ª - Sim, Consideramos que como a finalidade do modulador é corrigir o erro genético certamente ocorrerá a redução no uso de outros medicamentos utilizados pelos pacientes, pois a associação lumacaftor/ivacaftor irá tratar a causa da patologia e não os sintomas decorrentes. Também achamos que quanto antes ocorrer o início do tratamento pelo paciente menor será a possibilidade de aparecerem complicações relacionadas com a fibrose cística. O uso de moduladores irá reduzir não somente gastos com medicamentos que tratam os sintomas da fibrose cística, mas também os gastos com os exames, internações para controle das exacerbações da doença, internações em UTI e transplante do pulmão.</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>5ª - Sim, Outro motivo apresentado no relatório da CONITEC para a não inclusão do medicamento no SUS é a necessidade de exame de genotipagem específico. Podemos afirmar que atualmente grande parte dos pacientes brasileiros já tiveram seus exames genéticos realizados, assim como novos pacientes diagnosticados através do teste do pezinho já possuem a confirmação da patologia pelo exame genético. Esses exames são realizados pelo demandante em parceria com o Grupo Brasileiro de Estudos de Fibrose Cística (GBEFC). E o exame realizado para a determinação exata da mutação do paciente é o sequenciamento do gene. Recentemente começamos a formar um banco de dados com as mutações dos pacientes brasileiros o Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC), que é vinculado ao GBEFC. Esses dados são de extrema importância pois com a confirmação exata do diagnóstico é possível realizar o tratamento correto do paciente, assim como será também correto o investimento público no tratamento desses pacientes. A Associação Brasileira de Assistência à Mucoviscidose, representando todos os pacientes com fibrose cística no Brasil, solicita a incorporação do lumacaftor/ivacaftor no rol de medicamentos do SUS visando um futuro melhor para nossos pacientes bem como a efetiva correção dos recursos públicos destinados ao tratamento da doença.</p>	
28/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
28/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. É importante que seja colocado a realidade da vida de um paciente com PC. Não concordo porque as medicações recebidas hoje pelo SUS CONSIDERADOS PALIATIVOS E NÃO AJUDAM NO TRATAMENTO DO AVANÇO DA DOENÇA. A esperança neste novo medicamento, pois ele vai tratar a doença. Os remédios que temos não protegem os nossos filhos do avanço da doença. e seu custo é muito alta para adquirir sem ser pelo SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Divulguem essa mediação para pacientes que precisam dela</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
28/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Sugiro que o lumacaftor/ivacaftor seja incorporado para tratamento da fibrose cística com idade &#8805; 6 anos que são homozigotos para a mutação F508del no gene CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator) tendo em vista que é o unico medicamento baseado no genótipo. Embora o custo seja elevado na literatura consta que teria uma redução das exacerbações e internações e melhora na qualidade de vida dos pacientes. De acordo que se faz necessária deixar a genotipagem disponível no SUS para o uso deste medicamento. att</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
28/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Para que os pacientes portadores de Fibrose Cística tenham uma homeostase corporal, existe a dependência de medicamentos para o funcionamento ideal de alguns órgãos exerçam suas funções orgânicas mantendo uma vida com saúde.</p> <p>2ª - Sim, A hipersecreção é algo de muita exacerbação, levando a quadros respiratórios descompensados e de difíceis estabilizações, sendo a taquipneia, taquicardia, tiragem intercostal e de fulcro bem notória nos pacientes, além de problemas no trato digestivo, levando a carências nutricionais entre outros.</p> <p>3ª - Sim, É de fácil observação, que as pessoas que estão nos leitos hospitalares, dependem dos serviços públicos e o nível social na grande maioria é baixo.</p> <p>4ª - Sim, Alguns dos medicamentos disponibilizados pelo governo, ficam indisponíveis por problemas burocráticos, levando ao agravamento do quadro clínico dos pacientes.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim, O medicamento ivacaftor é um potencializador da proteína CFTR, facilitando o transporte de cloreto por aumentar a probabilidade de abertura do canal .Não há disponível no SUS medicamentos de ação direta na proteína CFTR e seu funcionamento</p> <p>3ª - Sim, Embora o medicamento seja caro há espaço para a aplicação de recursos do SUS na sua compra para pacientes que não tenham condição de arcar com sua compra</p> <p>4ª - Sim, Temos que parar com a sangria dos orçamentos para a saúde pela roubalheira sistêmica.</p> <p>5ª - Não</p>	
28/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Estado igualitário deve tratar de forma desigual, os desiguais, na medida de sua desigualdade, e com o objetivo maior de preservação da vida. Assim, entendo como totalmente necessária a aprovação de medicamento corretivo do defeito da proteína para essa doença rara.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Sou médica e trabalho em psicanálise há mais de 30 anos. Sou mãe de uma moça de 32 anos com fibrose cística (FC). Sou uma das diretoras da Associação Carioca de Assistência á Mucoviscidose (ACAMRJ). Participo, há 16 anos, de um grupo de trabalho referente á FC na Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro para colaborar na manutenção da distribuição dos medicamentos sintomáticos oferecidos pelo SUS. Convidei duas colegas psicanalistas da Sociedade Brasileira de Psicanálise do Rio de Janeiro, da qual também faço parte, para fazerem um grupo de atendimento com familiares dos pacientes. Esse grupo funcionou durante seis anos e participei da chamada “Roda da Psicanálise” que ocorria uma vez por mês aos sábados. Tanto nesse grupo como em contato com os familiares pessoalmente, observei o alto índice de ansiedade e depressão que atinge a família dos pacientes, principalmente os pais. A insegurança medicamentosa é um fator de estresse constante. Os medicamentos oferecidos pelo SUS são sintomáticos. Ajudam a diminuir o sofrimento dos pacientes, mas não diminuem a progressão da doença. E inúmeras vezes há falta de um ou mais deles. Nesses momentos, o desespero dos pais é enorme! Depois de anos de luta contra a doença e sem vislumbrar um fim para essa luta, o estresse crônico dos pais e dos pacientes toma conta da vida de todos com graves consequências. A esperança na ciência e nos novos medicamentos como o Lumacaftor/Ivacaftor é um motor de vida. Não podemos perder essa esperança! O medicamento já está sendo usado em outros países e não podemos, no Brasil, ser excluídos do progresso científico alcançado. Vários artigos comprovam sua eficácia e segurança ao longo desse período de uso. Temos cerca de 25% dos pacientes brasileiros homocigotos para a mutação F508del. É preciso analisar os estudos observacionais, além dos randomizados, o que, lamentavelmente, não foi feito pela equipe que avaliou o medicamento. Chamo a atenção, então, para o alto acometimento de depressão e estresse como consequência da fibrose cística nos familiares dos pacientes. Não é desprezível como demonstro no trabalho em anexo sobre “Os Pacientes Invisíveis”. Tratar os pacientes com mutações elegíveis para o Lumacaftor/Ivacaftor tratará também os inúmeros familiares desses pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Sim, 3ª - Sim, 4ª - Não 5ª - Sim,	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Acompanho há cerca de 30 anos o sofrimento de uma família, seu empenho, sua dedicação, seu esforço em prol da vida de uma menina e de todos que padecem de fibrose cística e de seus familiares. Este novo medicamento, já aprovado em vários países -após pesquisas sérias que avalizaram seu uso-, traz esperança de um tratamento eficaz para a causa da doença e não somente para suas consequências. O relatório da CONITEC contém todos os termos que compõem o quadro clínico da doença, mas não traz o sofrimento embutido em cada um dos eventos descritos que são -em maior ou menor gravidade- diários e, portanto, comprometendo a qualidade de vida de todos que padecem de FC e seus familiares.Tudo isto acima sem falar da mortalidade produzida pela FC. Raros são aqueles que passam dos 30 anos! Uma droga que pode estender o tempo de vida e melhorar sua qualidade, testada amplamente em vários países, tendo, portanto, um custo-efetividade excelente não ser aprovada nos estarrece.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Se a questão econômica é fator importante para a não incorporação desta droga, que argumento usaremos para manter as cirurgias cardíacas, os transplantes, o tratamento de TODAS as doenças crônicas?Se o princípio a ser seguido é o utilitarista, ou seja, os recursos de que o país dispõe deveriam ser destinados ao maior número possível de pessoas, deveríamos no limite interromper e não iniciar o tratamento de quem quer que padeça de qualquer doença e destinar todo o orçamento da União para uma oferta de água e esgoto que atenda a toda a população. Aí sim, não deveríamos incorporar novas drogas para o tratamento de FC nem novas drogas para qualquer doença e nem fornecer as drogas já oferecidas para TODAS as doenças</p> <p>4ª - Sim, 1. Como se mede o valor de uma vida?2. Mesmo que se use o argumento bastante defensável que o dispêndio com uma pessoa possa prejudicar muitas pessoas, qual o limite para se definir o que é justo ou não?3. Será que os custos com todos os tratamentos das consequências da FC não serão iguais ou mesmo maiores que o custo desta nova droga?4. Se os Srs. membros da CONITEC tivessem um familiar - um filho - com FC, qual seria seu voto?</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/08/2020	Interessado no tema	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Essa medicação tem mostrado resultados satisfatórios para o tratamento de pacientes com fibrose cística. Há muito tempo não surgem novos tratamentos e essa medicação tem se mostrado muito promissora na melhorar da qualidade de vida e funcionalidade destes pacientes. 2ª - Sim, Essa medicação tem sido utilizada internacionalmente com bons resultados na melhorar da qualidade de vida e função pulmonar. É imprescindível no tratamento desta doença. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Sim, Está medicação tem se mostrado muito importante no tratamento desta doença com melhora na função do canal de cloro, qualidade de vida e função pulmonar. Há muito tempo não surgem drogas novas e promissoras no tratamento desta doença. 3ª - Sim, Está medicação pode fazer com que muitos pacientes sobrevivam mais tempo e possam postergar um transplante pulmonar. Tratamento ainda mais invasivo e dispendioso do que a medicação em questão. 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. As medicações comprovadamente reduzem a velocidade de progressão da doença, estabilizam o paciente e proporcionam sobrevida maior, aumentando as chances de o paciente chegar ao transplante de pulmão.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo. SENHORES A FIBROSE CÍSTICA É UMA DOENÇA DEGENERATIVA QUE AOS POUCOS VAI TORNANDO A NOSSA VIDA INVIÁVEL. TENHO FILHOS. PASSO 6 VEZES POR DIA NEBULIZANDO COM DISCIPLINA E DEDICAÇÃO, USANDO REMÉDIOS QUE SIMPLEMENTE TRATAM O SINTOMAS, MAS NÃO ME OFERECEM UMA MELHORA. TEMO NÃO ESTAR VIVA PARA VER MINHA FILHA CRESCER E ESSA EXPECTATIVA DE TER UM MEDICAMENTO QUE ASSEGURE QUE MINHA VIDA SEJA MAIS LONGA É UMA GRANDE ESPERANÇA. MEREÇO A CURA.</p> <p>2ª - Sim, REALIZO 6 NEBULIZAÇÕES POR DIATENHO VÁRIAS INTERNAÇÕES ANUAIS. TENHO CERTEZA DE QUE OFERECENDO UM REMÉDIO QUE MELHORE A CONDIÇÃO CLÍNICA DOS PACIENTES E NÃO APENAS OS MANTENHA COMO ESTÃO, A LONGO E CURTO PRAZO, SERÁ ECONOMICAMENTE MAIS EFICIENTE.</p> <p>3ª - Sim, UM MEDICAMENTO QUE PODE TRATAR OS SINTOMAS E REDUZIR O USO DE TODOS OS OUTROS MEDICAMENTOS E A QUANTIDADE DE INTERNAÇÕES OBVIAMENTE TERÁ IMPACTO POSITIVO NOS ORÇAMENTOS.</p> <p>4ª - Sim, UM MEDICAMENTO QUE PODE TRATAR OS SINTOMAS E REDUZIR O USO DE TODOS OS OUTROS MEDICAMENTOS E A QUANTIDADE DE INTERNAÇÕES OBVIAMENTE TERÁ IMPACTO POSITIVO NOS ORÇAMENTOS.</p> <p>5ª - Sim, É MUITO CANSATIVO FAZER UM TRATAMENTO TÃO LONGO, FISIOTERAPIAS, ANTIBIÓTICOS, HOSPITALIZAÇÕES, 6 NEBULIZAÇÕES DIÁRIAS E NÃO VER FIM NESSE PROCESSO E NEM CURA, MAS TÃO SOMENTE A MANUTENÇÃO DE UMA DOENÇA DEGENERATIVA SEM EXPECTATIVA DE MELHORA.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Medicação fundamental para a sobrevivência de portadores de fibrose cística 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Discordo, pq Estudos comprovam a eficácia do tratamento, melhorando a qualidade de vida dos pacientes e evitando um número grande de internações. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Discordo, pq Estudos comprovam a eficácia do tratamento, melhorando a qualidade de vida dos pacientes e evitando um número grande de internações. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Atuando como profissional na área de Psicologia, ainda durante minha formação, na Residência em Psicologia Hospitalar e da Saúde no Hospital Universitário da Universidade Federal de Juiz de Fora, tive a oportunidade de trabalhar no ambulatório de Pediatria para tratamento de crianças com Fibrose Cística. O HU-UFJF é referência para esta doença em Minas Gerais, sendo assim foi um grande aprendizado estar naquele espaço e prestar atendimento às crianças e famílias, que relatavam os sofrimentos vividos desde muito cedo, a dor frente ao prognóstico, o impacto da doença em toda a estruturação familiar e na qualidade de vida de todos os envolvidos, devido, entre outros aspectos, às constantes hospitalizações e limitações nas atividades de vida diárias, em alguns casos. Sendo assim, todas as dimensões da saúde, inclusive a dimensão psíquica, devem ser levadas em conta na discussão de possíveis medicações capazes de trazer benefícios aos portadores da doença, barrando sua progressão.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, A atuação do psicólogo da saúde deve estar focada na promoção da saúde e prevenção de doença, nos serviços clínicos a indivíduos saudáveis ou doentes e em pesquisa e ensino. Considerando o Art. 196 da CF que afirma ser a saúde um 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, discordo da Conitec e de sua recomendação de não incorporação do lumacaftor/ivacaftor para o tratamento da fibrose cística de pessoas com idade &#8805; 6 anos, uma vez que o alto custo não deve ser argumento plausível para a garantia do acesso à saúde.</p>	
29/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Como Profissional da saúde compreendo a luta pela vida desse pacientes e a importância sobre os benefícios que essa medicação irá proporcionar aos mesmos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Vimos, respeitosamente, DISCORDAR do parecer da CONITEC, para REQUERER, com a urgência merecida, a incorporação da medicação ora tratada ao SUS, com o fornecimento obrigatório às pessoas elegíveis que têm Fibrose Cística.</p> <p>2ª - Sim, FUNDAMENTAÇÃO CIENTÍFICA:A fibrose cística (FC) é uma doença genética autossômica recessiva caracterizada pela disfunção do gene CFTR, que codifica uma proteína reguladora de condutância transmembrana de cloro. Trata-se de uma doença multissistêmica: as principais alterações ocorrem no pâncreas exócrino, pulmões, intestino, fígado, glândulas sudoríparas e trato genital masculino. Ocorrem repercussões graves na nutrição e no crescimento, e muitos acometidos morrem devido às alterações pulmonares. O aumento da viscosidade de muco no trato respiratório causa dificuldade no transporte do oxigênio e infecção crônica, o que influencia na sua elevada mortalidade. O muco espesso também favorece a colonização de bactérias, principalmente a Pseudomonas aeruginosa, causando bronquiectasias, cor pulmonale e óbito. O elevado gasto energético provocado pelo processo inflamatório crônico, pelas exacerbações infecciosas, associado a má absorção dos alimentos, acarreta desnutrição crônica progressiva.No Brasil, a FC é uma das doenças de rastreamento obrigatório pelo teste de triagem neonatal, através da dosagem do tripsinogênio imunorreativo, de tal modo que cerca de 250 casos são diagnosticados anualmente. Estima-se no Brasil que a incidência de FC seja de 1:7.576 nascidos vivos, com diferenças regionais. Existem hoje cerca de 5.000 pacientes cadastrados no Registro Brasileiro de Fibrose Cística, base de dados proveniente da atuação de profissionais de saúde de mais de 50 Centros de atendimento distribuídos pelo país. No Estado de Pernambuco são acompanhados cerca de 110 pacientes em centro de referência, localizado no Instituto de Medicina Integral Prof. Fernando Figueira (IMIP). Apesar dos esforços da equipe multidisciplinar e fornecimento dos medicamentos, a sobrevivência dos pacientes não ultrapassa 15,6 anos.O tratamento da FC é complexo e demorado, mas os avanços nas terapias aumentaram significativamente a sobrevivência nas últimas 3 décadas. Até recentemente, as terapias eram direcionadas às manifestações da FC em órgãos-alvo. Por tratar-se de uma doença genética, ainda não possui cura definitiva. Desta forma, nos últimos nove anos, surgiram os medicamentos que visam o defeito básico na FC - o canal de íons da CFTR. Conhecidos coletivamente como moduladores CFTR, eles podem potencializar a atividade do canal CFTR - que está na superfície da célula epitelial - ou corrigir o defeito, permitindo que o CFTR alcance a superfície celular. Vários desses medicamentos estão em desenvolvimento, mas apenas quatro foram licenciados até o momento. O potenciador principal é ivacaftor, que pode ser usado sozinho ou combinado com um corretor como lumacaftor (Orkambi); tezacaftor (Symdeko) ou Elexacaftor (Trikafta).É possível afirmar, com fundamentação científica, que essas drogas alteram a história natural da doença, pois a evidência indireta de melhora na expectativa de vida vem de pesquisas que não incluem a mortalidade como resultado, mas sim em outros resultados na FC, que são conhecidos por afetar a expectativa de vida. O tratamento efetivo de drogas potenciadoras e corretoras, que visam defeitos moleculares específicos na proteína CFTR, permitiu um avanço relevante na terapia de fibrose cística.MEDICAÇÕES CORRETORAS E POTENCIADORAS DISPONÍVEIS NO BRASILumacaftor- Ivacaftor (ORKAMBI)O Lumacaftor é um corretor CFTR, que melhora o processamento e a estabilidade conformacional da CFTR Phe-508del, permitindo que a</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>proteína madura alcance a superfície. In vitro, o lumacaftor atua precocemente na biogênese da CFTR, limitando o dobramento defeituoso e melhorando as interações entre as proteínas que atravessam a membrana e as de ligação aos nucleotídeos. A terapia combinada de lumacaftor e ivacaftor é eficaz para o tratamento da FC em homozigotos Phe-508del e recebeu a aprovação de uma série de agências regulatórias desde 2015. Inicialmente aprovado para maiores de 12 anos, recentemente o seu uso foi estendido para crianças entre 6-11 anos. No Brasil foi liberado pela ANVISA em 23 de julho de 2018. Além de melhorar o VEF1, os benefícios observados da terapia, em estudos controlados com placebo e abertos, incluem aumento do índice de massa corporal (IMC), melhora dos sintomas respiratórios e diminuição da frequência de exacerbações pulmonares; esta última é especialmente importante, uma vez que o aumento da sua frequência está associado à taxa de declínio da função pulmonar. Além disso, dados da literatura de estudos de acompanhamento de dois anos, comparando o VEF1 em pacientes que receberam terapia com lumacaftor-ivacaftor continuamente, mostram uma redução significativa na taxa de declínio deste. Este efeito sendo mantido ao longo de anos de terapia, a diferença final na função pulmonar entre pacientes tratados e não tratados certamente será substancial; dados de acompanhamento limitados sugerem benefícios contínuos da terapia no VEF1 e no IMC. O perfil de segurança do lumacaftor-ivacaftor é bem caracterizado e geralmente favorável. Os ensaios clínicos demonstraram eventos adversos, sendo mais comum a sensação de opressão torácica e dispneia, os quais são geralmente transitórios e não requerem o término da terapia na maioria dos pacientes tratados. É importante ressaltar que esses sintomas ocorrem principalmente no início da terapia. Entretanto é recomendado o monitoramento regular dos testes de função hepática para todos os pacientes que iniciam a terapia combinado, assim como exames oftalmológicos basais e periódicos.</p> <p>Ivacaftor (KALYDECO) O Ivacaftor, um potenciador da CFTR, melhora o transporte de cloro em pacientes classe III e aqueles com mutações com função residual; foi a primeira terapia aprovada que melhora a função da proteína CFTR com mutação, e, liberado no Brasil pela ANVISA em 3 de setembro de 2018. Em estudos clínicos, os pacientes tratados com ivacaftor demonstraram benefícios sustentados na função CFTR e correspondentes benefícios substanciais e sustentados na função pulmonar, nas exacerbações pulmonares, sintomas respiratórios e ganho ponderal. Dados abrangentes de estudos clínicos e pós-comercialização, em diferentes populações de pacientes, demonstraram que o ivacaftor retarda a progressão da doença. Os dados apresentados apoiam ainda mais que o ivacaftor é uma terapia modificadora da doença, consistente com o mecanismo de ação que aborda o defeito subjacente na FC. Pacientes acompanhados nos EUA e no Reino Unido, por até 5 anos, demonstraram efeitos favoráveis sustentados da terapia com este medicamento na progressão da doença. Os resultados são consistentes com os achados observados nos estudos anteriores e fornecem suporte adicional de que o ivacaftor modifica o curso da doença em pacientes com FC. A perda progressiva da função pulmonar é um dos principais fatores de mortalidade e os pacientes tratados com ivacaftor tiveram função pulmonar melhor preservada em longo prazo, em comparação a controles não tratados em ambos os registros; assim também observou-se menor prevalência de <i>Pseudomonas aeruginosa</i> em um período de 5 anos, o que pode ser atribuído a aumentos na depuração mucociliar mediado pelo ivacaftor. Os autores também reportaram uma redução significativa nas taxas de exacerbações pulmonares, bem como hospitalizações em pacientes tratados com ivacaftor em relação ao basal (pré-tratamento) e</p>	

comparados aos não tratados, como também se observou que a intervenção com ivacaftor poderá melhorar o controle glicêmico. Finalmente, dados da literatura demonstraram uma melhora expressiva no estado nutricional em pacientes tratados com ivacaftor. CONCLUSÕES: Há fundamentação favorável na literatura científica para respaldar a indicação dos medicamentos corretores e potenciadores para os pacientes portadores de Fibrose Cística no Brasil. O objetivo dos medicamentos é a modulação da CFTR, demonstrada nas pesquisas clínicas que os mesmos são capazes de fornecer função suficiente à CFTR para eliminar o declínio no FEV1, e as inúmeras complicações da fibrose cística, modificações estas inclusive sustentadas por longo período. É possível afirmar também que estas modificações benéficas reflitam no aumento da qualidade de vida e, principalmente, na sobrevivência dos pacientes.

3ª - Sim, Os gastos que o Governo já tem com internamentos recorrentes, prolongados; com transplantes de pulmões; com cirurgias digestivas; com fisioterapia respiratória; com gastroenterologistas; com nutricionistas; enfim, com vários tipos de tratamentos e profissionais sem que se possa vislumbrar o final de tais gastos, haja vista a inexistência de medicação que modifique o curso natural da doença e/ou promova a cura, como a que ora estamos pleiteando. A nova medicação tem alto valor econômico, sendo este inviável para um cidadão comum. As famílias, em sua maioria são hipossuficientes, realidade vivida pela grande maioria no Estado de Pernambuco. Porém, apesar do tratamento ser dispendioso do ponto de vista individual, o fato é que, sendo a doença rara, serão fornecidos para poucas pessoas. Se levarmos em consideração este aspecto, o custo total não será elevado para o Governo. Seria muito produtivo investir em medicações que tratam a doença em si. As crianças e adolescentes que morrem precocemente (no estado de Pernambuco a média de idade no óbito não ultrapassa 15,6 anos), caso recebessem uma medicação que efetivamente as tratasse, poderiam atingir a maioridade com dignidade e integrarem o mercado de trabalho. Por fim, como avaliar economicamente uma vida? O argumento econômico inegavelmente sucumbe quando em contraponto com os direitos à Vida, à Saúde e à Dignidade, todos consagrados na Constituição Federal como direitos fundamentais.

4ª - Sim, A nova medicação tem alto valor econômico, sendo este inviável para um cidadão comum. As famílias, em sua maioria são hipossuficientes, realidade vivida pela grande maioria no Estado de Pernambuco. Porém, apesar do tratamento ser dispendioso do ponto de vista individual, o fato é que, sendo a doença rara, serão fornecidos para poucas pessoas. Se levarmos em consideração este aspecto, o custo total não será elevado para o Governo. Seria muito produtivo investir em medicações que tratam a doença em si. Os gastos que o Governo já tem com internamentos recorrentes, prolongados; com transplantes de pulmões; com cirurgias digestivas; com fisioterapia respiratória; com gastroenterologistas; com nutricionistas; enfim, com vários tipos de tratamentos e profissionais sem que se possa vislumbrar o final de tais gastos, haja vista a inexistência de medicação que modifique o curso natural da doença e/ou promova a cura, como a que ora estamos pleiteando.

5ª - Sim, A fibrose cística (FC) é uma doença genética autossômica recessiva caracterizada pela disfunção do gene CFTR, que codifica uma proteína na reguladora de condutância transmembrana de cloro. Trata-se de uma doença multissistêmica: as

[Clique aqui](#)

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>principais alterações ocorrem no pâncreas exócrino, pulmões, intestino, fígado, glândulas sudoríparas e trato genital masculino. Ocorrem repercussões graves na nutrição e no crescimento, e muitos acometidos morrem devido às alterações pulmonares. O aumento da viscosidade de muco no trato respiratório causa dificuldade no transporte do oxigênio e infecção crônica, o que influencia na sua elevada morbimortalidade. O muco espesso também favorece a colonização de bactérias, principalmente a <i>Pseudomonas aeruginosa</i>, causando bronquiectasias, cor pulmonale e óbito. O elevado gasto energético provocado pelo processo inflamatório crônico, pelas exacerbações infecciosas, associado a má absorção dos alimentos, acarreta desnutrição crônica progressiva. No Brasil, a FC é uma das doenças de rastreamento obrigatório pelo teste de triagem neonatal, através da dosagem do tripsinogênio imunorreativo, de tal modo que cerca de 250 casos são diagnosticados anualmente. Estima-se no Brasil que a incidência de FC seja de 1:7.576 nascidos vivos, com diferenças regionais. Existem hoje cerca de 5.000 pacientes cadastrados no Registro Brasileiro de Fibrose Cística, base de dados proveniente da atuação de profissionais de saúde de mais de 50 Centros de atendimento distribuídos pelo país. No Estado de Pernambuco são acompanhados cerca de 110 pacientes em centro de referência, localizado no Instituto de Medicina Integral Prof. Fernando Figueira (IMIP). A Farmácia do Estado de Pernambuco realiza a dispensação dos medicamentos sintomáticos previstos na Norma Técnica SES/PE No. 06/2013 (revista em 06/2020) através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF. Apesar dos esforços da equipe multidisciplinar e fornecimento dos medicamentos, a sobrevida dos pacientes não ultrapassa 15,6 anos. Por tratar-se de uma doença genética, ainda não possui cura definitiva. Nos últimos nove anos, surgiram os medicamentos que visam o defeito básico na FC - o canal de íons da CFTR. Conhecidos coletivamente como moduladores CFTR, eles podem potencializar a atividade do canal CFTR - que está na superfície da célula epitelial ou corrigir o defeito permitindo que o CFTR alcance a superfície celular. Vários desses medicamentos estão em desenvolvimento, mas apenas quatro foram licenciados até o momento. O potenciador principal é ivacaftor, que pode ser usado sozinho ou combinado com um corretor como lumacaftor (Orkambi); tezacaftor (Symdeko) ou Elexacaftor (Trikafta). É possível afirmar que essas drogas alteram a história natural da doença, pois a evidência indireta de melhora na expectativa de vida vem de pesquisas que não incluem a mortalidade como resultado, mas sim em outros resultados na FC, que são conhecidos por afetar a expectativa de vida. O tratamento efetivo de drogas potenciadoras e corretoras, que visam defeitos moleculares específicos na proteína CFTR, permitiu um avanço relevante na terapia de fibrose cística. MEDICAÇÕES CORRETORAS E POTENCIADORAS DISPONÍVEIS NO BRASIL Lumacaftor- Ivacaftor (ORKAMBI) O Lumacaftor é um corretor CFTR, que melhora o processamento e a estabilidade conformacional da CFTR Phe-508del, permitindo que a proteína madura alcance a superfície. In vitro, o lumacaftor atua precocemente na biogênese da CFTR, limitando o dobramento defeituoso e melhorando as interações entre as proteínas que atravessam a membrana e as de ligação aos nucleotídeos. A terapia combinada de lumacaftor e ivacaftor é eficaz para o tratamento da FC em homocigotos Phe-508del e recebeu a aprovação de uma série de agências regulatórias desde 2015. Inicialmente aprovado para maiores de 12 anos, recentemente o seu uso foi estendido para crianças entre 6-11 anos. No Brasil foi liberado pela ANVISA em 23 de julho de 2018. Além de melhorar o VEF1, os benefícios observados da terapia, em estudos controlados</p>	

com placebo e abertos, incluem aumento do índice de massa corporal (IMC), melhora dos sintomas respiratórios e diminuição da frequência de exacerbações pulmonares; esta última é especialmente importante, uma vez que o aumento da sua frequência está associado à taxa de declínio da função pulmonar. Além disso, dados da literatura de estudos de acompanhamento de dois anos, comparando o VEF1 em pacientes que receberam terapia com lumacaftor-ivacaftor continuamente, mostram uma redução significativa na taxa de declínio deste. Este efeito sendo mantido ao longo de anos de terapia, a diferença final na função pulmonar entre pacientes tratados e não tratados certamente será substancial; dados de acompanhamento limitados sugerem benefícios contínuos da terapia no VEF1 e no IMC. O perfil de segurança do lumacaftor-ivacaftor é bem caracterizado e geralmente favorável. Os ensaios clínicos demonstraram eventos adversos, sendo mais comum a sensação de opressão torácica e dispnéia, os quais são geralmente transitórios e não requerem o término da terapia na maioria dos pacientes tratados. É importante ressaltar que esses sintomas ocorrem principalmente no início da terapia. Entretanto é recomendado o monitoramento regular dos testes de função hepática para todos os pacientes que iniciam a terapia combinado, assim como exames oftalmológicos basais e periódicos. Ivacaftor (KALYDECO) O Ivacaftor, um potenciador da CFTR, melhora o transporte de cloro em pacientes classe III e aqueles com mutações com função residual; foi a primeira terapia aprovada que melhora a função da proteína CFTR com mutação, e, liberado no Brasil pela ANVISA em 3 de setembro de 2018. Em estudos clínicos, os pacientes tratados com ivacaftor demonstraram benefícios sustentados na função CFTR e correspondentes benefícios substanciais e sustentados na função pulmonar, nas exacerbações pulmonares, sintomas respiratórios e ganho ponderal. Dados abrangentes de estudos clínicos e pós-comercialização, em diferentes populações de pacientes, demonstraram que o ivacaftor retarda a progressão da doença. Os dados apresentados apoiam ainda mais que o ivacaftor é uma terapia modificadora da doença, consistente com o mecanismo de ação que aborda o defeito subjacente na FC. Pacientes acompanhados nos EUA e no Reino Unido, por até 5 anos, demonstraram efeitos favoráveis sustentados da terapia com este medicamento na progressão da doença. Os resultados são consistentes com os achados observados nos estudos anteriores e fornecem suporte adicional de que o ivacaftor modifica o curso da doença em pacientes com FC. A perda progressiva da função pulmonar é um dos principais fatores de mortalidade e os pacientes tratados com ivacaftor tiveram função pulmonar melhor preservada em longo prazo, em comparação a controles não tratados em ambos os registros; assim também observou-se menor prevalência de *Pseudomonas aeruginosa* em um período de 5 anos, o que pode ser atribuído a aumentos na depuração mucociliar mediado pelo ivacaftor. Os autores também reportaram uma redução significativa nas taxas de exacerbações pulmonares, bem como hospitalizações em pacientes tratados com ivacaftor em relação ao basal (pré-tratamento) e comparados aos não tratados, como também se observou que a intervenção com ivacaftor poderá melhorar o controle glicêmico. Finalmente, dados da literatura demonstraram uma melhora expressiva no estado nutricional em pacientes tratados com ivacaftor. CONCLUSÕES: Este comitê afirma que há fundamentação na literatura científica que respalda a indicação dos medicamentos corretores e potenciadores para os pacientes portadores de Fibrose Cística no Brasil. O objetivo dos medicamentos é a modulação da CFTR, demonstrada nas pesquisas clínicas que os mesmos são capazes de fornecer função suficiente à CFTR para eliminar o declínio no FEV1, e as inúmeras

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		complicações da fibrose cística, modificações estas inclusive sustentadas por longo período. É possível afirmar também que estas modificações benéficas reflitam no aumento da qualidade de vida e, principalmente, na sobrevida dos pacientes.	
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Esses medicamentos sao os únicos que existe para o tratar a Fibrose Cística.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Sou tio de uma criança de 3 anos e 6 meses portadora de Fibrose Cistica. Quem conhece o dia a dia da doença sabe o sofrimento que é. Ninguém merece perder uma vida por não liberar essa medicação Orkambi. O alto custo não justifica, porque vidas não tem preço. Vamos implorar que essa comissão se sensibilize e libere a medicação, para ajudar essa criança que tanto precisa desse medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A medicina de precisão é o resultado do avanço da pesquisa e da tecnologia, considerar apenas os custos não é suficiente para a tomada de decisão, a promessa da medicina de precisão é melhorar a qualidade e a expectativa de vida, e nossos esforços devem ser direcionados para permitir que a medicina de precisão alcance todas as suas expectativas</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Nossa contribuição técnico-científica tem como objetivo promover uma reflexão sobre a recomendação preliminar da Conitec e dar subsídios para uma reconsideração desta decisão e torná-la favorável à incorporação no SUS do Ivacaftor para pacientes com fibrose Cística acima de 6 anos que apresentem mutações de gating.</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. A fibrose cística é uma genética, altamente progressiva, alta morbidade e letalidade. Diminui muito a expectativa de vida dos pacientes. Todos os tratamentos até então so combatem os sintomas e não a causa, todas os tratamentos existentes são paliativos. O "ORKAMBI" é a única droga capaz de combater a causa da doença, não há alternativas ao seu uso. Ela devolve a esperança e a vida aos pacientes</p> <p>2ª - Sim, Minha filha tinha sofridas e longas internações, 03 a 04 por ano, cuja duração de cada internação durava cerca de 28 dias, com uso de medicações paliativas caras, com gastos excessivos, muito sofrimento, infecções pulmonares recorrentes, comprometimento pulmonar severo, hemoptises (sangue no catarro), crise absortiva severa, inanição, com gastos excessivos de suplementos alimentares, antibióticos pesados caríssimos dados através de acesso central, risco de morte iminente em toda infecção repetitiva. Hoje depois de 08 meses de uso de ORKAMBI, os dados de sua espirometria melhoraram significativamente, a VEF1 antes do uso do ORKAMBI era de 58%, depois de 06 meses apenas de uso do ORKAMBI foi para 74%, hoje não tem mais hemoptises (sangramento pelo catarro), engordou 10 kg, e depois de 01 ano e seis meses, ela não precisou se internar nenhuma vez sequer, isso é uma conquista que precisa se consolidar, sem crises de febre</p> <p>3ª - Sim, Os tratamentos paliativos até então soa muito repetitivos e caros, internações longas, além de sofridas envolve enormes gastos com medicações e aparatos. É uma FALACIA dizer que a implementação do ORKAMBI significará aumento de gastos significativos, pois é o CONTRARIO. Estudos realizados nos EUA confirmam que o uso dos moduladores diminuem significativamente as internações, os óbitos e transplantes pulmonares, trazendo economia para os cofres públicos , além de promover tratamento de qualidade aos pacientes, dando-lhe realmente de fato o seu direito a vida (direito universal e claro na constituição brasileira)</p> <p>4ª - Sim, Impacto orçamentário negativo é deixar do jeito que está, os pacientes morrendo devagarzinho, com medicações caras que não resolvem, pois não combatem efetivamente a causa. Estudos científicos provam além da efetividade da droga (reguladores), elas representariam um impacto positivo orçamentário, pois evitariam gastos fúteis com medicações que não resolvem</p> <p>5ª - Sim, Aos senhores da CONITEC que são técnicos e avaliam objetivamente todas as questões, mas que também são senhores pais ou mães, ou sabem a dor que é passar por problemas de saúde que aparentemente são complexos, eu apelo aos senhores empatia, trata-se de viver ou morrer, apelamos aos senhores somente o nosso desejo de nossos filhos poderem viver , alcançarem seus sonhos, a viver com um grau de qualidade relativo. Abro meus coração como pai e cidadão e afirmo que caro não é os reguladores, caro é o preço da ma gestão e da corrupção assassina, caro são os governos gastarem milhões de reais em hospitais de campanha que nunca foram usados durante a pandemia, caro são os governos darem 200.000,00 em apenas um só respirador artificial (já que seus preço é bem mais em conta). Caro é isso. O ORKAMBI é nosso pedido para continuarmos vivendo. Caso os senhores revertam o parecer inicial, agradeceremos a Deus e evitaremos muitas mortes, sofrimentos e gastos desnecessários e evitaremos a judicialização desse assunto, pois enquanto houver vida vou lutar todos os dias de minha vida em prol de um direito básico , A VIDA, não descansarei.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A droga é de extrema importância para o tratamento desta doença</p> <p>2ª - Sim, Estudos robustos comprovam importância e eficácia da droga no tratamento da doença</p> <p>3ª - Sim, Droga de acesso impossível para grande maioria dos pacientes (\$)</p> <p>4ª - Sim, Considero importante redução de custos com o tratamento das comorbidades e complicações da fibrose císticas.</p> <p>5ª - Sim, Droga de grande ajuda na qualidade de vida e expectativa de vida dos pacientes</p>	
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Trata-se de medicamento que foi considerado eficaz em estudos clinicos e que pode modificar a historia natural da fibrose cistica nos pacientes elegiveis.</p> <p>2ª - Sim, Estudos clinicos consideraram o medicamento eficaz. Devemos reconhecer que alguns estudos foram curtos, mas o seguimento de muito longo prazo ainda nao é disponivel. Esses estudos ja demonstram evidencia de atenuacao dos efeitos da doenca.Fundamental tambem ressaltar que o medicamento deveria ser utilizado o mais precocemente possivel, ja ha estudos em crianas menores demonstrando a segurança do medicamento. Esses sao potencialmente os pacientes que poderiam ter o melhor efeito, diante da irreversibilidade de muitas das complicacoes ao longo do tempo de doença.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, O tratamento é seguro em crianças menores, e a precocidade da sua introdução pode modificar completamente a historia natural da doença; o mesmo deve ser considerado tambem para menores de 6 anos, prevenindo sequelas significativas.</p>	
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Sim, 4ª - Não 5ª - Não	
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não Concordo e Não Discordo 2ª - Não 3ª - Sim, Essas medicações são muito caras e deveria ser disponibilizado pelo SUS 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Sou pai de uma menina. Minha primeira e única filha. A Náтали é quase loirinha, cabelos castanhos claros, com os olhinhos verdes quase azuis. Depende do dia esta azul.Coisa mais linda. Pode ate parecer elogio de pai coruja, claro que todo pai acha seu filho lindo, mas ela ganha elogio de todo mundo. A minha bebe é bem tagarelinha, fala, fala fala. Também é muito esperta. Graças a Deus não tem nenhum defeito físico. Quem a vê ,quem não sabe, nem imagina que ela tem uma doença rara, sem cura, que infelizmente causa muitos problemas .Sempre sonhei em ter 3 ou mais filhos. Porem após o nascimento da “Nati” descobriu no teste de pezinho que ela tem fibrose cística. Nem sabia o que se tratava essa doença, quando tivemos o primeiro diagnóstico.Choramos muito com essa noticia. Nossa alegria acabou. As pesquisas mostravam que quem tem essa doença, não tem uma vida fácil. E sua expectativa de vida é muito baixa.Fui uma reviravolta em nossa vida.Moramos em Bento Gonçalves -RS e após a confirmação do teste fomos encaminhados a Porto Alegre. Nesse momento aos 3 meses de idade dela, nossa rotina mudou completamente. Em 3 meses tivemos que nos deslocar 6 vezes a Porto Alegre ,para efetuar teste de confirmação da doença. Após isso aguardamos a secretaria de saúde municipal de Bento nos encaminhar a um Centro de tratamento de fibrose. Demorou 2 meses, tempo preciosos.Com 5 meses de idade a Nati começou o tratamento no hospital das clínicas de Porto Alegre com a equipe liderada pelo doutor Maróstica e com a pneumologista Dr.Elenara Procyanoy.Descobrimos ai que se tivéssemos outros filhos o risco deles nascerem com FC era de 25%,um risco muito grande. Por esse motivo decidimos que não teríamos mais nenhum .Pois somente quem tem ou passa por essa doença sabe quão duro é a rotina.Hoje a Nati tem quase 3 aninhos, a cada mínima refeição que ela faz ,ou qualquer bolachinha que coloca na boquinha tem que tomar uma cápsula de Creon 10000.Toma quase 22 comprimidos por dia ,sem reclamar. Tudo isso porque seu pâncreas não funciona direito, está obstruído de muco .Graças ao SUS recebemos essa medicação, pois não teríamos condições financeiras de comprar somente esse medicamento, imagina os demais.Mas não para por ai, duas vezes ao dia ,ela faz inalação,10 min de uma solução hipertônica com um nebulizador ,que antes de tudo tem que ser esterilizado. Isso quando ela esta bem, sem tosse, coriza ou qualquer sintoma em seus pulmões. Se esta ruim ,passa de 3 vezes ao dia. Essa solução, vamos dizer assim, da uma ajudinha para descolar o muco no seu pulmão. Mas para tentarmos tirar ele pra fora ,entra ai as sessões de fisioterapia. La vamos nos 30min,apertando seu peito, com forca ,comprimindo o máximo seu pulmão para que num golpe de soltar ou por uma tosse esse bendito muco venha pra fora. O que fica lá ,é o pior problema.Como os pacientes de Fibrose não retém as vitaminas em seu corpo, eles tem que tomar um multivitamínico para que possam ficar fortes e menos suscetíveis a recaídas da doença. Por esse motivo minha filha toma o Dekas,1ml por dia. Esse também recebia do SUS, porem a 1 ano já ,nos e várias famílias daqui não estamos recebendo. O mesmo é importado, não temos como comprar. Sem tomar o multivitamínico a possibilidade de eles enfraquecer é muito grande ,vindo assim a internar num hospital.Nossa rotina já é grande, e tende a piorar. Fomos muitas vezes ao hospital. Graças a Deus nunca internamos. Mas a maioria dos pacientes da nossa associação, interna no mínimo 1 vez ao ano. Passam 1 mês ou mais em tratamento. Uma paciente passou 1 ano e meio internada em tratamento. Nesses três anos da Náтали, vi muitos pacientes vir a morrer.Imagine você ter um filho que toda vez que você olha pra ele, sabe que sua rotina será um hospital ou sabe que não verá ele por muito tempo. Imagine que todo tratamento que é feito ,toda rotina é em vão, pois nada ataca a</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>doença, e sim tudo que fizemos e tratamos é para conter os problemas que a mesma causa. Por três anos pesquisei ,algum tratamento que talvez poderia curar meu nenê. Mas nada que cientificamente provasse uma melhora. Nada que ataque a doença em si. Os medicamentos que minha filha usa não impede o avanço da doença. E agora depois de tanto tempo ,finalmente aparece uma medicação que pode dar uma sobrevida para minha filha e para muitos outros pacientes. Que evitaria gastos enormes com internações hospitalares. Que daria uma vida melhor a todos. Se também analisarem o fator econômico também aprovariam pois ,não estão levando em conta todos os gastos com isso. Se levassem em conta todos os processos ,gastos com juízes ,advogados e ministério publico também aprovariam. Nada justifica essa decisão ,nem economicamente. Se tomarem essa decisão ,só mostrarão que não levam em conta a vida de ninguém. A vida de minha filha e de muitos está em suas mãos. Vocês tem o poder de felicidade em suas mãos. Por favor aprovem a inclusão destes medicamentos. Obrigado!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Se leavarem em conta os custos com internações de pacientes de FC,a inclusão e distribuição de medicamentos é mais barata Os processos continuarão e tem um custo altissimo.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A combinação Lumacaftor/Ivacaftor permite melhor funcionamento da proteína CFTR. O resultado disso é a redução do impacto dos sintomas da doença sobre os pacientes.</p> <p>2ª - Sim, A literatura aponta menor número de exacerbações infecciosas da doença e menor perda de parâmetros de função pulmonar.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Melhora da qualidade de vida dos pacientes.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O MEDICAMENTO VAI MUDAR A SOBREVIDA DE PACIENTES PORTADORES DESSAS MUTAÇÕES DA FIBROSE CÍSTICA. OS PACIENTES SE BENEFICIARÃO DE FORMA MUITO SIGNIFICATIVA. ELES PRECISAM DESSA MEDICAÇÃO PARA SOBREVIVER DE FORMA DIGNA.</p> <p>2ª - Sim, O MEDICAMENTO MELHORA A FUNÇÃO PULMONAR DOS PACIENTES E ESTE DADO É VITAL PORQUE A MORTE ADVÉM DA FUNÇÃO PULMONAR MUITO BAIXA E INFECÇÕES RESPIRATÓRIAS. ALÉM DO MAIS HÁ UMA MELHORA EXPRESSIVA DA NUTRIÇÃO O QUE TAMBÉM CONTRIBUI PARA A SAÚDE RESPIRATÓRIA ALÉM DA NORMALIZAÇÃO DOS NÍVEIS DE CLORETO NO SUOR.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, SOU PNEUMOLOGISTA PEDIÁTRICA E COORDENADORA DE CENTRO DE REFERÊNCIA EM FIBROSE CÍSTICA EM MINAS GERAIS E OBSERVO A RÁPIDA DETERIORAÇÃO DA FUNÇÃO PULMONAR DAS CRIANÇAS E ADOLESCENTES, SENDO QUE MUITOS DELES APRESENTAM A MUTAÇÃO DA QUAL O USO DESTE MEDICAMENTO ORKAMBI FARIA TOTAL DIFERENÇA NA QUALIDADE DE VIDA E SOBREVIDA DOS PACIENTES E SUAS FAMÍLIAS. APROVEM ESTE MEDICAMENTO PARA OS CASOS SELECIONADOS E DAREMOS UM SALTO NO TRATAMENTO DESTA DOENÇA QUE ATINGE MUITOS ÓRGÃOS, EXCETO O CÉREBRO. POR ISSO, SÃO PESSOAS CAPAZES, INTELIGENTES E QUE MERECEM VIVER BEM.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. as autoridades precisam ajudar a populacao que não tem acesso aos medicamentod</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo. É imprescindível que essas medicações continuem sendo fornecida aos pacientes. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Sofrimento do paciente e do familiar. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Minha experiência com a pesquisa do medicamento OrkambiEscrevo aqui como pesquisadora especializada em Fibrose Cística (FC). Fiz doutorado pesquisando a proteína defeituosa da FC, a chamada CFTR e atualmente faço Pós-doutorado nos EUA justamente pesquisando drogas que são chamadas de moduladoras da proteína CFTR, como é o caso do medicamento em questão, o Orkambi.Eu não trabalho com pacientes, mas sim com as células Pulmonares de pacientes com FC. Recentemente, tem se observado que a resposta em células (in vitro) a medicamentos como o Orkambi se relaciona diretamente com a resposta clínica no paciente (in Vivo) .A pesquisa que eu faço visa compreender mais profundamente como o Orkambi e outros remédios moduladores afetam o muco pulmonar dos pacientes com FC. E por que estudar o muco? Porque o muco anormal é a principal consequência do defeito celular que a FC gera. Esse defeito então leva a um muco mais desidratado e pegajoso, o que impede a sua correta eliminação.Em indivíduos saudáveis, bactérias que são inspiradas para os pulmões, se aderem ao muco e ambos são eliminados do nosso organismo com a ajuda do batimentos dos nossos cílios pulmonares, esse é um mecanismo fisiológico de proteção dos pulmões. Já na FC, como o muco é pegajoso e desidratado, os Cílios pulmonares ficam comprimidos e não conseguem eliminar a secreção e as bactérias. Dessa maneira, ambos se acumulam nos pulmões dos pacientes de FC, gerando infecções crônicas e com o tempo inflamação e destruição do tecido pulmonar. Nos meus estudos que em breve serão publicados, percebo uma diferença significativa na hidratação do muco das células tratadas com Orkambi. Meus dados são mais um exemplo do quanto essa droga está atuando diretamente no principal problema que leva a toda a cascata fisiopatológica da FC.Além disso, quando avaliamos um medicamento como o Orkambi precisamos ter em mente que a FC é progressiva e sistêmica. A prevenção da progressão da doença se faz resolvendo o problema de base da FC, como corrigindo a proteína defeituosa CFTR. Esse medicamento é uma mudança de paradigma justamente por ser o primeiro medicamento a atuar no problema de base da doença. A hidratação do muco em todos os órgãos afetados evita a progressão dos mecanismos fisiopatológicos da FC. Evitar a progressão é um dado difícil de ser mensurado, mas muito importante para se ter em mente quando se avalia um remédio para uma doença progressiva.Muito importante também são os dados de mundo real do uso do Orkambi, peço que por favor se refiram ao seguinte artigo:PR Burgel, AJRCCM 2020;201:188Este artigo fala sobre a efetividade do Orkambi (Lumacaftor e Ivacaftor) no mundo real. O artigo completo se encontra em anexo.Como importantes resultados esse artigo demonstrou o seguinte:“Os pacientes com exposição contínua ao lumacaftor – ivacaftor mostraram um aumento absoluto no ppFEV1 (+ 3,67%), um aumento no índice de massa corporal (+0,73 kg / m2) e uma diminuição nos cursos de antibióticos intravenosos em 35%. Pacientes que descontinuaram o tratamento tiveram diminuição significativa no ppFEV1, sem melhora no índice de massa corporal ou diminuição nos cursos de antibióticos intravenosos.”</p> <p>2ª - Sim, Muito importante também são os dados de mundo real do uso do Orkambi, peço que por favor se refiram ao seguinte artigo:PR Burgel, AJRCCM 2020;201:188Este artigo fala sobre a efetividade do Orkambi (Lumacaftor e Ivacaftor) no mundo real. O artigo completo se encontra em anexo. Como importantes resultados esse artigo demonstrou o seguinte:“Os pacientes com exposição contínua ao lumacaftor – ivacaftor mostraram um aumento absoluto no ppFEV1 (+ 3,67%), um aumento no índice de massa corporal (+0,73 kg / m2) e uma diminuição nos cursos de antibióticos intravenosos em 35%. Pacientes que</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>descontinuaram o tratamento tiveram diminuição significativa no ppFEV1, sem melhora no índice de massa corporal ou diminuição nos cursos de antibióticos intravenosos.”</p> <p>3ª - Sim, Importante ressaltar, como mostra no artigo anexado que avaliações no impacto da diminuição de internações relacionadas ao tratamento dos sintomas da FC devem ser considerados. Já que o medicamento em questão irá atuar no defeito de base da FC, diminuindo assim todas as suas complicações. Internações por aumento das infecções pulmonares serão evitadas. Também vão diminuir as internações por complicações digestivas da FC e principalmente diminuir a necessidade de Transplantes de pulmão. Todas essas complicações são onerosas para o SUS. Fora isso, há a possibilidade de ter mais jovens crescendo com menos complicações de saúde e mais produtivos.</p> <p>4ª - Sim, Sendo a Fibrose Cística uma doença de prevalência rara, o modelo de análise orçamentaria deve ser diferenciado do utilizado para doenças mais prevalentes. Já que drogas órfãs para doenças raras necessariamente serão mais custosas.</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Discordo pois acompanhei durante cinco anos vários pacientes com fibrose cística. Fiz um acompanhamento psicológico de familiares de pacientes com FC. Compartilhei o sofrimento causado por uma doença crônica tanto para o paciente quanto para os familiares, levando a quadros de ansiedade e depressão. Presenciei a dor da perda de filhos jovens com consequências graves para as famílias. No SUS só existem medicamentos sintomáticos e os pacientes poderiam agora com a evolução das pesquisas usufruir de uma droga eficaz para o tratamento da FC.</p> <p>2ª - Sim, Ainda que estudos citados no relatório da CONITEC apontem o medicamento como de moderada qualidade de evidência , o FDA aprovou este medicamento igualmente baseado em estudos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Desejo uma melhor qualidade de vida ao filho de uma amiga.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Valorização da vida. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Considero extremamente importante o tratamento com este medicamento. Pois impede a progressão da doença. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Sim, 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Embora o grande questionamento seja com poucas evidências de benefício e alto custo, estas conclusões decorrem de viés. O grande benefício desta medicação é para crianças ainda saudáveis, evitando a progressão da doença. Os indicadores que temos ainda são referentes à doença; inadequados para crianças saudáveis. Portanto, temos viés de aferição.</p> <p>2ª - Sim, Além dos trabalhos pivotais apresentados no relatório, há outros mais recentes: revisão sistemática/metanálise e relato de vida real que mostram benefícios do lumacaftor/ivacaftor. Apesar deste estudo de vida real incluir pacientes maiores de 12 anos, ele evidencia os benefícios esperados. Para crianças menores e com função pulmonar normal as evidências são mais difíceis. Na função pulmonar por exemplo, o VEF1 pode não ser um bom indicador de resposta, mas sim o Lung Clearance Index (LCI), aferido pelo exame de Whasout. CONFLITOS DE INTERESSE: Declaro que sou palestrante da Vertex e professora da Pneumologia da UERJ, coordenadora do ambulatório de Fibrose Cística, centro de referência para adultos com FC no RJ.</p> <p>3ª - Sim, Apesar de não ter formação técnica em farmacoeconomia, penso que a proposta de risco compartilhado com a indústria farmacêutica, que já é regulamentada pelo SUS, possa ser necessária inicialmente. A cada 6 meses poderíamos apresentar relatórios com resultados da evolução do paciente e de exames que comprovem o não malefício e a resposta ao tratamento.</p> <p>4ª - Sim, Este medicamento, melhorando a qualidade de vida e a sobrevida, contribuirá para a redução de incapacidade relacionada à FC. A redução das exacerbações também deve ter grande impacto em médio prazo em decorrência dos custos hoje com internações de pacientes com FC. As internações são prolongadas, com tratamentos complexos, requerindo múltiplos medicamentos, suplementos nutricionais, oxigenioterapia e muitos profissionais de diferentes áreas. Além de serem muito caras estas exacerbações pioram a doença e acarretam em mais morbimortalidade e custo para o SUS e a Previdência Social.</p> <p>5ª - Sim, Anexo relato de caso de paciente que acompanho no consultório.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Exatamente porque as medicações objeto do relatório preliminar são as únicas que atuam na BASE DA DOENÇA, é essencial que sejam incorporadas ao SUS.O relatório preliminar possui inconsistências.Cite-se o relato do aumento de adultos com fibrose cística na população brasileira. Ora, enquanto em 2017 o Brasil possuía 28,9% de pacientes adultos, no mesmo ano os adultos eram 53,6% das pessoas com fibrose cística nos Estados Unidos, o que escancara a fragilidade da política pública de atenção à doença no Brasil. Ainda, o relatório optou por apontar a mediana de sobrevida dos brasileiros, mas omitiu a média de idade dos óbitos. Em 2017 foram 50 óbitos, o que representa 1,5% do total de pacientes que constam no Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC)! A média de idade dos pacientes é de 17,4 anos no Brasil, absolutamente inferior aos países que adotam tecnologias mais avançadas.Não faz sentido implementar uma Política Nacional de Doenças Raras, incluir a fibrose cística no teste do pezinho e esgotar a política pública no diagnóstico.É preciso fornecer aos pacientes o único tratamento que atua na causa da doença, o que inclusive impacta nos custos do tratamento dos sintomas já oferecido (dentre eles o próprio custo do transplante).Na análise do ivacaftor, o relatório preliminar basicamente se posicionou pela existência de evidências robustas apenas para a mutação G551D. Ora, há 414 pessoas no CFTR2, registro que reúne a informação de 89.052 pacientes de todo mundo. Desses 414, nem todos estão vivos e nem todos teriam idade para serem elegíveis para um ensaio clínico. Assim, é impossível pensar que com um número tão limitado de pacientes seja possível organizar um estudo com um número suficiente de pacientes. O relatório menciona ainda que quatro mutações elegíveis para o ivacaftor não ocorrem no Brasil. Na verdade, são cinco mutações que atualmente não possuem pacientes com registro no REBRAFC (G1349D, G178R, G551S, G1251N e S1251N). Há 47 pessoas no mundo que tem ou tiveram uma dessas variantes. O fato de não existirem pacientes que possuam tais mutações atualmente no Brasil não afasta a possibilidade de um dia haver nascimentos de indivíduos com essas variantes. Nesse ponto, a sugestão de excluir as outras oito variantes além da G551D é particularmente cruel com os brasileiros, especialmente quando se sabe que a S549R é a 13a variante mais frequente na população brasileira, enquanto G551D é apenas a 33a.O relatório preliminar da CONITEC também excluiu cinco evidências, por considerar inadequado um acompanhamento inferior a seis meses. Ora, a doença é progressiva e fatal, o que faz com que seja eticamente inaceitável manter um grupo placebo por tanto tempo considerando-se os resultados positivos no grupo que recebeu o tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Exatamente porque as medicações objeto do relatório preliminar são as únicas que atuam na BASE DA DOENÇA, é essencial que sejam incorporadas ao SUS.O relatório preliminar possui inconsistências.Cite-se o relato do aumento de adultos com fibrose cística na população brasileira. Ora, enquanto em 2017 o Brasil possuía 28,9% de pacientes adultos, no mesmo ano os adultos eram 53,6% das pessoas com fibrose cística nos Estados Unidos, o que escancara a fragilidade da política pública de atenção à doença no Brasil. Ainda, o relatório optou por apontar a mediana de sobrevida dos brasileiros, mas omitiu a média de idade dos óbitos. Em 2017 foram 50 óbitos, o que representa 1,5% do total de pacientes que constam no Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC)! A média de idade dos pacientes é de 17,4 anos no Brasil, absolutamente inferior aos países que adotam tecnologias mais avançadas.Não faz sentido implementar uma Política Nacional de Doenças Raras, incluir a fibrose cística no teste do pezinho e esgotar a política pública no tratemnto.É preciso fornecer aos pacientes o único tratamento que atua na causa da doença, o que inclusive impacta nos custos do tratamento dos sintomas já oferecido (dentre eles o próprio custo do transplante).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Número de adultos com fibrose cística nos EUA é significativamente maior que no Brasil, visto que nos EUA se utiliza a medicação, aumentando a sobrevida. É um dos dois únicos medicamentos que age na base da doença, com possibilidade real de mudar o curso natural da doença. Existe no Brasil uma política pública de diagnóstico da doença com o teste obrigatório logo no nascimento então deveria haver uma política pública de tratamento incluída no SUS. Nos EUA, a utilização dessa medicação tem reduzido os custos com os pacientes com fibrose cística , pois reduz o tempo e número de internações dos pacientes bem como o custo com o tratamento das complicações relacionadas a fibrose cística .</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Acho que a medicação será benéfica para os pacientes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. No Brasil como no restante do mundo a mutação F508del é a mais frequente seja em homozigose ou em heterozigose. Até o momento os medicamentos utilizados no tratamento da Fibrose Cística existentes nos Centros de Referência de FC no Brasil, promovem somente o controle e que é parcial e intermitente da sintomatologia, não agindo diretamente na causa primária da doença. Recentemente foi registrado na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) uma nova opção terapêutica para o tratamento de portadores homozigotos da F508del. É uma associação dos fármacos Ivacagor e Lumacagor (Vertex) e que tem as funções associadas de uma droga corretora e uma potenciadora da função CFTR. A associação de Ivacagor + Lumacagor age diretamente na proteína CFTR, melhorando sua estabilidade e funcionalidade. Esse medicamento no Brasil está aprovado para pacientes maiores de 6 anos pode melhorar desfechos, qualidade de vida e sobrevida desses pacientes portadores dessa mutação. Pela primeira vez poderemos utilizar para tratar os nossos pacientes medicamento que vai agir diretamente na função da proteína CFTR e não somente medicamentos sintomáticos de suporte como os que temos utilizado até o momento.</p> <p>2ª - Sim, São várias as evidências clínicas de melhora para os pacientes fibrocísticos com doença leve e moderada portadores especialmente de uma ou duas mutações F508del especialmente. Mesmo não tendo um marcador específico que demonstre com segurança essa eficácia, provas indiretas como melhora da função pulmonar, nutrição, exacerbações e qualidade de vida dos pacientes que utilizam a medicação, Fora do país pude constatar ouvindo relato diretamente de pacientes e pais de pacientes a melhora significativa como um todo após a introdução da medicação. Um pai me disse que o namorado relatou que até o beijo da jovem portadora de FC, sua namorada, já não era mais salgado. Ratjen F., et al, 2017 publicou um ensaio clínico duplo cego randomizado, multicêntrico com 206 pacientes (6 a 11 anos), homozigotos F508del. Nesse estudo não foi relatado óbito. Houve melhora dos escores de qualidade de vida com a terapia combinada em comparação ao placebo, em todos os períodos de avaliação com alto grau de evidência. A frequência de exacerbações, desfecho de grande relevância apresentou redução de aproximadamente 26% a cada 48 semanas.</p> <p>3ª - Sim, A FC é uma doença crônica que representa um custo alto diário de medicamentos para o estado devido a dispensação de vários medicamentos até hoje sintomáticos, suplementos alimentares e vitaminas. Esses pacientes se submetem a internações frequentes e muitas vezes a tratamentos domiciliares pode curso longo sendo impedidos de frequentar escola e trabalho. Levando a uma piora do capital humano e desenvolvimento social para o paciente e familiares diretos. Os pacientes que apresentam resposta a medicação melhoram significativamente sua qualidade de vida com diminuição expressiva das exacerbações dos quadros respiratórios e também da sua nutrição diminuindo o custo final geral embutido de se manter um paciente cujo o tratamento realizado é somente o de suporte até o momento no Brasil. Esse paciente vai poder estudar, trabalhar como uma pessoa saudável, ser economicamente ativo e contribuir para o progresso da sociedade que vive.</p> <p>4ª - Sim, Acredito que a curto prazo o impacto orçamentário possa parecer elevado, porém a médio e longo prazo esse custo se dilui frente a melhora de saúde dos pacientes, com diminuição de internações, do uso de</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>suplementos alimentares e medicamentos de suporte da doença de um modo em geral.</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Estudos bem realizados mostrando melhora significativa do FEV1, redução de exacerbações pulmonares, melhora nutricional e melhora importante nas sinusopatias crônicas. Implica em impacto positivo na qualidade de vida. Menos uso de antibióticos e de internações.</p> <p>2ª - Sim, O próprio relatório mostra evidências do medicamento: melhora significativa do FEV1, menos exacerbações pulmonares, melhora nutricional, controle de sinusopatias. A Fibrose Cística é uma doença grave e deve-se agregar tratamento que melhore a qualidade de vida dos pacientes.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A Fibrose cística é uma doença genética, progressiva, obstrutiva e crônica. Potencialmente debilitante e que não possui na grade do Sistema Único de Saúde TRATAMENTO PARA A CAUSA DA DOENÇA. Hoje todos os medicamentos que estão disponíveis tratam APENAS SINTOMAS. Ou seja, ainda que se tenha uma rotina com medicamentos, tais como: enzimas pancreáticas, mucolíticos, corticóides orais, nasais, tópicos e pulmonares; antiácidos, antigases, remédios para refluxo, antibióticos orais, antibióticos para nebulização, antibióticos intravenosos, fisioterapia; isso não IMPEDE a EVOLUÇÃO da doença. Com o passar do tempo os pacientes vão adquirindo resistência a estes medicamentos e não mais passam a fazer efeito. Neste sentido, a doença começa a evoluir de uma forma que se torna incontrolável. Aos que possuem insuficiência pancreática evoluem para a diabetes. Como se não bastasse toda a medicação imprescindível para se tratar os sintomas é necessário o uso de suplementação alimentar intensa. Suplementos ricos em proteínas, carboidratos e gorduras com uma quantidade calórica que pode chegar de 1.5 a 2.0kcal/ML, os quais devem estar associadas às gorduras saturadas, insaturadas necessárias para melhorar o ganho de peso. O qual, se torna fonte de grande busca das pacientes. E que, ainda que haja o uso destes produtos, não necessariamente, o paciente será capaz de ganhar peso, pois as colonizações pulmonares deterioram a capacidade absorptiva dos alimentos e nutrientes. A Fibrose Cística é uma doença complexa que acomete todo organismo. Ainda que se tenha, no primeiro momento, como órgãos mais afetados o pulmão e o pâncreas, em fato, ela acomete todo o organismo. Como tem que fazer o uso pesado de medicamentos e suplementos, lesões orgânicas podem evoluir de forma mais severa e acometer todo o organismo. Já tivemos crianças com osteoporose, com lesão renal, colesterol e triglicerídeos altos, todos advindos da dieta hipercalórica e hiperprotéica necessária para a manutenção do peso corporal e IMC.</p> <p>2ª - Sim, O LUMACAFITOR/IVACAFITOR ATUA NA CAUSA da Fibrose Cística. Logo nos primeiros dias de uso do Lumacaftor/ivacaftor, observa-se uma melhora na capacidade respiratória do paciente. Eliminação das secreções mais profundas do pulmão, melhora na disposição do paciente. Com o passar dos dias é nítido o ganho de peso, o que permite a retirada dos suplementos. Com o medicamento atua a nível intracelular, ele altera o pH do meio fisiológico do paciente. Como consequência, observa a eliminação das secreções, e a diminuição das colonizações bacterianas que acometem o pulmão, fator de grande letalidade na Fibrose Cística. Em apenas 4 meses de uso do Lumacaftor/ivacaftor observou-se um aumento de VEF1/CVF: 72,9%; VEF1: 1,4L para VEF1/CVF 81,7%; VEF1: 1,70L (>100%). Em função da pandemia não foi possível efetuar nova prova de função. Já o ganho de peso saiu de 25,2kg, 1,27m altura (antes do lumacaftor/ivacaftor) para 29,7kg, 1,34 m altura (após o lumacaftor/ivacaftor)</p> <p>3ª - Sim, Ainda não se tem medicamento aprovado para a FIBROSE CISTICA CAPAZ DE TRATAR A CASUA DA DOENÇA. OU SEJA, os medicamentos que estão disponíveis na grade do SUS só tratam os sintomas e não impedem a evolução da doença.</p> <p>4ª - Sim, O Brasil ratificou o ACORDO TRIPS, o qual elenca alternativas governamentais para assegurar o acesso a medicamentos. Alternativas regulatórias asseguram uma política pública capaz de assegurar os preceitos constitucionais, no que tange ao direito a vida, dignidade da pessoa humana, direito a igualdade no tratamentos para assegurar a VIDA dos PACIENTES DE FIBROSE CISTICA. Como órgão regulador, tendo como a</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>finalidade avaliar se há tratamento efetivo capaz de TRATAR A DOENÇA FIBROSE CISTICA. O que se pode AFIRMAR é que NÃO HÁ TRATAMENTO EQUIVALENTE HOJE NA GRADE DO SUS. Não há medicamento que TRATA A CAUSA DA Fibrose Cistica</p> <p>5ª - Sim, O lumacaftor/ivacaftor é efetivo, dá resultado. Estagna a evolução da doença, pois trata a CAUSA DA DOENÇA.A fibrose cistica é uma doença sistêmica que se não for tratada na sua integralidade, leva a falência pulmonar. No Brasil a expectativa de vida da Fibrose Cística são de 20-25 anos.Os pacientes de Fibrose cística clamam pela direito de vida. Muito triste dispende todos os dias em torno de 5hs de tratamento e ainda assim, não ser capaz de sanar a evolução da doença. O lumacaftor/ivacaftor já está sendo utilizado em outros países e seus resultados são surpreendentes, eficaz e efetivo.</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. absurdo pessoas não terem acesso a um medicamento que pode salvar suas vidas</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, quem tem um milhão por ano pra remédio?</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim, Ver em anexo</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Desejo uma melhor qualidade de vida para filho da minha colega com este novo tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. ver anexo</p> <p>2ª - Sim, ver anexo</p> <p>3ª - Sim, documento anexo item 10</p> <p>4ª - Sim, documento anexo item 10</p> <p>5ª - Sim, documento anexo item 10</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Este rapaz é vizinho, amigo desde a infância da família e também do meu filho, sempre alegre e prestativo e jamais se ouviu ele se queixa ou reclamar de sua saúde, merece com toda certeza ter acesso aos medicamentos essenciais para sua saúde.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Paciente merece o tratamento, pois tem uma alegria de viver incrível e jamais reclamou da sua saúde.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O Lumacaftor/Ivacaftor é uma possibilidade de mudança no prognóstico do paciente com fibrose cística. Até hoje as terapias, que são de alto custo, apenas retardam o aparecimento de complicações.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Discordo. A recomendação preliminar da CONITEC foi negativa, portanto as seções a seguir apresentam os principais pontos que esclarecem e apoiam o valor do lumacaftor/ivacaftor, um medicamento modificador da doença que satisfaz a uma necessidade não atendida; benefícios clínicos sustentados em longo prazo para toda a população descrita acima; disponibilidade de acesso a pacientes em vários países do mundo; e nova proposta de preço.Vide Documento Final em anexo</p> <p>2ª - Sim, Os resultados dos ensaios clínicos de lumacaftor/ivacaftor totalizam 120 semanas de evidência de eficácia sustentada e da segurança do tratamento. Importantes desfechos foram avaliados, como a função pulmonar e a ocorrência de exacerbações pulmonares, que apesar de serem desfechos intermediários, estão diretamente relacionados à mortalidade. Os benefícios de lumacaftor/ivacaftor também foram observados em estudos observacionais, que representam uma importante fonte de evidência científica, além dos ensaios clínicos, apoiando o potencial do lumacaftor/ivacaftor para modificar a progressão da FC com o uso em longo prazo.Vide Documento Final em anexo</p> <p>3ª - Sim, Os métodos do estudo econômico apresentados pela Vertex foram considerados adequados para a avaliação do lumacaftor/ivacaftor para a indicação solicitada no contexto da incorporação ao Sistema Único de Saúde. Atualmente, há uma necessidade não atendida considerável para esses pacientes (ou seja, apenas a opção de tratamento sintomático). Ao longo de um horizonte de vida, a sobrevida mediana prevista (ou seja, idade no momento da morte) na coorte tratada com lumacaftor/ivacaftor foi de 41,09 anos versus 35,67 anos para pacientes tratados apenas com o tratamento sintomático, um ganho incremental de 5,43 anos.Vide Documento Final em anexo</p> <p>4ª - Sim, A Vertex protocolou uma proposta comercial diferenciada no dia 28/08/2020 no DGITIS para que o MS seja capaz de fornecer a única opção de tratamento que pode mudar a vida de pacientes com FC com mutação F508del. Essa proposta leva à redução no Impacto Orçamentário de R\$ 520 Milhões em cinco anos, o que significa uma redução de 32% no Impacto Orçamentário anteriormente apresentado.</p> <p>5ª - Sim, A Vertex espera com esta contribuição clínica e econômica adicional, muito respeitosamente, auxiliar no gerenciamento do orçamento para as doenças raras resultantes da incorporação de tratamentos inovadores. Com essa proposta, nos comprometemos a proporcionar aos pacientes o direito de acesso ao melhor tratamento possível e a apoiar os princípios da Universalidade, Equidade e Integralidade do Sistema Único de Saúde.Vide Documento Final em anexo</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo. No interesse da comunidade que o Instituto representa, elaboramos o documento anexo às perguntas 10 e 19, fundamentando nossa DISCORDÂNCIA do parecer preliminar desfavorável à incorporação do medicamento LUMACAFITOR/IVACAFITOR para pacientes acima de seis anos homozigotos para a mutação F508del. Nossa argumentação a seguir visa contestar alguns pontos levantados no relatório técnico e considera, inclusive, a inexistência de qualquer outra droga de mesma eficácia no mercado brasileiro, que possa agir diretamente no defeito base da doença, estagnando sua evolução e melhorando a qualidade de vida das pessoas com fibrose cística, a exemplo do relato a seguir: “Ana Clara, 11 anos, faz uso de Orkambi há 1 ano. 1 ano sem internações, 1 ano sem bactérias, 1 ano sem antibióticos inalatórios. ORKAMBI aumentou imensamente a qualidade de vida dela.” (Relato extraído da página “Elo de Fibra”, no facebook, postagem no dia 21 de Agosto de 2020 (https://www.facebook.com/elodefibra))18</p> <p>2ª - Sim, Conforme detalhamos exaustivamente em diversos tópicos no documento em anexo, para pacientes com duas cópias da mutação F508del e seus familiares, a expectativa de poder escapar dessa progressão natural da doença se concretizou com o aparecimento do primeiro modulador da proteína CFTR, para esse grupo de mutações. Esse medicamento Lumacaftor/Ivacaftor, foi aprovado pelo FDA, em 2015, nos Estados Unidos. Nota-se aqui que cinco anos já se passaram entre a aprovação desta nova tecnologia no FDA e o presente momento de discussão para incorporação da mesma no Brasil, demonstrando, novamente, um grande espaço de tempo para os pacientes brasileiros. Certos da leitura completa do documento, anexamos nosso extenso parecer sobre EVIDÊNCIAS CLÍNICAS à pergunta 10.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Objetivamos no documento anexo à pergunta 19 permitir à comissão um maior conhecimento sobre a realidade dos pacientes e de suas famílias, enfocando questões clínicas e questões relativas às perdas e danos psicológicos, sociais e econômicos de pacientes e de seus familiares. Como a fibrose cística é uma doença crônica e progressiva e os tratamentos aqui disponíveis apenas ajudam a contornar seus sintomas, conforme item b do documento em anexo, é justamente entre a adolescência e a vida adulta que algumas comorbidades adquiridas com a doença podem se estabelecer: osteoporose, diabetes relacionada à fibrose cística, alterações hepatobiliares, entre outras, além de inúmeros danos psicológicos que destacamos no documento em anexo.</p>	<p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. Acredito que haja necessidade da garantia de direito. considerando que há pessoas que não possuem condições financeiras para subsidiar o custeio do tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A fibrose cística (FC) é uma doença genética com acometimento multissistêmico, que resulta em redução da expectativa de vida. Dados brasileiros indicam que os óbitos relacionados à fibrose cística ocorrem predominantemente nos adolescentes, entre os 15 e 20 anos. O tratamento atual não cura; somente desacelera a perda progressiva da função pulmonar que culmina em insuficiência respiratória e morte. O surgimento dos novos medicamentos moduladores da CFTR, em especial o ivacaftor, foi um marco substancial na história da fibrose cística – agora existe tratamento do defeito básico, e não apenas das consequências. Os resultados iniciais com a associação lumacaftor-ivacaftor em pessoas com FC homozigotas para a variante F508del foram de magnitude inferior à observada com ivacaftor para indivíduos com mutações de gating. Entretanto, houve pacientes com resposta bastante expressiva da função pulmonar, melhora nutricional e redução de exacerbações pulmonares. Ciente do custo elevado dessas medicações, como médico que atua no SUS e como contribuinte, considero que é um recurso importante no tratamento dessa grave afecção - e que deve ser empregado em pacientes com doença pulmonar significativa, enquanto não dispomos da combinação tripla - essa sim, altamente eficaz para esse grupo de pacientes. Recomendo critérios claros e restritivos para introdução da droga, seguindo-se avaliação da resposta e SUSPENSÃO da mesma quando não houver efeito clínico objetivo significante.</p> <p>2ª - Sim, Os estudos clínicos com essa droga tiveram efeitos, na média, discretos na função pulmonar (cerca de 3% no VEF1) – porém houve pacientes com melhora bastante significativa, inclusive significativamente maiores do que as verificadas com medicamentos como Dornase alfa ou Tobramicina inalatória (Wainwright et al, N Engl J Med. 2015 Jul 16;373(3):220-31 - vide suplemento online do artigo) Além disso, em ensaios teóricos sobre o impacto dessa droga na velocidade da perda funcional em pacientes com fibrose cística, o estudo clínico de extensão de tratamento em pacientes homozigotos F508del estimou seu impacto em cerca de 40% de redução da velocidade de declínio. Desse modo, a manutenção do uso desse medicamento em pacientes que demonstrem resposta funcional poderia ser indicada para preservar sua saúde respiratória, até que medicamentos mais eficazes estejam disponíveis (como a combinação tripla, registrada no FDA e agencia européia) - Konstan MW et al, Lancet Resp Med 2017 Feb;5(2):107-1.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Utilizando dados de 2017 e incluindo pacientes com genotipagem, do total de 5.073 pacientes cadastrados no Registro Brasileiro de Fibrose Cística, 96 pacientes seriam elegíveis para esse medicamento no Brasil, se utilizássemos os critérios mais restritivos de consenso entre os médicos que tratam FC no país. Isso representaria num custo muito inferior ao estimado pelo modelo. Além disso, a proposta de interromper o uso do medicamento em pacientes que não demonstrarem benefício em desfechos objetivos de eficácia (função pulmonar e teste do suor), resultaria em redução adicional do impacto orçamentário. Nesse sentido, cabe ressaltar que a fibrose cística é atualmente uma das patologias crônicas com maior organização de atendimento no país; há cerca de 50 Centros mapeados pelo país, numa intensa colaboração e constante comunicação. O PCDT da fibrose cística encontra-se atualmente em reformulação, com a contribuição de especialistas do GBEFC, e certamente a incorporação desse medicamento ao rol de terapias recomendadas será condicionada a indicações específicas (explicitadas adiante, além da genética elegível), incluindo</p>	<p>Clique aqui</p>

mecanismos de controle dos benefícios do tratamento, como indicado acima e explicitado na próxima seção.

5ª - Sim, Descritos abaixo os critérios mais restritivos de emprego desse medicamento de alto custo: A Sociedade Brasileira de Pneumologia e Tisiologia (SBPT), o Grupo Brasileiro de Estudos da Fibrose Cística (GBEFC) e a Sociedade Brasileira de Pediatria (SBP) se uniram com intuito de apresentar uma proposta de uso mais racional dos moduladores da proteína CFTR. As associações médicas levaram em consideração o custo dos medicamentos e seu impacto orçamentário, porém ressaltam a importância da incorporação dos mesmos. A associação Lumacaftor+Ivacaftor (moduladores da CFTR) se configura como um marco histórico no tratamento de uma doença extremamente grave e associada à redução significativa da expectativa de vida e baixa qualidade de vida dos pacientes. As entidades médicas aqui representadas reconhecem algumas limitações nos resultados clínicos do uso dessa associação. Além disso, as entidades reconhecem a existência de uma nova associação de moduladores da CFTR de tripla combinação (elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor), recentemente aprovada nos EUA e Europa, com resultados muito superiores para indivíduos homocigotos para variante F508del. Entretanto, por se tratar de uma doença progressiva, muitos pacientes não podem esperar até a chegada desta nova associação, com risco de consideráveis agravos à saúde, inclusive risco de morte. A não incorporação desse medicamento seria um prejuízo incomensurável para os pacientes, sobretudo nos pacientes com doença mais avançada. Diante disso, sugerimos abaixo algumas indicações adicionais para garantir o acesso, sobretudo ao grupo de pacientes sob maior risco, incluindo um modelo de acompanhamento clínico, assim como critérios de descontinuação da droga quando apropriado. Indicações adicionais para prescrição da droga (necessário atender aos 3 requisitos): A. Estar vinculado a um Centro de Atendimento Especializado à FC; Justificativa: a fibrose cística é uma doença multissistêmica e complexa. Os centros de referência estão capacitados para o atendimento destes pacientes através de atendimento multiprofissional e seguimento de protocolos rígidos de acompanhamento. Além disso, isso garante um seguimento mais controlado dos pacientes, sendo possível acompanhar e avaliar os efeitos do tratamento. B. Ter manifestações da doença respiratória ou comprometimento nutricional (qualquer um dos itens); • FEV1 entre 40 e 70% do predito OU • Exacerbações pulmonares frequentes com necessidade de admissão hospitalar (>2x/ano) OU • Desnutrição ou percentil IMC < 15 Justificativa: As entidades médicas reconhecem a eficácia comprovada da associação lumacaftor+ivacaftor no ganho de função pulmonar, redução do número de exacerbações e melhora nutricional (aumento do peso e índice de massa corpórea) dos pacientes. Diante da existência de uma nova combinação tripla de modulador do CFTR com maior eficácia com perspectiva de chegada ao Brasil nos próximos anos e os custos atuais do medicamento, as entidades consideram apropriado garantir o acesso pelo menos ao grupo de pacientes de maior risco, como descrito acima, em que o atraso ao acesso do tratamento com moduladores da CFTR pode resultar em grave impacto negativo no prognóstico. C. Ter boa adesão ao tratamento: retirada regular e frequente de medicação no Centro de Atendimento, comparecimento regular às consultas ambulatoriais e de fisioterapia. D. NÃO ter sido submetido a transplante Justificativa: O objetivo do tratamento com os moduladores do CFTR é evitar a progressão da doença. Além disso, existe interação medicamentosa entre o uso dos imunossupressores e os moduladores do CFTR. Apresentações: Comprimidos revestidos contendo a associação lumacaftor/ivacaftor nas doses de 100mg/125mg e 200mg/125mg. Posologia: Pacientes com 12 anos ou mais: 2 comprimidos de

[Clique aqui](#)

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>200mg/125mg (dose diária total de 800mg de lumacaftor e 500mg de ivacaftor). Pacientes entre 6 e 12 anos: 2 comprimidos 100mg/125mg (dose diária total de 400mg de lumacaftor e 500mg de ivacaftor). Deve ser tomado por via oral, com alimentos contendo gordura. O comprimido não deve ser mastigado, dividido ou dissolvido. Se tiverem decorrido mais de 6 horas de esquecimento da dose, o paciente deve aguardar a próxima dose. Avaliação prévia à prescrição: antropometria, avaliação oftalmológica, espirometria, cultura de secreção respiratória, avaliação da função hepática e novo teste do suor (cloridômetro). Avaliação da resposta à medicação: •30 dias: espirometria, antropometria •3 meses: teste do suor (cloridômetro), espirometria, antropometria, avaliação da função hepática OBS: Caso o paciente apresente uma exacerbação pulmonar infecciosa nos primeiros 3 meses de tratamento, a reavaliação será postergada por 3 meses, mantendo o uso da medicação. Critérios de resposta satisfatória à medicação para continuidade do tratamento (qualquer um dos itens): •Redução de pelo menos 10 mmol/L na dosagem de cloretos no suor (cloridrômetro). •Aumento do VEF1 igual ou superior a 5% do valor prévio. Conduta frente a efeitos adversos à medicação: Os pacientes que apresentarem efeitos adversos à medicação deverão ser avaliados caso a caso, devendo ser considerada a suspensão da medicação na eventualidade de reações adversas moderadas a severas. Por se tratar de um medicamento com evidências clínicas comprovadas na melhora da evolução natural da doença, a equipe de saúde deve avaliar detalhadamente o caso com intuito de reverter os potenciais efeitos adversos e permitir que o paciente tolere o uso do medicamento.</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Referidos medicamentos devem ser incorporados para tratamento da fibrose cística por já existir comprovação da eficácia e melhor qualidade de vida aos pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, A incerteza de de como ocorrerá a substituição terapêutica no sistema e a velocidade dessa substituição, poderá ser sanada através de consulta a países que já incorporaram referida medicação.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. esse medicamento é essencial para o tratamento dos FCs homozigotos com mutação deltaF508.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Tais medicações já são incorporadas em outros países com eficácia comprovada, trazendo melhor qualidade de vida aos pacientes. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Sou Nutricionista da Associação Carioca de Assistência a Mucoviscidose - ACAM RJ. Trabalho com a Fibrose Cística há 10 anos, vejo no meu dia a dia de trabalho o olhar reflexivo de cada família pela incerteza no futuro dos seus entes queridos. Durante minha jornada acompanhando os pacientes do RJ, infelizmente perdemos 73 vidas, 73 famílias que ficaram dilaceradas, 73 pessoas que não tiveram a chance de conhecer e/ou utilizar essas novas medicações, que com toda certeza poderiam mudar esse cenário e o destino dessas pessoas. Por outro lado acompanho pacientes que já fazem o uso dessas medicações e a notória e rápida melhora no quadro clínico e qualidade de vida deles. E hoje, pelos quase 300 associados na ACAM RJ que lutamos pela incorporação desses medicamentos, para que todos tenham o mesmo direito. Toda vida importa, nenhuma vida tem preço. 2ª - Sim, Rápida melhora no quadro clínico (aumento da função pulmonar, e ganho de peso); qualidade de vida 3ª - Sim, Nenhuma vida tem preço, todos tem direito ao acesso as medicações. 4ª - Sim, Nenhuma vida tem preço, todos tem direito ao acesso as medicações. 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Sociedade médica	<p>1ª - Discordo. A fibrose cística (FC) é uma doença de herança autossômica recessiva com acometimento multissistêmico (sistema respiratório, gastrointestinal, hepático e genitourinário). Trata-se de uma doença complexa, de característica progressiva e potencialmente letal. O tratamento é também complexo e envolve medicamentos de alto custo, alguns deles custeados pelo Ministério da Saúde e outros pelas Secretarias Estaduais de Saúde, de tal modo que o acesso aos medicamentos não é uniforme no país. Muito avanços ocorreram nas últimas décadas relacionado ao manejo desta doença. Entretanto, ainda estamos falando de uma doença relacionada a uma redução importante da expectativa de vida e qualidade de vida comprometida por sintomas respiratórios, gastrointestinais e exacerbações pulmonares infecciosas frequentes. Entender nossa realidade nacional é fundamental para implementação de medidas personalizadas à nossa população e políticas de saúde mais eficazes. Diante disso, é de suma importância divulgarmos e entendermos o cenário brasileiro da fibrose cística muito bem representado pelo Registro Brasileiro de FC. O Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC) contém dados demográficos, de diagnóstico e tratamento de pacientes com fibrose cística do Brasil, com o objetivo de melhorar a atenção à doença em nosso país. Esta iniciativa completa nove anos com a publicação da última edição do relatório com dados de 2017. Já são mais de 5 mil pacientes registrados e a grande maioria com informações longitudinais de seguimento. É válido ressaltar que os números do registro brasileiro de FC são convergentes em relação aos números do Ministério da Saúde baseados na dispensação dos medicamentos de alto custo contidos no PCDT desta doença. Em 2017, tínhamos 5.128 registros de pacientes com FC, sendo 4.711 ativos. A maior parte dos pacientes se concentravam no Sudeste (47,5%), com 27% dos pacientes no estado de São Paulo e 12% em Minas Gerais. Importante ressaltarmos através desses dados o grau de comprometimento que esta doença expressa em nossos pacientes. Temos 28,9% dos nossos pacientes acima de 18 anos, contrastando com a realidade americana e europeia em que mais da metade desses pacientes já são adultos. Os dados antropométricos mostram uma grande parcela dos pacientes com IMC reduzido, mostrando um grande comprometimento nutricional relacionado à doença. Soma-se a este dado, um dado alarmante de grave redução da função pulmonar da nossa população com FC. Mais de 40% dos pacientes avaliados em 2017 tinham obstrução moderada ou grave. Importante ressaltarmos que a função pulmonar é o principal indicador prognóstico da doença, inclusive sendo indicado como critério de encaminhando para transplante pulmonar pelas diretrizes do Ministério da Saúde. Podemos destacar, também, que grande parte dos pacientes apresentam infecção crônica por bactérias patogênicas associadas a infecções pulmonares de repetição e perda de função pulmonar progressiva. Infecção crônica por <i>Pseudomonas aeruginosa</i> foi encontrada em 42,3% dos indivíduos e <i>Burkholderia cepacia</i> (complexo) em 7,8%). Cerca de metade de todos os pacientes avaliados em 2017 (1665 – 49,3%) apresentaram pelo menos uma exacerbação respiratória infecciosa no ano. Lembrando que essas exacerbações estão relacionadas a perda de função pulmonar progressiva e maior gastos relacionados à saúde, sem contar com o impacto negativo na qualidade de vida dos pacientes. No ano de 2017, tínhamos 156 pacientes em oxigenioterapia domiciliar contínua devido a fibrose cística. Neste ano também foram realizados 43 transplantes de pulmão em todo Brasil em decorrência desta doença. Destacamos que apenas 23,9% dos pacientes adultos com FC naquele ano apresentavam-se empregados, reforçando o impacto social desta doença nessa população. Por fim,</p>	

precisamos infelizmente mostrar os dados de mortalidade ocorridos em 2017 que são extremamente semelhantes ao dos anos anteriores dos relatórios. Ocorreram 50 óbitos no ano de 2017, sendo que a mediana de idade foi de 15 anos. Esse dado mostra o quanto esta doença ainda reduz a expectativa de vida de nossos pacientes de forma dramática e como medidas adicionais de manejo para estes indivíduos é urgente. Vivemos um momento único na história da FC quando finalmente temos disponível uma classe de medicamento que age diretamente no problema básico da doença. Nos últimos anos tivemos sim avanços terapêuticos. É inegável que reposição de enzimas pancreáticas, uso de mucolíticos e antibióticos inalatórios, atendimento multidisciplinar e tratamento agressivo das exacerbações foram benéficos para os nossos pacientes. Entretanto, sempre estivemos tratando as consequências que a doença causava. E, como exposto acima, ainda encaramos uma difícil realidade de convivermos com nossos pacientes deteriorando clínica e funcionalmente de forma precocemente inaceitável. Os moduladores do CFTR são drogas comprovadamente eficazes que agem diretamente na proteína defeituosa na FC restaurando sua funcionalidade. Trata-se de uma oportunidade única para mudarmos a história natural desta grave doença e conseguirmos mudar o difícil cenário dos nossos pacientes com FC em nosso país. A opinião dos profissionais da SBPT quanto ao uso de lumacaftor + ivacaftor em pacientes com fibrose cística homocigotos para mutação F508del é que ele é deve ser incorporado. Apresentaremos a seguir nos comentários uma visão crítica sobre o uso do medicamento, reforçando a incorporação do medicamento a um subgrupo mais específico em que o adiamento de uma terapia moduladora do CFTR pode acarretar graves prejuízos diante da progressão da doença.

2ª - Sim, A Sociedade Brasileira de Pneumologia e Tisiologia (SBPT) gostaria de salientar todo processo de desenvolvimento científico acumulado ao longo de décadas de estudos nacionais e internacionais em relação ao entendimento fisiopatológico da fibrose cística. Além disso, é extremamente importante salientar que estamos lidando com uma doença rara e genética que pode ser causada por centenas de diferentes variantes patogênicas. Obviamente, devemos levar em consideração às peculiaridades inerentes à avaliação de uma doença rara assim como todos os avanços científicos relacionados ao processo de desenvolvimento do conhecimento médico. Chamamos a atenção para estes fatos, porque o acúmulo científico adquirido ao longo dos anos permitiu diversos avanços no entendimento da doença e desenvolvimento de biomarcadores comprovadamente eficazes, tais como:- VEF1 (volume expiratório forçado no primeiro segundo): a importância desse marcador já foi inclusive reconhecido pelo próprio documento publicado pela CONITEC. O VEF1 é um marcador de gravidade da doença pulmonar na fibrose cística e está intimamente relacionado ao risco de exacerbações pulmonares, pior qualidade de vida e mortalidade. Soma-se a isso, o fato do próprio Ministério da Saúde reconhecer a importância desse marcador prognóstico nas doenças respiratórias tanto que é o principal indicador para encaminhamento de pacientes para transplante pulmonar. - Atividade do CFTR in vitro: modelos experimentais de culturas de células ou organoides permitem que diversos medicamentos possam ser testados nos diferentes cenários dos pacientes com FC. Esses modelos permitem que cada mutação possa ser testada de forma independente e a translação desses resultados para prática clínica já se mostraram críveis e reprodutíveis. - Atividade do CFTR in vivo: a dosagem de cloreto no suor é um dos principais exames para o diagnóstico de FC. Pacientes com FC possuem cloreto no suor elevado, consequência da disfunção da proteína CFTR que é um cana de cloro. Os moduladores do CFTR, incluindo o

[Clique aqui](#)

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>lumacaftor + Ivacaftor, reduzem significativamente os níveis de cloreto no suor mostrando, in vivo, a restauração da funcionalidade desta proteína com o tratamento. Este fato é de extrema relevância clínica tanto que também foi ressaltado pelo próprio documento da CONITEC que reforça que reduções de pelo menos 10 mmol/L de cloreto no teste do suor está associado à redução de mortalidade na FC. Gostaríamos de ressaltar que os estudos apresentados com lumacaftor + ivacaftor compararam essa intervenção à terapia padrão e mostraram ganho de função pulmonar (VEF1), redução no número de exacerbações, melhora nutricional e redução dos níveis de cloreto no suor. Essa variedade de benefícios clínicos apresentados pelos pacientes revela, também, que o benefício do lumacaftor + ivacaftor nesses pacientes não é exclusivo ao sistema respiratório mas com ações multi-sistêmicas. Gostaríamos de ressaltar alguns outros tópicos do documento publicado pela CONITEC que merecem revisão técnico-científica:1) documento rebaixa a qualidade da evidência dos estudos TRAFFIC e TRANSPORT por não haver detalhes sobre o processo de randomização e informações suficientes que garantam que o sigilo de alocação foi mantido no estudo. Trata-se de informação inverídica uma vez que todo protocolo de forma detalhada assim como dados suplementares estão publicados juntamente com o artigo no site da revista New England Journal of Medicine (https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/25981758/). De qualquer forma, anexamos o protocolo desses protocolos disponibilizado em domínio público nesta resposta. 2) próprio documento da CONITEC deixa claro que de forma consistente a associação de lumacaftor + ivacaftor esteve associado a ganho de função pulmonar, retardo na taxa de queda de função pulmonar, redução dos níveis e cloreto no suor e ganho nutricional. Entretanto, gostaríamos de ressaltar um outro desfecho clínico e extrema importância. As exacerbações pulmonares infecciosas foram tratadas na seção de eventos adversos. Esses eventos na verdade devem ser considerados como mais um desfecho de eficácia de alta relevância no acompanhamento dos pacientes com FC. Estão associadas a declínio funcional acelerado, pior qualidade de vida e redução de sobrevida. Este desfecho deveria ser considerado como, pelo menos, importante pela CONITEC.3) documento da CONITEC deixou de avaliar os dados de qualidade de vida, considerados pela própria CONITEC como um desfecho crítico, do estudo de Wainwright C et al (referência 6). Neste estudo, o tratamento com lumacaftor + ivacaftor foi eficaz na melhora da qualidade de vida dos pacientes. Chamamos a atenção que esses dados encontram-se no apêndice suplementar da publicação, disponibilizado no próprio site da revista New England Journal of Medicine (https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/25981758/). De qualquer forma, anexamos o apêndice suplementar disponibilizado em domínio público nesta resposta. 4) Por fim, gostaríamos de discordar das considerações finais apresentadas pela CONITEC:- Apresentam uma crítica à falta e desfechos mais “duros” como sobrevida e taxa de hospitalizações. Realmente, os dados de sobrevida são escassos por ser uma droga nova e necessidade de longos períodos de avaliação para comprovação dessa resposta. Entretanto, diversos modelos publicados, inclusive o apresentado nessa submissão de incorporação e validado pela CONITEC reconhece o ganho de sobrevida do medicamento para estes pacientes. Além disso, existe um equívoco ao afirmar que não existem dados de redução de hospitalização. A própria referência 6 do documento da CONITEC traz o dado de redução de exacerbações pulmonares infecciosas que levaram à hospitalização na magnitude de 61% (Figura 2 da referência 6). Trata-se de uma redução de risco extremamente relevante num desfecho clínico de alta relevância para esta doença. Chamamos atenção novamente que, de forma</p>	

equivocada, o documento traz a avaliação de exacerbações infecciosas como desfechos de segurança quando deveriam ser considerados desfechos de eficácia. Além disso, esses dados foram obtidos em um estudo com 1.122 pacientes. Trata-se de um dos maiores, senão o maior, estudo randomizado já realizado em doenças raras, reforçando a robustez e relevância do dado. - É dito que os dados de qualidade de vida são escassos, sendo que mais uma vez o documento deixou de incluir os dados do estudo da referência 6 com mais de 1000 pacientes randomizados. Chamamos a atenção que o fato dos dados estarem no apêndice suplementar da publicação não significa que não devem ser levados em consideração. Tais dados foram alvo de todo processo de revisão e análise regular das revistas e comunidade científica. - Não fica claro o motivo pelo qual a CONITEC considerou os achados como pouco relevantes. A associação de lumacaftor + ivacaftor apresentou melhora da qualidade de vida que é considerado um desfecho crítico pela própria CONITEC. Além disso, está claro o ganho de função pulmonar que também é comprovadamente reconhecido como desfecho associado a sobrevivida e qualidade de vida na FC. E, por fim, está comprovada a eficácia da droga tanto na redução de exacerbações como hospitalizações. Diante de todos dados acima expostos, comprova-se a eficácia clínica do lumacaftor + ivacaftor em pacientes homozigotos para mutação F508del. Reconhecemos que os benefícios clínicos apresentados não são tão robustos como ao apresentados para outros moduladores do CFTR e que devemos ter acesso em breve a uma nova combinação tripla de moduladores do CFTR para pacientes homozigotos F508del como melhor eficácia. Entretanto, estamos diante de uma doença grave e progressiva e muitos pacientes estão em uma situação de vulnerabilidade com alto risco de progressão da doença e alta mortalidade. Diante disso, conforme descrito em seção específica mais adiante, sugerimos a incorporação do medicamento para subgrupo de pacientes em que o benefício atualmente comprovado pela associação lumacaftor + ivacaftor se faz necessária.

3ª - Sim, Consideramos de extrema relevância a avaliação fármaco-econômica para medicamentos a serem incorporados pelo SUS. Entretanto, é importante ressaltar que a relação de custo-efetividade de uma droga depende de diversos fatores, inclusive do caráter raro de uma doença. Diante disso, é importante chamar a atenção que diversos outros medicamentos para doenças raras já foram incorporados pelo Ministério da Saúde após recomendação da CONITEC com custos muito maiores do que os apresentados pelo lumacaftor + ivacaftor. Além disso, deve-se levar em consideração que o preço sugerido de R\$ 46.000,00 por mês sabidamente será mais baixo uma vez que o medicamento for comprado pelo governo. Por fim, como será possível ver adiante, a SBPT alinhou com outras sociedades médicas uma proposta mais restritiva de uso de lumacaftor + ivacaftor – tanto em relação à indicação, quanto à avaliação de resposta ao tratamento, com critérios objetivos para determinar a suspensão de uso para os que não responderem satisfatoriamente. Pacientes transplantados não seriam contemplados com a medicação.

4ª - Sim, Mais uma vez é válido ressaltar que a SBPT reconhece a importância do uso racional dos gastos governamentais e um cenário de custos previsíveis é fundamental. Diante disso, é precisamos reforçar que o atendimento da fibrose cística é um dos modelos mais bem estruturados de atendimento no país. O manejo desses pacientes inclui a presença de centros de referência em todas regiões do Brasil. Além disso, dispomos o registro brasileiro de FC que possui dados confiáveis e anualmente publicados que permitem uma

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>estimativa fidedigna do impacto orçamentário. Por fim, entendemos a relevância de uso de critérios rígidos e objetivos para indicação do tratamento assim como para avaliação de sua resposta. Diante disso, apresentamos abaixo um esforço conjunto de diversas entidades medicas para melhor orientar o fornecimento do ivacftor para os pacientes elegíveis com FC no Brasil. A Sociedade Brasileira de Pneumologia e Tisiologia (SBPT), o Grupo Brasileiro de Estudos da Fibrose Cística (GBEFC) e a Sociedade Brasileira de Pediatria (SBP) se uniram com intuito de apresentar uma proposta de uso mais racional dos moduladores da proteína CFTR. As associações médicas levaram em consideração o custo dos medicamentos e seu impacto orçamentário, porém ressaltam a importância da incorporação dos mesmos. A associação Lumacaftor+Ivacaftor (moduladores da CFTR) se configura como um marco histórico no tratamento de uma doença extremamente grave e associada à redução significativa da expectativa de vida e baixa qualidade de vida dos pacientes. As entidades médicas aqui representadas reconhecem algumas limitações nos resultados clínicos do uso dessa associação. Além disso, as entidades reconhecem a existência de uma nova associação de moduladores da CFTR de tripla combinação (elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor), recentemente aprovada nos EUA e Europa, com resultados muito superiores para indivíduos ,homozigotos para variante F508del. Entretanto, por se tratar de uma doença progressiva, muitos pacientes não podem esperar até a chegada desta nova associação, com risco de consideráveis agravos à saúde, inclusive risco de morte. A não incorporação desse medicamento seria um prejuízo incomensurável para os pacientes, sobretudo nos pacientes com doença mais avançada. Diante disso, sugerimos abaixo algumas indicações adicionais para garantir o acesso, sobretudo ao grupo de pacientes sob maior risco, incluindo um modelo de acompanhamento clínico, assim como critérios de descontinuação da droga quando apropriado. Indicações adicionais para prescrição da droga (necessário atender aos 3 requisitos):A. Estar vinculado a um Centro de Atendimento Especializado à FC;Justificativa: a fibrose cística é uma doença multissistêmica e complexa. Os centros de referência estão capacitados para o atendimento destes pacientes através de atendimento multiprofissional e seguimento de protocolos rígidos de acompanhamento. Além disso, isso garante um seguimento mais controlado dos pacientes, sendo possível acompanhar e avaliar os efeitos do tratamento. B. Ter manifestações da doença respiratória ou comprometimento nutricional (qualquer um dos itens);•FEF1 entre 40 e 70% do predito OU•Exacerbações pulmonares frequentes com necessidade de admissão hospitalar (>2x/ano) OU•Desnutrição ou percentil IMC < 15 Justificativa: As entidades médicas reconhecem a eficácia comprovada da associação lumacaftor+ivacaftor no ganho de função pulmonar, redução do número de exacerbações e melhora nutricional (aumento do peso e índice de massa corpórea) dos pacientes. Diante da existência de uma nova combinação tripla de modulador do CFTR com maior eficácia com perspectiva de chegada ao Brasil nos próximos anos e os custos atuais do medicamento, as entidades consideram apropriado garantir o acesso pelo menos ao grupo de pacientes de maior risco, como descrito acima, em que o atraso ao acesso do tratamento com moduladores da CFTR pode resultar em grave impacto negativo no prognóstico.C. Ter boa adesão ao tratamento: retirada regular e frequente de medicação no Centro de Atendimento, comparecimento regular às consultas ambulatoriais e de fisioterapia.D. NÃO ter sido submetido a transplante Justificativa: O objetivo do tratamento com os moduladores do CFTR é evitar a progressão da doença. Além disso, existe interação medicamentosa entre o uso dos imunossupressores e os</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>moduladores do CFTR. Apresentações: Comprimidos revestidos contendo a associação lumacaftor/ivacaftor nas doses de 100mg/125mg e 200mg/125mg. Posologia: Pacientes com 12 anos ou mais: 2 comprimidos de 200mg/125mg (dose diária total de 800mg de lumacaftor e 500mg de ivacaftor). Pacientes entre 6 e 12 anos: 2 comprimidos 100mg/125mg (dose diária total de 400mg de lumacaftor e 500mg de ivacaftor). Deve ser tomado por via oral, com alimentos contendo gordura. O comprimido não deve ser mastigado, dividido ou dissolvido. Se tiverem decorrido mais de 6 horas de esquecimento da dose, o paciente deve aguardar a próxima dose. Avaliação prévia à prescrição: antropometria, avaliação oftalmológica, espirometria, cultura de secreção respiratória, avaliação da função hepática e novo teste do suor (cloridômetro). Avaliação da resposta à medicação: • 30 dias: espirometria, antropometria • 3 meses: teste do suor (cloridômetro), espirometria, antropometria, avaliação da função hepática OBS: Caso o paciente apresente uma exacerbação pulmonar infecciosa nos primeiros 3 meses de tratamento, a reavaliação será postergada por 3 meses, mantendo o uso da medicação. Critérios de resposta satisfatória à medicação para continuidade do tratamento (qualquer um dos itens): • Redução de pelo menos 10 mmol/L na dosagem de cloretos no suor (cloridrômetro). • Aumento do VEF1 igual ou superior a 5% do valor prévio. Conduta frente a efeitos adversos à medicação: Os pacientes que apresentarem efeitos adversos à medicação deverão ser avaliados caso a caso, devendo ser considerada a suspensão da medicação na eventualidade de reações adversas moderadas a severas. Por se tratar de um medicamento com evidências clínicas comprovadas na melhora da evolução natural da doença, a equipe de saúde deve avaliar detalhadamente o caso com intuito de reverter os potenciais efeitos adversos e permitir que o paciente tolere o uso do medicamento.</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Quero dar o meu depoimento como profissional da saúde e responsável por um Centro de Fibrose Cística. Ao longo destes 23 anos foram a óbito 33 pacientes e 13 deles ocorreram nos últimos quatro anos nas faixas etárias que variavam de 8 anos a 29 anos. Os óbitos foram: GSS, masculino (M), 8anos; DSF,M; 9anos; LSPS,feminina(F) realizou transplante pulmonar aos15 anos, e foi a óbito após 6meses da cirurgia; JANS,F,15 anos; VJS, M,18anos; AKOR,F,18anos; JPM,M, realizou transplante aos 18anos, e óbito aos 20 anos; RSA,M,20 anos; LSS,F,21anos; TRC,F,22 anos; RFVS,F,22anos; KLOB,M,24 anos; SNC,F,29 anos. Desses 13 pacientes, sete deles era del F508 em homozigose(53%). Atualmente estamos com 4 pacientes de extrema gravidade: A.E.S.A,F,9anos, dependente de oxigênio domiciliar 24h, com gastrostomia pela grave desnutrição, V.S.A F, 8anos, dependente de oxigênio domiciliar, E.R.M.S,F,13anos, dependente de oxigênio noturno, e gastrostomia, RMA,M,16 anos, dependente de oxigênio 24h e com gastrostomia, está em avaliação na fila de transplante pulmonar. Destes quatro pacientes dois deles são homozigotos para mutação delF508. Todos apresentam insuficiência pancreática, e sintomas pulmonares graves. Realizam tratamento sintomático com inalação com mucoliticos, antibióticos inalatórios diariamente, dieta pela gastrostomia, suplementos alimentares e enzimas pancreáticas em todas as dietas. Fisioterapia respiratória diária em seus domicílios. Infelizmente a doença é progressiva e o agrava com idade. É muito difícil manter uma normalidade da vida diária. São frequentes as faltas escolares devido a agudização pulmonar e internação. A FC é uma doença grave e incurável, os pacientes tem uma vida breve e de muito sofrimento. Os medicamentos que atuam no defeito genético seria uma grande esperança que garantiriam a eles maior qualidade de vida e melhor sobrevida. A qualidade de vida permanece limitada, pois esses pacientes estão sujeitos a consideráveis ônus clínicos, psicossociais e econômicos. São Paulo, agosto de 2020Nome do paciente: VMAL, masculinoData de nascimento: 30/04/2010Medicação : Orkambi (lumacaftor + ivacaftor) Paciente VMAL, 10 anos 2meses, diagnóstico de fibrose cística(FC) pela triagem neonatal. Teve dois testes da triagem alterados, realizou exame do suor e teste genético que confirmaram o diagnostico de FC. O teste genético evidenciou a mutação F508 del em homozigose . Paciente com sintomas de insuficiência pancreática e manifestações pulmonares. Desde o diagnóstico o paciente faz seguimento no meu consultório particular . Paciente desde o primeiro mês de vida com dificuldade de ganho ponderal. Aos 32 dias de vida foi internado com desnutrição e sintomas pulmonares. Evoluiu com insuficiência respiratória aguda , transferido para unidade de terapia intensiva. Apresentou edema generalizado(anasarca), fez de uso de antibioticoterapia, transfusão de albumina serica e concentrado de hemácias, nutrição enteral e enzimas pancreáticas. Alta após 19 dias de internação. Paciente teve outras internações hospitalares decorrentes de agudizações pulmonares e necessitou em várias ocasiões de antibioticoterapia ambulatorial. Houve crescimento de Pseudomonas aeruginosa em culturas de secreção respiratória de forma intermitente. Desde o início do acompanhamento houve dificuldade no ganho ponderal. Em abril/2019 iniciou uso de orkambi(lumacaftor + ivacaftor); na ocasião com Peso=24kg e estatura de 128cm. Paciente não apresentou nenhum efeito colateral ao orkambi (lumacaftor + ivacaftor). Após 6meses de tratamento foi repetido o teste do suor (por condutividade)-não houve alteração . Após um ano da medicação paciente está com peso=29kg e estatura: 133cm. Também teve menor necessidade de receber antibiótico. Em fevereiro/2020, teve crescimento de Pseudomonas aeruginosa, sendo tratado com antibiótico inalatório. Na evolução houve ganho ponderal significativo,</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>melhor desempenho nas atividades físicas e com certeza uma qualidade de vida mais adequada. Atenciosamente Dra Sonia Mayumi Chiba CRM 45.594 Email: smchiba@uol.com.br Consultório: Rua Matogrosso, 128 conjunto 21 – Higienópolis -São Paulo – 01239-040</p> <p>2ª - Sim, Burgel PR et al 2020: avaliaram a segurança e eficácia do lumacaftor-ivacaftor em adolescentes (&#8805;12 anos) e adultos (&#8805;18 anos) em ambiente de vida real. O estudo foi realizado em 47 centros de referência de FC na França.(Jan a dez/2016), Entre os 845 pacientes (292 adolescentes, 553 adultos) que iniciaram o lumacaftor/ivacaftor, 18,2%(154pacientes) interromperam o tratamento, por problemas respiratórios em 48,1%(74pacientes), ou eventos adversos não respiratório em 27,9% (43 pacientes). Na regressão logística multivariável, os fatores associados ao aumento das taxas de descontinuação incluíram a faixa etária adulta, FEV1 <40% e números de cursos de antibióticos intravenosos durante o ano anterior ao início do lumacaftor-ivacaftor. Lumacaftor-ivacaftor foi associado com a melhora na doença pulmonar e estado nutricional em pacientes que toleraram o tratamento. A melhora na FEV1 foi observada após um mês de tratamento e persistiu até 12meses. Este estudo mostrou que os pacientes que receberam 12 meses de lumacaftor-ivacaftor tiveram melhora significativa no FEV1, peso e IMC, e redução no número de cursos de antibióticos endovenosos. O tratamento de um ano com lumacaftor-ivacaftor resultou na melhora modesta do VEF1, mas em uma diminuição de 35% das agudizações pulmonares e uma redução na proporção de pacientes com agudizações frequentes (&#8805;2/ pacientes/ano). Pacientes com exacerbações frequentes apresentam um declínio acelerado na função pulmonar e um risco aumentado de morte em 3 anos ou necessidade de transplante de pulmão.Milla C E et al : Realizaram um estudo da fase III e aberto e avaliaram a segurança, tolerabilidade, farmacodinâmica e eficácia da combinação lumacaftor/ivacaftor em pacientes de 6 a 11 anos de idade com FC homozigotos para a mutação F508del. Neste estudo 58 pacientes receberam 200 mg de lumacaftor/250 mg ivacaftor por via oral 12 /12 horas por 24 semanas, além dos medicamentos habituais para fibrose . O tratamento da FC com lumacaftor/ivacaftor em pacientes de 6 a 11 anos foi bem tolerado,. Foram observadas melhora nos níveis de cloreto no suor, nos parâmetros do estado nutricional e qualidade de vida após 24 semanas de tratamento. Wainwright C.E et al 2015: Foram dois ensaios clínicos de fase III (TRAFFIC e TRANSPORT), randomizados, duplo-cegos, placebo-controlados para avaliar os efeitos de lumacaftor, um corretor de CFTR, em combinação com ivacaftor, um potencializador de CFTR, em pacientes de 12 anos de idade ou mais com FC e homozigotos para a mutação F508del. Os estudos TRAFFIC e TRANSPORT foram conduzidos a partir de abril/2013 até abril/2014, e o desenho de estudo e métodos de análise de dados eram idênticos para os dois, com exceção da inclusão de eletrocardiograma ambulatorial (apenas no TRAFFIC) e análises farmacocinéticas em adolescentes (apenas no TRANSPORT) para um subgrupo de pacientes. Os estudos foram para avaliar a eficácia de lumacaftor-ivacaftor em pacientes com FC homozigotos para a mutação F508del. Um total de 1108 pacientes foram submetidos à randomização e receberam o medicamento. O VEF1 medio basal foi de 61% do valor previsto. Em ambos os estudos, houve melhora no desfecho primário em ambas as doses de lumacaftor-ivacaftor; a diferença entre o tratamento ativo e o placebo no que diz respeito a melhora absoluta média na porcentagem de VEF1 previsto variou de 2,6 a 4,0 pontos percentuais (P <0,001). As análises agrupadas mostraram que a taxa de exacerbações foram 30 a 39% menores nos grupos lumacaftor-ivacaftor do que no grupo placebo; a taxa de</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>eventos que levaram à hospitalização ou ao uso de antibióticos intravenosos foi menor nos grupos lumacaftor-ivacaftor.</p> <p>3ª - Sim, Avaliação econômica do custo do Orkambi® (lumacaftor/ivacaftor) para pacientes a partir de 6 anos de idade com FC homozigotos para a mutação F508del no SUS, é bastante alto quando comparamos com o tratamento sintomático. O tratamento da FC é sintomático, incluem vários medicamentos inalatórios e procedimentos diários como fisioterapia respiratória. que demandam tempo e energia para sua realização. A única medicação que age no defeito genético na FC é o Orkambi(lumacaftor/ivacaftor) em pacientes com FC homozitos para delF508. Mesmo que o orkambi tenha somente uma modesta melhora na VEF1, há uma diminuição das agudizações pulmonares, melhora nutricional e na qualidade de vida destes pacientes. Toda esta melhora vai refletir em menores custos no sistema saúde ao longo do tempo.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Todas as faixas etárias merecem a disponibilização desse tratamento por igual, para maiores chances de viver uma vida mais tranquila.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Sou fisioterapeuta e atendo pacientes com Fibrose Cística, sei o quanto eles sofrem com essa doença. Com o auto custo dessa medicação fica inviável a compra desse medicamento pelos pacientes. Como essa medicação vem mostrando muitos resultados positivos, principalmente na função pulmonar com aumento muito significativo na sobrevida desses pacientes. Na atualidade a medicação cedida pelo SUS trata os sintomas e essa medicação trata o gene defeituoso, não deixando a doença avançar, evitando agravamento da função pulmonar, pneumonias e espessura da secreção. Pacientes com fibrose cística necessitam de acompanhamento fisioterapêutico permanente , nos países onde já usam essa medicação é comprovado que o tratamento é mais eficaz, melhorando a qualidade de vida e a sobrevida desses pacientes 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo. Com este tratamento que estou fazendo até agora , tive que cancelar várias atividades sociais , trabalho pois ao longo dos anos tive várias crises respiratórias e internações hospitalares.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Melhorar as condições de tratamento do filho de uma amiga e de todas pessoas que necessitam deste tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Remédio terá um grande avanço aos pacientes de fibrose Cística. Pois sou mãe de paciente é conheço de perto a luta contra a fibrose</p> <p>2ª - Sim, Posso relatar a experiência de viver com paciente de fibrose Cística</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. essa combinação de drogas é adequada para indivíduos Homozigotos para a mutaçãoF508del, que é uma das mais frequentes na nossa população.</p> <p>2ª - Sim, Para indivíduos Homozigotos para a mutaçãoF508del, o tratamento com a combinação Lumacaftor-Ivacaftor produz melhora modesta na função pulmonar e reduz o risco de exacerbação pulmonar(1)Nem o Lumacaftor nem o Ivacaftor usados isoladamente são efetivos quando usados isoladamente para a mutação F508del na forma homozigotica(2,3)A Food and Drug Administration (FDA) aprovou o uso do Lumacaftor-Ivacaftorem pacientes com mais de 2 anos com mutação F508del na forma homozigotica (4).Um ensaio clinico envolvendo 206 pacientes de 6 a 11 anos usando Lumacaftor- Ivacaftor demonstrou melhora significativa melhora do clearence e função pulmonar em pacientes com doença leve(5) O VEF1, um objetivo secundário, não melhorou significativamente em relação à linha de base, mas sim em relação ao placebo, e houve melhoras significativas no IMC e no cloreto de suor. Estudos menores em F508del homozigotos de 6 a 11 anos de idade e 2 a 5 anos de idade demonstraram um perfil de segurança semelhante ao de crianças mais velhas(6,7)</p> <p>3ª - Sim, o custo com essas novas drogas são compensados com a diminuição do custo hospitalar e desoneração do gasto publico a partir dos benefícios gerados por elas.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Tenho um primo e uma prima com fibrose cística, meu primo usou o medicamento e teve uma melhora significativa, minha prima não usou e continuou piorando. Se fosse disponibilizado pelo sus, todos poderiam usufruir sem que houvesse uma segregação monetária.</p> <p>2ª - Sim, meu primo usou a medicação e melhorou a capacidade pulmonar além de ganhar peso, enquanto minha prima continua a espera tendo muita exacerbações.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Sociedade médica	<p>1ª - Discordo. A Fibrose Cística (FC) é uma doença crônica e rara causada por mutações no gene regulador da condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR). O CFTR codifica uma proteína de mesmo nome, que configura um canal de cloro, responsável por realizar o fluxo de íons cloreto e bicarbonato em células epiteliais, regulando o transporte de íons e água através do epitélio do trato respiratório, pâncreas exócrino, ductos biliares intra e extra hepáticos, ductos das glândulas sudoríparas, entre outros. Trata-se de uma doença complexa, de característica progressiva e potencialmente letal, ainda pouco conhecida em nosso país, apesar da existência de alguns Centros e profissionais dedicados a estudá-la e cuidar dos pacientes há muitos anos. Mais de 2000 mutações, por diferentes mecanismos moleculares comprometem a síntese da proteína CFTR (do canal de cloro), gerando déficit qualitativo ou quantitativo desta proteína, tornando a expressão da doença extremamente variável. Uma das mutações mais frequentes é a F508Del, definida como a deleção da fenilalanina na posição 508 do CFTR. Os pacientes com esse perfil podem ser tanto homocigotos quanto heterocigotos, embora os sintomas se apresentem mais intensos naqueles que são homocigotos. As alterações no gene CFTR podem resultar em maior ou menor expressão da proteína CFTR nas células epiteliais, e em maior ou menor comprometimento de sua função. A expressão clínica do paciente depende, portanto, dessa resultante: quantidade e função da proteína. A variante F508del, resulta em defeito de processamento da proteína, não sendo expressa na superfície celular e resulta ainda em defeito de função e estabilidade da proteína na superfície da célula. Até o momento a abordagem utilizada no tratamento da FC, à disposição nos centros multidisciplinares de FC brasileiros, tem o foco na consequência do defeito genético básico, buscando controlar a sintomatologia, e não agindo diretamente na causa primária da doença. É inegável a importância do tratamento das complicações da FC, mas atualmente estamos diante de um grande passo na abordagem dessa patologia, podendo atuar na função do canal de cloro. Recentemente foi registrado na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) uma opção terapêutica para o tratamento de portadores homocigotos da F508del, trata-se associação dos fármacos Lumacaftor e Ivacaftor, distribuído pela Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda, que associam uma droga corretora e uma potencializadora da função CFTR, com a chance, portanto, de corrigir o defeito básico no canal de cloro. A associação de Lumacaftor + Ivacaftor age diretamente na CFTR, melhorando sua estabilidade e funcionalidade. No Brasil, este medicamento possui registro para pacientes maiores de 6 anos de idade, embora nos Estados Unidos a Food and Drug Administration (FDA) já tenha aprovado seu uso em pacientes maiores que 2 anos, e com critérios de indicação mais amplos do que os que propomos aqui (descritos no item 18), pelo Grupo Brasileiro de Estudos de Fibrose Cística (GBEFC), uma organização científica e sem fins lucrativos. Os esforços coordenados dos grupos de pesquisa de FC têm liderado o movimento em direção a terapias direcionadas e personalizadas. O desenvolvimento de terapias específicas baseadas em genomas que visam corrigir e/ou modular a função da proteína CFTR representam uma verdadeira mudança de paradigma na abordagem para o manejo desta doença crônica e ainda precocemente letal. Em 05/03/2020, o Grupo de Trabalho da Assistência Farmacêutica, vinculado a Comissão de Políticas do CES - Conselho Estadual de Saúde de São Paulo - posicionou-se a favor da "atualização e revisão do Protocolo de Diretrizes Clínicas Terapêuticas – PCDT para o tratamento e manejo da Fibrose Cística, com a inclusão de medicamentos moduladores e potencializadores da proteína CFTR, para o tratamento desses pacientes, posto que estes já se encontram registrados e</p>	

aprovados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária do Brasil – ANVISA e recomendou celeridade ao processo de incorporação ao Sistema Único de Saúde - SUS de novas tecnologias ligadas ao tratamento de Fibrose Cística, de modo a garantir que os portadores dessa patologia tenham acesso aos tratamentos inovadores, que podem trazer melhora da qualidade de vida, e inclusive aumento da sobrevivência desses pacientes” (anexo no item 19). Alguns estudos, descritos no item 8 desse documento podem embasar tecnicamente e esclarecer os pontos levantados pela CONITEC quanto ao uso da associação Lumacaftor + Ivacaftor no tratamento de pacientes com FC homocigotos para a variação genética F508del. Por meio da análise dos estudos referidos (item 8), o GBEFC, apoiado por outras sociedades médicas científicas brasileiras, conforme descrito no item 18, levou em conta aspectos muito importantes: critérios de gravidade da doença e de adesão ao tratamento na indicação, e critérios objetivos de resposta clínica e laboratorial/funcional na manutenção do uso da droga / descontinuidade da mesma. Como profissionais que lidam diariamente com pessoas com fibrose cística, acreditamos na importância da transparência desses critérios, embasando os Centros de Referência em FC brasileiros na elegibilidade racional, consciente e restrita dos casos, preocupados com os pacientes que podem se beneficiar da droga, bem como com o impacto orçamentário para o país. Gostaríamos, por fim, de nos colocar à disposição da CONITEC para colaborar, pois, além de dispormos de familiaridade com os resultados dos estudos e com a patologia, temos dados atualizados sobre o perfil de pacientes com fibrose cística no Brasil, sua distribuição, genética, tratamentos em vigência e outros dados importantes. Essas informações podem ser obtidas conosco, ou mesmo diretamente consultadas nos relatórios periódicos do Registro Brasileiro de Fibrose Cística, no site www.gbefc.org.br. Em suma, o GBEFC posiciona-se a favor do uso da combinação Lumacaftor/Ivacaftor para pacientes homocigotos F508del, com o uso de critérios racionais. Deve ser indicada para pacientes com doença leve a moderada (descrita no item 18 desse documento), visando a manutenção da função pulmonar (ou a redução da curva de queda do VEF1), bem como a redução das exacerbações e melhora nutricional e de qualidade de vida, enquanto novas drogas com efeitos mais relevantes (como a triple combination) ainda não estão disponíveis.

2ª - Sim, Ratjen F et al (2017) realizaram um ensaio clínico duplo cego randomizado, multicêntrico. Este estudo, contou com 206 participantes com idade entre 6 e 11 anos, todos homocigotos para a mutação DF508 no CFTR. O tempo de acompanhamento foi de 24 semanas. Houve melhora na qualidade de vida e na função respiratória. Houve diferença absoluta de 2.5 (-0.1, 5.1) no escore (CFQ-R) e o aumento no VEF foi de 2.4 pontos percentuais. Outro resultado encontrado foi a redução na concentração de cloro eliminada no suor: -20.8 (-23.4, -18.2) mmol/L. Em recente revisão da Cochrane (2018), Southern KW et al concluíram que em indivíduos homocigotos F508del com 12 anos ou mais, em terapia combinada com LUM-IVA, o FEV1 melhorou significativamente em comparação com placebo. O tamanho do efeito foi semelhante para maior dose LUM-IVA (n=3 estudos; n=755; diferença média absoluta ponderada 3,4 (IC 95%: 2,4-4,4). Para indivíduos de 6 a 11 anos, houve um leve aumento do FEV1 para LUM-IVA em relação ao placebo (n = 1 estudo; n = 204; diferença média absoluta 2,4 (IC 95%,: 0.4-4.4). Nesta metanálise, nenhum óbito foi relatado. Os escores de qualidade de vida favoreceram a terapia combinada em comparação ao placebo, em todos os períodos de avaliação. Aos 6 meses de estudo, houve melhora nos questionários de qualidade de (mean difference (MD) 2.62 points (95% , intervalo de confiança(CI) 0.64 a 4.59; 1061 participantes; alto grau de

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>evidência). A frequência de exacerbações, outro desfecho de grande relevância na ausência de dados mais precisos sobre a mortalidade, apresentou, na terapia com Lumacaftor + Ivacaftor, redução de aproximadamente 26% a cada 48 semanas. Em termos práticos, isto significa a redução de uma exacerbação a cada 4 anos. O número e a intensidade de exacerbações graves (considerar exacerbações graves as que necessitam de antibiótico e internação hospitalar) aumentam o risco de mortalidade em até 4 vezes. Uma meta-análise incluindo cinco estudos multicêntricos e um total de 1637 participantes com o F508del homozigotos mostrou que com essa combinação terapêutica, houve melhora no FEV1 (ppFEV1)(MD 2.38, 1.62-3.15,, P0,00001), nos escores de na qualidade de vida (CFQ-R) (2,59, 0,96-4,22, P = 0,002) e no índice de massa corporal (MD 0,21, 0,03-0,39, P = 0,02). Na análise secundária, não houve impacto sobre o número de eventos adversos (OR 0,88, 0,58-1,33,P = 0,53), mas aumentou a proporção de tratamentos descontinuados devido a estes eventos (OR 2,71, 1,3-5,63, P = 0,008). Em estudo realizado por Burgel e colaboradores (2019), em 47 centros de referência na França, avaliou-se a eficácia e segurança da terapia combinada Lumacaftor-Ivacaftor, em 845 pacientes (292 adolescentes e 563 adultos), os pacientes com exposição contínua à terapia combinada mostraram um aumento absoluto no FEV1 (+3,67%), um aumento no índice de massa corporal(+0,73kgm2) e uma redução do uso de antibióticos endovenosos de 35% (redução da taxa de exacerbação pulmonar grave). Os pacientes que interromperam o tratamento apresentaram redução significativa do FEV1, sem melhora no IMC ou redução nos cursos de antibioticoterapia endovenosa. Vale ressaltar que, embora a espirometria seja o teste de função pulmonar validado para monitorar a progressão da doença pulmonar na FC, há mais de duas décadas, este não é considerado um método sensível na avaliação das alterações pulmonares precoces de doença pulmonar: muitas crianças e adolescentes com FC apresentam resultados normais de espirometria, mesmo na presença de doença pulmonar estabelecida (alterações clínicas e topográficas). Por isso o VEF1, apesar de extremamente importante, não deve ser considerado como desfecho isoladamente. Novas técnicas para medir a heterogeneidade da ventilação na periferia dos pulmões tem um grande potencial de aplicação para detecção precoce de disfunção pulmonar e tem sido considerados como possíveis biomarcadores de desfecho complementar, dentre eles o Índice de Clearance Pulmonar (LCI). Mila e colaboradores em estudo incluindo pacientes de 6 a 11 anos, não foram observaram mudanças significativas no FEV1 (mudança da linha de base na 24ª semana (12,5 pontos percentuais; intervalo de confiança de 95%, 20,2 para 5,2; P = 0,0671). Porém na 24ª semana, observaram melhora significativa no LCI (20,88; IC 95%, 21,40 a 20,37; P = 0,0018). Os autores sugerem que este índice seja mais sensível na avaliação de crianças com medidas de espirometria normais ou com processos obstrutivos leves. Além dos dados acima, Wainwright et al (2015) concluíram que os estudos clínicos com a associação Lumacaftor + Ivacaftor tiveram efeitos, na média, discretos na função pulmonar (cerca de + 3% no VEF1) – porém houve pacientes com melhora bastante significativa, inclusive significativamente maiores do que as verificadas com medicamentos como Dornase alfa ou Tobramicina inalatória. Em ensaios teóricos sobre o impacto dessa droga na velocidade da perda funcional em pacientes com fibrose cística, o estudo clínico de extensão de tratamento em pacientes homozigotos F508del estimou seu impacto em cerca de 40% de redução da velocidade de declínio (Konstan MW et al (2017). Desse modo, a manutenção do uso dessa medicação em pacientes que demonstrem resposta funcional poderia ser indicada para preservar sua saúde</p>	

respiratória, até que medicamentos mais eficazes estejam disponíveis (como a combinação tripla, em fase de registro no FDA). EFEITOS ADVERSOSEm Estudo retrospectivo de coorte de indivíduos seguidos no Johns Hopkins CF Center, acompanhados de 1 ano antes até 11 meses após a início de tratamento, dos 116 indivíduos, 46 (39,7%) relataram efeitos adversos relacionados ao Lumacaftor/Ivacaftor, a grande maioria (82,2%) pulmonares, com 20 (17,2%) descontinuado a terapia por causa destes efeitos. A variação média da FEV1% prevista foi de 0,11% (intervalo: 239% a 120%; P = 0,9). Dezenove indivíduos tinham um FEV1% previsto de 40% ou menos antes do tratamento, e houve maior percentual de pacientes nesse subgrupo que relataram efeitos adversos (57,9%). O sexo feminino foi associado a maiores chances de descontinuação de drogas (razão de chances ajustada, 3,12, intervalo de confiança de 95%, 1,04-9,38) BIBLIOGRAFIA: 1- Ratjen F, Hug C, et al. Efficacy and safety of lumacaftor and ivacaftor in patients aged 6–11 years with cystic fibrosis homozygous for F508del-CFTR: a randomised, placebo-controlled phase 3 trial, *The Lancet Respiratory Medicine*, Volume 5, Issue 7, 2017, Pages 557-567, ISSN 2213-2600, [https://doi.org/10.1016/S2213-2600\(17\)30215-1](https://doi.org/10.1016/S2213-2600(17)30215-1). (<http://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S2213260017302151>) 2- VX-809 TRAFFIC Study group, TRANSPORT Study Group. Efficacy and safety of lumacaftor/ivacaftor combination therapy in patients with cystic fibrosis homozygous for Phe508del CFTR by pulmonary function subgroup. *The Lancet Respiratory Medicine*. 2016 Aug;4(8):617-626. Available from, DOI: 10.1016/S2213-2600(16)30121-7. 3- . Southern KW, Patel S, Sinha IP, Nevitt SJ. Correctors (specific therapies for class II CFTR mutations) for cystic fibrosis. *Cochrane Database of Systematic Reviews* 2018, Issue 8. Art. No.: CD010966. DOI: 10.1002/14651858.CD010966.pub2. 4- Burgel PR, Munck A, Durieu I, et al. Real-Life Safety and Effectiveness of Lumacaftor-Ivacaftor in Patients with Cystic Fibrosis. *Am J Respir Crit Care Med*. 2020;201(2):188-197. doi:10.1164/rccm.201906-1227OC5- Jennings MT, Dezube R, Paranjape S, et al. An Observational Study of Outcomes and Tolerances in Patients with Cystic Fibrosis Initiated on Lumacaftor/Ivacaftor. *Ann Am Thorac Soc*. 2017;14(11):1662-1666. doi:10.1513/AnnalsATS.201701-058OC6- Stephenson, A. L., Tom, M., Berthiaume, Y., Singer, L. G., Aaron, S. D., Whitmore, G. A., & Stanojevic, S. (2014). A contemporary survival analysis of individuals with cystic fibrosis: a cohort study. *European Respiratory Journal*, 45(3), 670–679. doi:10.1183/09031936.00119714. 7- Wu, H., Zhu, M., Xiong, X. et al. Efficacy and Safety of CFTR Corrector and Potentiator Combination Therapy in Patients with Cystic Fibrosis for the F508del-CFTR Homozygous Mutation: A Systematic Review and Meta-analysis. *Adv Ther* 36, 451–461 (2019). <https://doi.org/10.1007/s12325-018-0860-48>- Milla CE, Ratjen F, Marigowda G, Liu F, Waltz D, and Rosenfeld M; on behalf of the VX13-809-011 Part B Investigator Group. Lumacaftor/Ivacaftor in Patients Aged 6–11 Years with Cystic Fibrosis and Homozygous for F508del-CFTR *Am J Respir Crit Care Med* Vol 195, Iss 7, pp 912–920, Apr 1, 2017.9- Wainwright CE, Elborn JS, Ramsey BW, Marigowda G, Huang X, Cipolli M, Colombo C, Davies JC, De Boeck K, Flume PA, Konstan MW, McColley SA, McCoy K, McKone EF, Munck A, Ratjen F, Rowe SM, Waltz D, Boyle MP, Group TS, Group TS. Lumacaftor-Ivacaftor in Patients with Cystic Fibrosis Homozygous for Phe508del CFTR. *N Engl J Med* 2015;373(3):220-231. 10- Konstan MW, McKone EF, Moss RB, Marigowda G, Tian S, Waltz D, Huang X, Lubarsky B, Rubin J, Millar SJ, Pasta DJ, Mayer-Hamblett N, Goss CH, Morgan W, Sawicki GS. Assessment of safety and efficacy of long-term treatment with combination lumacaftor and ivacaftor therapy in patients with cystic fibrosis homozygous for the F508del-CFTR mutation (PROGRESS): a

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		phase 3, extension study. Lancet Respir Med 2017;5(2):107-118.	
		3ª - Não	
		<p>4ª - Sim, A fibrose cística no Brasil tem um registro anual extremamente organizado, que pode ser acessado, conforme descrito no item 7 (acima). No último Registro Brasileiro de Fibrose Cística - REBRAFC 2017 - foram registrados 4361 portadores de FC, sendo que deste total, 974 (23,9%) são portadores da mutação F508del em homozigose. Desses, se considerarmos a idade acima de 6 anos e um VEF1 entre 40 e 70%, conforme nossas recomendações, seriam cerca de 96 pacientes elegíveis para o uso da associação Ivacaftor + Lumacaftor no Brasil. Os pacientes transplantados de pulmão também não entram nas indicações. Dessa forma, com critérios claros, objetivos, de forma racional e científica, conseguimos uma previsibilidade de gastos ao Estado brasileiro. Além disso, propomos critérios objetivos de reavaliação e de descontinuidade da medicação, descritos abaixo, no item 18.</p>	Clique aqui
		<p>5ª - Sim, O Grupo Brasileiro de Estudos da Fibrose Cística (GBEFC), Sociedade Brasileira de Pneumologia e Tisiologia (SBPT), Sociedade Brasileira de Pediatria (SBP) se uniram com intuito de apresentar uma proposta de uso mais racional dos moduladores da proteína CFTR. As associações médicas levaram em consideração o custo dos medicamentos e seu impacto orçamentário, porém ressaltam a importância da incorporação dos mesmos. A associação Lumacaftor+Ivacaftor (moduladores da CFTR) se configura como um marco histórico no tratamento de uma doença extremamente grave e associada à redução significativa da expectativa de vida e baixa qualidade de vida dos pacientes. As entidades médicas aqui representadas reconhecem algumas limitações nos resultados clínicos do uso dessa associação. Além disso, as entidades reconhecem a existência de uma nova associação de moduladores da CFTR de tripla combinação (elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor), recentemente aprovada nos EUA e Europa, com resultados muito superiores para indivíduos ,homozigotos para variante F508del. Entretanto, por se tratar de uma doença progressiva, muitos pacientes não podem esperar até a chegada desta nova associação, com risco de consideráveis agravos à saúde, inclusive risco de morte. A não incorporação desse medicamento seria um prejuízo incomensurável para os pacientes, sobretudo nos pacientes com doença mais avançada. Diante disso, sugerimos abaixo algumas indicações adicionais para garantir o acesso, sobretudo ao grupo de pacientes sob maior risco, incluindo um modelo de acompanhamento clínico, assim como critérios de descontinuação da droga quando apropriado. Indicações adicionais para prescrição da droga (necessário atender aos 3 requisitos):Estar vinculado a um Centro de Atendimento Especializado à FC;Justificativa: a fibrose cística é uma doença multissistêmica e complexa. Os centros de referência estão capacitados para o atendimento destes pacientes através de atendimento multiprofissional e seguimento de protocolos rígidos de acompanhamento. Além disso, isso garante um seguimento mais controlado dos pacientes, sendo possível acompanhar e avaliar os efeitos do tratamento. Ter manifestações da doença respiratória ou comprometimento nutricional (qualquer um dos itens);VEF1 entre 40 e 70% do predito OUExacerbações pulmonares frequentes com necessidade de admissão hospitalar (>2x/ano) OUDesnutrição ou percentil IMC < 15 Justificativa: As entidades médicas reconhecem a eficácia comprovada da associação lumacaftor+ivacaftor no ganho de função pulmonar, redução do número de exacerbações e melhora nutricional (aumento do peso e índice de massa corpórea) dos pacientes. Diante da</p>	Clique aqui

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

existência de uma nova combinação tripla de modulador do CFTR com maior eficácia com perspectiva de chegada ao Brasil nos próximos anos e os custos atuais do medicamento, as entidades consideram apropriado garantir o acesso pelo menos ao grupo de pacientes de maior risco, como descrito acima, em que o atraso ao acesso do tratamento com moduladores da CFTR pode resultar em grave impacto negativo no prognóstico. Ter boa adesão ao tratamento: retirada regular e frequente de medicação no Centro de Atendimento, comparecimento regular às consultas ambulatoriais e de fisioterapia. NÃO ter sido submetido a transplante Justificativa: O objetivo do tratamento com os moduladores do CFTR é evitar a progressão da doença. Além disso, existe interação medicamentosa entre o uso dos imunossupressores e os moduladores do CFTR. Apresentações: Comprimidos revestidos contendo a associação lumacaftor/ivacaftor nas doses de 100mg/125mg e 200mg/125mg. Posologia: Pacientes com 12 anos ou mais: 2 comprimidos de 200mg/125mg (dose diária total de 800mg de lumacaftor e 500mg de ivacaftor). Pacientes entre 6 e 12 anos: 2 comprimidos 100mg/125mg (dose diária total de 400mg de lumacaftor e 500mg de ivacaftor). Deve ser tomado por via oral, com alimentos contendo gordura. O comprimido não deve ser mastigado, dividido ou dissolvido. Se tiverem decorrido mais de 6 horas de esquecimento da dose, o paciente deve aguardar a próxima dose. Avaliação prévia à prescrição: antropometria, avaliação oftalmológica, espirometria, cultura de secreção respiratória, avaliação da função hepática e novo teste do suor (cloridômetro). Avaliação da resposta à medicação: 30 dias: espirometria, antropometria 3 meses: teste do suor (cloridômetro), espirometria, antropometria, avaliação da função hepática OBS: Caso o paciente apresente uma exacerbação pulmonar infecciosa nos primeiros 3 meses de tratamento, a reavaliação será postergada por 3 meses, mantendo o uso da medicação. Critérios de resposta satisfatória à medicação para continuidade do tratamento (qualquer um dos itens): Redução de pelo menos 10 mmol/L na dosagem de cloretos no suor (cloridrômetro). Aumento do VEF1 igual ou superior a 5% do valor prévio. Conduta frente a efeitos adversos à medicação: Os pacientes que apresentarem efeitos adversos à medicação deverão ser avaliados caso a caso, devendo ser considerada a suspensão da medicação na eventualidade de reações adversas moderadas a severas. Por se tratar de um medicamento com evidências inquestionáveis na melhora da evolução natural da doença, a equipe de saúde deve avaliar detalhadamente o caso com intuito de reverter os potenciais efeitos adversos e permitir que o paciente tolere o uso do medicamento.

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Realizo atendimento e acompanhamento de pacientes com Fibrose Cística a mais de 10 anos. Sei o quanto é difícil para todos conseguir de forma individual fazer com que a secreção bastante espessa seja mobilizada e saia dos pulmões. Em todos esses anos, observei que mesmo com adesão completa ao tratamento esses pacientes morrem de insuficiência respiratória. São inúmeras colonizações por bactérias que impactam diretamente na taxa de mortalidade dessas pessoas. Não ter acompanhamento de Fisioterapia nos serviços públicos, não conseguir comprar medicações básicas que não são distribuídas pelo SUS, não ter como se alimentar direito, são fatores sociais que impossibilitam um tratamento adequado. A média de idades de óbito no Rio de Janeiro é de 17 anos. Muitos jovens se vão antes de completar a primeira infância. Para muitas, não se trata de adesão ao tratamento, mas sim dos aspectos clínicos e sintomas que a doença apresenta. É uma medicação que irá para a progressão da doença e não temos nenhuma medicação similar a essa atualmente. Muitos pacientes não conseguirão aguardar que novas medicações cheguem. A vida dessas pessoas e de cada uma não tem preço. Minha função enquanto fisioterapeuta é garantir a qualidade na respiração delas e se essa medicação irá beneficia-las até mesmo para diminuir as exaustivas 2 fisioterapias diárias e garantir melhora na função pulmonar eu sou a favor dessa medicação. Quando se analisa o relatório é uma medicação que não irá beneficiar apenas uma mutação da doença e sim 6 mutações que implica maior número de pacientes. Ressalto ainda que, embora não haja exame genético no Rio de Janeiro, todos os pacientes possuem exame de genotipagem realizado nos centros de referência por intermédio de uma indústria farmacêutica. Sabemos exatamente quais são e o número de pessoas que serão contempladas por essa medicação. Todos os pacientes são acompanhados por uma equipe qualificada dos centros de referência o que irão continuar sendo monitorados com exames e consultas. Não é certo segregar pessoas e dar sua sentença de morte em vida pela falta de medicações que irão parar a progressão da doença.</p> <p>2ª - Sim, Trabalho a mais de 10 anos na Associação de Fibrose Cística do Estado do Rio de Janeiro e já acompanhei mais de 500 pacientes com Fibrose Cística. Por diversas vezes tive que ir para uma unidade de saúde realizar atendimento de UTI pela unidade pública não ter profissional de Fisioterapia. Ambulatórios de fisioterapia respiratória na rede pública do estado também são escassos, embora fundamental para a vida dessas pessoas. Sei o que é realizar Fisioterapia apenas com um abraço em uma criança que aos 10 anos perde a luta contra a doença. Nesse tempo já acompanhei mais de 90 casos de óbitos e todos por insuficiência respiratória. Todos que não tiveram a chance de uma nova medicação e que faziam o básico do tratamento ofertado pelo SUS. As medicações inalatórias para serem realizadas dependem de um aparelho de nebulização, o qual não é disponibilizado pelo SUS e a família que realiza a compra de todos os equipamentos utilizados. Para alguns pacientes essas internações ocorrem 4 vezes ao ano. Acredito que a medicação será um custo que a medida do tempo terá seu reembolso devido a diminuição do valor gasto pelo SUS durante as internações. Outra questão é diminuir os processos de judicialização para a compra dessas medicações, uma vez que já é comprovada sua efetividade. Alguns pacientes já não respondem aos antibióticos realizados na internação e o nível de infecção é bem alto. A pesquisa bibliográfica realizada pela empresa está coerente e ampla em todos seus aspectos. Quando se aborda a questão do tratamento proposto hoje pelo SUS, gostaria de reiterar que a Fisioterapia Respiratória não é ofertada no serviço público. Assim como também há falta constante das medicações e suplementos considerados essenciais. A</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>solução hipersalina descrita também não é fornecida pelas farmácias de dispensação dos medicamentos. é essencial para ajudar na expectoração da secreção e indicada por médicos, mas a família que consegue ter condições, arca com o custo em farmácias de manipulação. Ressalto ainda, que a doença tem um tratamento custoso não apenas para os governos, mas também para as famílias. Entendo que em termos de população podemos ser diferentes aos países que já utilizam mas levando em considerações as características da doença e a especificidade da medicação, essas divergências são anuladas.</p> <p>3ª - Sim, No mês de abril de 2020, o município do RJ arcou com o valor de R\$ 8.355.872,58 com internações na Pediatria. Embora tenha mencionado a Fibrose Cística, não adicionaram valores da internação. Levando em consideração que o custo total de diária com paciente foi de R\$ 34.481,00 que esse que a média de internação por paciente e 4 vezes ao ano. Acredito que valores gastos em internações serão reembolsados com a aquisição do medicamento. Outro fator importante é diminuir as judicializações. O custo da medicação para um grupo será menor se todos os pacientes entrarem e ganharem essa medicação pelas vias judiciais e o Governo ter que pagar por essas medicações. Nesta fase o acordo na diminuição dessas medicações também deve ser levado em consideração. Disponível em https://auditasus.com.br/internacoes-sus/custo/custo-paciente-dia-sus/custo-paciente-dia-sus-por-especialidade-uf?uf=RJ&nomemun=RIO%20DE%20JANEIRO-RJ</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Toda vida importa! Enquanto profissional da saúde é meu dever zelar pelo tratamento adequado e qualidade de vida do paciente.</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Exatamente porque as medicações objeto do relatório preliminar são as únicas que atuam na BASE DA DOENÇA, é essencial que sejam incorporadas ao SUS.O relatório preliminar possui inconsistências.Cite-se o relato do aumento de adultos com fibrose cística na população brasileira. Ora, enquanto em 2017 o Brasil possuía 28,9% de pacientes adultos, no mesmo ano os adultos eram 53,6% das pessoas com fibrose cística nos Estados Unidos, o que escancara a fragilidade da política pública de atenção à doença no Brasil. Ainda, o relatório optou por apontar a mediana de sobrevida dos brasileiros, mas omitiu a média de idade dos óbitos. Em 2017 foram 50 óbitos, o que representa 1,5% do total de pacientes que constam no Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC)! A média de idade dos pacientes é de 17,4 anos no Brasil, absolutamente inferior aos países que adotam tecnologias mais avançadas.Não faz sentido implementar uma Política Nacional de Doenças Raras, incluir a fibrose cística no teste do pezinho e esgotar a política pública no diagnóstico.É preciso fornecer aos pacientes o único tratamento que atua na causa da doença, o que inclusive impacta nos custos do tratamento dos sintomas já oferecido (dentre eles o próprio custo do transplante).Na análise do ivacaftor, o relatório preliminar basicamente se posicionou pela existência de evidências robustas apenas para a mutação G551D. Ora, há 414 pessoas no CFTR2, registro que reúne a informação de 89.052 pacientes de todo mundo. Desses 414, nem todos estão vivos e nem todos teriam idade para serem elegíveis para um ensaio clínico. Assim, é impossível pensar que com um número tão limitado de pacientes seja possível organizar um estudo com um número suficiente de pacientes. O relatório menciona ainda que quatro mutações elegíveis para o ivacaftor não ocorrem no Brasil. Na verdade, são cinco mutações que atualmente não possuem pacientes com registro no REBRAFC (G1349D, G178R, G551S, G1251N e S1251N). Há 47 pessoas no mundo que tem ou tiveram uma dessas variantes. O fato de não existirem pacientes que possuam tais mutações atualmente no Brasil não afasta a possibilidade de um dia haver nascimentos de indivíduos com essas variantes. Nesse ponto, a sugestão de excluir as outras oito variantes além da G551D é particularmente cruel com os brasileiros, especialmente quando se sabe que a S549R é a 13a variante mais frequente na população brasileira, enquanto G551D é apenas a 33a.O relatório preliminar da CONITEC também excluiu cinco evidências, por considerar inadequado um acompanhamento inferior a seis meses. Ora, a doença é progressiva e fatal, o que faz com que seja eticamente inaceitável manter um grupo placebo por tanto tempo considerando-se os resultados positivos no grupo que recebeu o tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Tenho dois amigos FC. Os dois são irmãos. Um deles está fazendo uso do medicamento, e está ganhando peso, com maior capacidade pulmonar. Já a irmã, que aguarda o medicamento, vem sofrendo com maiores complicações. Daí a importância do medicamento, para que todos possam desfrutar dos benefícios dele, ver melhorada sua qualidade de vida e ver amenizado os impactos exaustivos da doença.</p> <p>2ª - Sim, Tenho dois amigos FC. Os dois são irmãos. Um deles está fazendo uso do medicamento e são notórios os benefícios. Ele já apresenta melhora na qualidade de vida, adquiriu peso, e já apresenta maior capacidade pulmonar. Por outro lado, a irmã dele, apresenta cada vez maiores complicações, enquanto aguarda o medicamento.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Indivíduos portadores de fibrose cística homizigotos são beneficiados por esta combinação de drogas</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Considerando a ausência, até o momento, de medidas curativas para a Fibrose Cística; considerando o satisfatório índice de adesão ao tratamento observado entre os pacientes com FC; considerando o alto número de pacientes portadores da mutação F508del entre a população brasileira e, considerando a melhoria da qualidade de vida apontada pelos estudos com o uso de lumacaftor/ivacaftor associado ao tratamento padrão, clamamos pela incorporação desta tecnologia aos tratamentos subsidiados pelo SUS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo. Com o acesso ao novo medicamento, teremos mais qualidade de vida e redução nas exacerbações pulmonares e agravamento da insuficiência respiratória, reduzindo as internações. Com melhoria do prognóstico e expectativa de vida</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes de outros países que tiveram acesso ao medicamento tem evoluído com redução de exacerbações pulmonares, com redução da indicação clínica de internação e antibioticoterapia via oral. O que reflete na qualidade de vida, prognóstico e expectativa de vida.</p> <p>3ª - Sim, Embora o medicamento seja de alto custo, haverá economia com a redução de internações e prescrição de medicamentos que tratam os sintomas da doença . Apresentando economia final no cofre estatal.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo. No interesse da comunidade que o Instituto representa, elaboramos o documento anexo às perguntas 10 e 19, fundamentando nossa DISCORDÂNCIA do parecer preliminar desfavorável à incorporação do medicamento LUMACAFITOR/IVACAFITOR para pacientes acima de seis anos homozigotos para a mutação F508del. Nossa argumentação a seguir visa contestar alguns pontos levantados no relatório técnico e considera, inclusive, a inexistência de qualquer outra droga de mesma eficácia no mercado brasileiro, que possa agir diretamente no defeito base da doença, estagnando sua evolução e melhorando a qualidade de vida das pessoas com fibrose cística, a exemplo do relato a seguir: “Ana Clara, 11 anos, faz uso de Orkambi há 1 ano. 1 ano sem internações, 1 ano sem bactérias, 1 ano sem antibióticos inalatórios. ORKAMBI aumentou imensamente a qualidade de vida dela.” (Relato extraído da página “Elo de Fibra”, no facebook, postagem no dia 21 de Agosto de 2020 (https://www.facebook.com/elodefibra))18</p> <p>2ª - Sim, Conforme detalhamos exaustivamente em diversos tópicos no documento em anexo, para pacientes com duas cópias da mutação F508del e seus familiares, a expectativa de poder escapar dessa progressão natural da doença se concretizou com o aparecimento do primeiro modulador da proteína CFTR, para esse grupo de mutações. Esse medicamento Lumacaftor/Ivacaftor, foi aprovado pelo FDA, em 2015, nos Estados Unidos. Nota-se aqui que cinco anos já se passaram entre a aprovação desta nova tecnologia no FDA e o presente momento de discussão para incorporação da mesma no Brasil, demonstrando, novamente, um grande espaço de tempo para os pacientes brasileiros. Certos da leitura completa do documento, anexamos nosso extenso parecer sobre EVIDÊNCIAS CLÍNICAS à pergunta 10.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Objetivamos no documento anexo à pergunta 19 permitir à comissão um maior conhecimento sobre a realidade dos pacientes e de suas famílias, enfocando questões clínicas e questões relativas às perdas e danos psicológicos, sociais e econômicos de pacientes e de seus familiares. Como a fibrose cística é uma doença crônica e progressiva e os tratamentos aqui disponíveis apenas ajudam a contornar seus sintomas, conforme item b do documento em anexo, é justamente entre a adolescência e a vida adulta que algumas comorbidades adquiridas com a doença podem se estabelecer: osteoporose, diabetes relacionada à fibrose cística, alterações hepatobiliares, entre outras, além de inúmeros danos psicológicos que destacamos no documento em anexo.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. A associação destes medicamentos é benéfica para estes pacientes 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O medicamento em questão já é usado em diversos países para pacientes com FC e mutações específicas, demonstrando uma grande quantidade de benefícios clínicos.</p> <p>2ª - Sim, Escrevo aqui como pesquisador especializado em doenças respiratórias com enfoque na fibrose cística (FC). Sou biomédico (2009) com especialização em Farmacologia Clínica. Fiz Mestrado e Doutorado no Instituto de Biofísica Carlos Chagas Filho da UFRJ com parte do meu Doutorado também sendo desenvolvido no Departamento de Fisiologia da Universidade Johns Hopkins (Baltimore, EUA). Atualmente sou investigador na Faculdade de Ciências da Universidade de Lisboa (Portugal). O principal objetivo da minha pesquisa é entender os mecanismos pelos quais a proteína defeituosa da FC, a chamada CFTR, é degradada. Através deste conhecimento buscamos desenvolver novas terapias com o intuito de corrigir os defeitos nesta proteína. Além disso, também trabalho com escaneamento de alto rendimento com o objetivo de identificar novas terapias farmacológicas para os pacientes com FC. Embora eu não trabalhe diretamente com os pacientes, nós recebemos com frequência amostras de pacientes (biópsias retais e células do epitélio nasal e brônquico) para poder testar a eficácia e segurança destes novos tratamentos e prever o potencial benefício que um determinado paciente obterá ao fazer uso destas novas terapias farmacológicas – a chamada medicina personalizada ou medicina de precisão. Até 2012, as terapias para FC eram focadas exclusivamente nos sintomas da doença. Estes compreendem de fisioterapia, terapias inalatórias e uma quantidade absurda de medicamentos (mais de 20 pílulas por dia) com o objetivo de reduzir o acúmulo de muco nas vias aéreas e inflamação pulmonar, erradicar infecções, bem como suplementação de enzimas pancreáticas. Embora estas terapias tenham melhorado a expectativa de vida e qualidade de vida dos pacientes, os benefícios ainda são muito limitados. De 2012 até a data, quatro medicamentos que atuam na causa da doença (ou seja, corrigindo o defeito na proteína) estão disponíveis para pacientes com FC e genótipos específicos. Estes medicamentos são chamados de moduladores da CFTR, visto que eles têm demonstrado a capacidade de corrigir defeitos específicos nesta proteína. A proteína CFTR funciona como um canal de cloreto e bicarbonato. Para mutações chamadas de “gating” ou condutância, este canal ainda é expresso na membrana plasmática das células, contudo, este não funciona de forma adequada, o que leva a uma desidratação da camada que recobre a superfície das células e acúmulo de muco. O ivacaftor (Kalydeco) é um potenciador, ou seja, esta molécula se liga ao CFTR defeituoso e permite com que o canal possa se abrir e fechar, permitindo assim a passagem de íons cloreto e bicarbonato. O Kalydeco foi inicialmente aprovado nos EUA para pacientes com a mutação G551D (uma mutação de “gating”) e posteriormente seu uso foi expandido para pacientes com outras mutações de “gating” ou condutância. Em estudos clínicos observou-se uma melhora significativa na função pulmonar, redução no número de hospitalizações e exacerbações pulmonares, redução da concentração de cloreto no suor, bem como melhora do índice de massa corporal, entre outros benefícios. Segue uma lista com alguns artigos científicos de ensaios clínicos que avaliaram segurança e eficácia do Kalydeco: N. Engl. J. Med. 2011; 365(18):1663-72/ Lancet Respir. Med. 2014;2(11):902-910/ Lancet Respir. Med. 2013;1(8):630-638/ Am. J. Respir. Crit. Care Med. 2013;187(11):1219-1225/ Am. J. Respir. Crit. Care Med. 2014;190(2):175-184/ J. Cyst. Fibros. 2014;13(6):674-680/ Lancet Respir. Med. 2015;3(7):524-533/ J. Cyst. Fibros. 2018;17(1):83-88. Em contraste com as mutações de “gating” ou condutância, nas mutações com defeito de tráfego ocorre uma degradação prematura da proteína CFTR durante seu processamento celular, o que</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>impede a proteína de chegar a membrana plasmática das células. Este é o caso da mutação F508del, a mais prevalente entre pacientes com FC. Para a proteína CFTR com este defeito, é necessário o uso de corretores – ou seja, fármacos que se liguem a esta proteína ainda em formação e ajudem para que esta obtenha um processamento correto. O lumacaftor é um corretor da proteína F508del-CFTR. Contudo, não foram observados efeitos benéficos em pacientes com FC e homocigotos para a mutação F508del em um estudo inicial utilizando o lumacaftor sozinho (Thorax 2012;67(1):12-8). Posteriores estudos demonstram que a combinação de um corretor e um potenciador era necessária para alcançar efeitos terapêuticos em pacientes com esta mutação, levando a aprovação da combinação lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) nos EUA em 2016. Segue uma lista com alguns artigos científicos de ensaios clínicos que avaliaram segurança e eficácia do Orkambi: N. Engl. J. Med. 2015;373(3):220-31/ Lancet Respir. Med. 2016;4(8):617-626/ Am. J. Respir. Crit. Care Med. 2017;195(7):912-920/ Lancet Respir. Med. 2017,5(2):107-118/ Lancet Respir. Med. 2017;5(7):557-567/ J. Cyst. Fibros. 2018;17(2):228-235/ J. Cyst. Fibros. 2019;18(1):94-101/ J. Cyst. Fibros. 2019;18(5):737-742.O tratamento com Orkambi em pacientes com FC e homocigotos para F508del demonstrou melhora na função pulmonar, redução no número de exacerbações e hospitalizações e melhora no índice de massa corporal. Embora os benefícios observados pelo tratamento com Orkambi sejam menores comparados com aqueles observados pelo tratamento com o Kalydeco para pacientes com outras mutações, observou-se benefícios clínicos em ambos regimes terapêuticos. Além disso, é importante ter em mente que a FC é uma doença crônica, progressiva, sistêmica e incurável. Como estes medicamentos atuam diretamente na causa da doença (e não nas consequências como os tratamentos convencionais), estes podem prevenir ou reduzir significativamente a progressão da doença. Estes medicamentos são mudanças de paradigma visto que eles têm a capacidade de modificar o curso da doença!Caso necessite de maiores informações a respeito dos mecanismos e efeitos destas novas terapias, por favor veja dois artigos de revisão os quais sou autor (ambos são open-access): Front Pharmacol 2016;7:275 (10.3389/fphar.2016.00275) e Front Pharmacol 2020;10:1662 (10.3389/fphar.2019.01662).Fico a disposição para maiores informações e esclarecimentos!</p>	
		3ª - Não	
		4ª - Não	
		5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Escrevo aqui como pesquisador especializado em doenças respiratórias com enfoque na fibrose cística (FC). Sou biomédico (2009) com especialização em Farmacologia Clínica. Fiz Mestrado e Doutorado no Instituto de Biofísica Carlos Chagas Filho da UFRJ com parte do meu Doutorado também sendo desenvolvido no Departamento de Fisiologia da Universidade Johns Hopkins (Baltimore, EUA). Atualmente sou investigador na Faculdade de Ciências da Universidade de Lisboa (Portugal). O principal objetivo da minha pesquisa é entender os mecanismos pelos quais a proteína defeituosa da FC, a chamada CFTR, é degradada. Através deste conhecimento buscamos desenvolver novas terapias com o intuito de corrigir os defeitos nesta proteína. Além disso, também trabalho com escaneamento de alto rendimento com o objetivo de identificar novas terapias farmacológicas para os pacientes com FC. Embora eu não trabalhe diretamente com os pacientes, nós recebemos com frequência amostras de pacientes (biópsias retais e células do epitélio nasal e brônquico) para poder testar a eficácia e segurança destes novos tratamentos e prever o potencial benefício que um determinado paciente obterá ao fazer uso destas novas terapias farmacológicas – a chamada medicina personalizada ou medicina de precisão. Até 2012, as terapias para FC eram focadas exclusivamente nos sintomas da doença. Estes compreendem de fisioterapia, terapias inalatórias e uma quantidade absurda de medicamentos (mais de 20 pílulas por dia) com o objetivo de reduzir o acúmulo de muco nas vias aéreas e inflamação pulmonar, erradicar infecções, bem como suplementação de enzimas pancreáticas. Embora estas terapias tenham melhorado a expectativa de vida e qualidade de vida dos pacientes, os benefícios ainda são muito limitados. De 2012 até a data, quatro medicamentos que atuam na causa da doença (ou seja, corrigindo o defeito na proteína) estão disponíveis para pacientes com FC e genótipos específicos. Estes medicamentos são chamados de moduladores da CFTR, visto que eles têm demonstrado a capacidade de corrigir defeitos específicos nesta proteína. A proteína CFTR funciona como um canal de cloreto e bicarbonato. Para mutações chamadas de “gating” ou condutância, este canal ainda é expresso na membrana plasmática das células, contudo, este não funciona de forma adequada, o que leva a uma desidratação da camada que recobre a superfície das células e acúmulo de muco. O ivacaftor (Kalydeco) é um potenciador, ou seja, esta molécula se liga ao CFTR defeituoso e permite com que o canal possa se abrir e fechar, permitindo assim a passagem de íons cloreto e bicarbonato. O Kalydeco foi inicialmente aprovado nos EUA para pacientes com a mutação G551D (uma mutação de “gating”) e posteriormente seu uso foi expandido para pacientes com outras mutações de “gating” ou condutância. Em estudos clínicos observou-se uma melhora significativa na função pulmonar, redução no número de hospitalizações e exacerbações pulmonares, redução da concentração de cloreto no suor, bem como melhora do índice de massa corporal, entre outros benefícios. Segue uma lista com alguns artigos científicos de ensaios clínicos que avaliaram segurança e eficácia do Kalydeco: N. Engl. J. Med. 2011; 365(18):1663-72/ Lancet Respir. Med. 2014;2(11):902-910/ Lancet Respir. Med. 2013;1(8):630-638/ Am. J. Respir. Crit. Care Med. 2013;187(11):1219-1225/ Am. J. Respir. Crit. Care Med. 2014;190(2):175-184/ J. Cyst. Fibros. 2014;13(6):674-680/ Lancet Respir. Med. 2015;3(7):524-533/ J. Cyst. Fibros. 2018;17(1):83-88. Em contraste com as mutações de “gating” ou condutância, nas mutações com defeito de tráfego ocorre uma degradação prematura da proteína CFTR durante seu processamento celular, o que impede a proteína de chegar a membrana plasmática das células. Este é o caso da mutação F508del, a mais prevalente entre pacientes com FC. Para a proteína CFTR com este defeito, é necessário o uso de corretores –</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>ou seja, fármacos que se liguem a esta proteína ainda em formação e ajudem para que esta obtenha um processamento correto. O lumacaftor é um corretor da proteína F508del-CFTR. Contudo, não foram observados efeitos benéficos em pacientes com FC e homocigotos para a mutação F508del em um estudo inicial utilizando o lumacaftor sozinho (Thorax 2012;67(1):12-8). Posteriores estudos demonstram que a combinação de um corretor e um potenciador era necessária para alcançar efeitos terapêuticos em pacientes com esta mutação, levando a aprovação da combinação lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) nos EUA em 2016. Segue uma lista com alguns artigos científicos de ensaios clínicos que avaliaram segurança e eficácia do Orkambi: N. Engl. J. Med. 2015;373(3):220-31/ Lancet Respir. Med. 2016;4(8):617-626/ Am. J. Respir. Crit. Care Med. 2017;195(7):912-920/ Lancet Respir. Med. 2017;5(2):107-118/ Lancet Respir. Med. 2017;5(7):557-567/ J. Cyst. Fibros. 2018;17(2):228-235/ J. Cyst. Fibros. 2019;18(1):94-101/ J. Cyst. Fibros. 2019;18(5):737-742.O tratamento com Orkambi em pacientes com FC e homocigotos para F508del demonstrou melhora na função pulmonar, redução no número de exacerbações e hospitalizações e melhora no índice de massa corporal. Embora os benefícios observados pelo tratamento com Orkambi sejam menores comparados com aqueles observados pelo tratamento com o Kalydeco para pacientes com outras mutações, observou-se benefícios clínicos em ambos regimes terapêuticos. Além disso, é importante ter em mente que a FC é uma doença crônica, progressiva, sistêmica e incurável. Como estes medicamentos atuam diretamente na causa da doença (e não nas consequências como os tratamentos convencionais), estes podem prevenir ou reduzir significativamente a progressão da doença. Estes medicamentos são mudanças de paradigma visto que eles têm a capacidade de modificar o curso da doença!Caso necessite de maiores informações a respeito dos mecanismos e efeitos destas novas terapias, por favor veja dois artigos de revisão os quais sou autor (ambos são open-access): Front Pharmacol 2016;7:275 (10.3389/fphar.2016.00275) e Front Pharmacol 2020;10:1662 (10.3389/fphar.2019.01662).Fico a disposição para maiores informações e esclarecimentos!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Deve ser incorporado. Todo mundo tem direito a ter uma qualidade de vida melhor.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. A incorporação dessa medicação poderá beneficiar e aumentar a sobrevida de inúmeras crianças 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Pacientes precisam ter a chance de ter um tratamento digno para poderem viverem por muitos anos bem, sem exacerbações e esse medicamento mostra que pode sim os pacientes terem sua doença estabilizada e terem uma vida normal. Por isso conitec sim ao orkambi a vida da minha única filha importa! 2ª - Sim, Há claras evidências clínicas da melhora significativa dos pacientes que já fazem uso dessa medicação, como ganho de peso e principalmente a melhora muito impactante nas exacerbações que eles sofrem po causa dessa maldita doença que eles não escolheram nascer com ela. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. reconheco a importancia desses remedios para o tratamento de fibrose cistica 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Acredito que, embora com evidências modestas de melhora na função pulmonar, tal medicamento mostrou-se benéfico por no mínimo estabilizar a queda nesse parâmetro, além de reduzir número de exacerbações, prolongado assim a sobrevida e reduzindo a deterioração clínica e progressão para o transplante pulmonar. Acredito que, com critérios claros de suspensão do tratamento em casos em que o benefício não for documentado em determinado período de tempo, por exemplo 6 meses, poderia selecionar quais os pacientes seriam os mais beneficiados com o referido tratamento.</p> <p>2ª - Sim, Gostaria de comentar um estudo, que se encontra também em anexo. Trata-se de um estudo examinou a segurança e eficácia de 12 meses do lumacaftor-ivacaftor em uma grande coorte nacional de adolescentes e adultos com FC homozigotos para Phe508del CFTR. O estudo foi realizado entre janeiro e dezembro de 2016, sendo incluídos 845 pacientes de 47 centros de fibrose cística da França. 6% Conseguiram receber o tratamento de forma contínua durante o estudo um total de 641 pacientes (75.6%), sendo a que média de follow up de 369 dias. Os resultados evidenciaram melhora significativa no ppFEV1 e no peso corporal e IMC, e redução no número de cursos de antibióticos IV foram observados na coorte geral. Em relação ao VEF1, 40% dos pacientes tiveram um aumento de 5%, ao passo que um aumento de 10% do VEF1 foi observado em 20% dos pacientes que receberam exposição prolongada (contínua ou intermitente) ao lumacaftor-ivacaftor. Nos pacientes em que o tratamento foi interrompido houve uma diminuição significativa no ppFEV1. Observou-se também em uma redução de 35% das exacerbações e na redução da proporção de pacientes com exacerbações frequentes (&#8805;2 / pacientes / ano). O Lumacaftor-ivacaftor foi descontinuado em 18,2% dos pacientes, principalmente devido a AEs respiratórios e, em menor extensão, a AEs não respiratórios. Os autores concluíram que 12 meses de tratamento com lumacaftor-ivacaftor foi associado a melhora significativa na função pulmonar e estado nutricional, e com uma redução nos cursos de antibióticos IV em adolescentes e adultos com FC homozigotos para Phe508del que toleraram o tratamento.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Eu como pai de paciente, sei de todo sofrimento que é e que passa um paciente com Fibrose Cística, sabendo que temos um tratamento e podemos ter acesso a ele precisamos para q nossa filha tenha essa doença estabilizada e uma melhor qualidade de vida podendo ter até uma vida normal sem exacerbações, com ganho de peso adequado, então precisamos a incorporação já dessa medicação para minha única filha que precisa e quer muito viver.</p> <p>2ª - Sim, Sim temos várias evidências clínicas, e uma delas é a anulação das exacerbações e um ganho de peso considerado muito importante para os pacientes, sem contar na qualidade de vida que melhora a olhos vistos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Apesar dos resultados dos estudos não terem mostrado aumentos expressivos de função pulmonar, houve melhora de IMC, diminuição no numero de internações e exacerbações, o que impacta expressivamente na qualidade de vida desses pacientes. Assim até que venha opção terapêutica com ganho de função pulmonar expressivos, podemos manter esses pacientes estaveis e em melhores condições clinicas até receberem os tratamentos de maior impacto como por exemplo o symdeco u o trikafta. 2ª - Sim, Estudo de vida real, que defende o uso do medicamento em questão pelo melhoria na qualidade de vida. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	Clique aqui

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Exatamente porque as medicações objeto do relatório preliminar são as únicas que atuam na BASE DA DOENÇA, é essencial que sejam incorporadas ao SUS.O relatório preliminar possui inconsistências.Cite-se o relato do aumento de adultos com fibrose cística na população brasileira. Ora, enquanto em 2017 o Brasil possuía 28,9% de pacientes adultos, no mesmo ano os adultos eram 53,6% das pessoas com fibrose cística nos Estados Unidos, o que escancara a fragilidade da política pública de atenção à doença no Brasil. Ainda, o relatório optou por apontar a mediana de sobrevida dos brasileiros, mas omitiu a média de idade dos óbitos. Em 2017 foram 50 óbitos, o que representa 1,5% do total de pacientes que constam no Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC)! A média de idade dos pacientes é de 17,4 anos no Brasil, absolutamente inferior aos países que adotam tecnologias mais avançadas.Não faz sentido implementar uma Política Nacional de Doenças Raras, incluir a fibrose cística no teste do pezinho e esgotar a política pública no tratmemto.É preciso fornecer aos pacientes o único tratamento que atua na causa da doença, o que inclusive impacta nos custos do tratamento dos sintomas já oferecido (dentre eles o próprio custo do transplante).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. OS MEDICAMENTOS EM QUESTAO SAO OS UNICOS COMPROVADOS ATE O MOMENTO QUE ATUAM NA CAUSA DA FIBROSE CISTICA E É IMPORTANTE SER INCORPORADO NA LISTA DE MEDICAMENTOS FORNECIDOS PELO SUS, O QUE IMPACTARIA NA REDUCAO DE CUSTOS COM COMPLICACOES DA DOENCA.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo. Sou uma pessoa com fibrose cística e só quem tem, sabe que é uma luta diária!... Este remédio é o único que existe para tratar a fibrose, e ele vai contribuir de uma maneira extraordinária para o tratamento das pessoas que portam essa gene! vai melhorar a qualidade de vida delas, além de progredirem o tratamento!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. -</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo. Discordamos totalmente da não incorporação do Lumacaftor/ivacaftor ao SUS. Os argumentos técnicos, científicos, econômico-financeiro, de análise de vida real, de experiência internacional, aspectos legais, e de diagnóstico estão anexos no documento com os gráficos e informações. Abaixo colocaremos a conclusão dessa análise, mas reiteramos a importância da leitura completa do documento anexo.</p> <p>CONCLUSÃO:O paciente de Fibrose Cística inicia sua luta pela vida desde o nascimento. Com uma rotina diária ininterrupta e vitalícia de inalações, fisioterapia respiratória e medicações específicas, se dedica a manter suas condições respiratórias e nutricionais para continuar vivendo e sonhando com o seu futuro. De acordo com todos os dados aqui apresentados, fica evidente a eficiência do uso de Lumacaftor/ivacaftor, onde devemos ressaltar o estudo de Rubin JL que demonstra que iniciar a intervenção a um paciente de 6 anos significa aumentar sua expectativa de vida em 23,4 anos, bem como a melhora substancial na qualidade de vida, capacidade respiratória, queda significativa na ocorrência de exacerbações pulmonares e melhora no ganho de peso. Os estudos observacionais trazem análise de longo prazo e grande população, tirando qualquer dúvida científica e metodológica sobre a eficiência e segurança do medicamento. Sanando as questões de avaliação de resultado, tempo de seguimento e manutenção do efeito em longo prazo, levantados pela CONITEC. Com a adequação da sobrevida média prevista com o Tratamento Padrão, o cálculo do QALY incremental com a intervenção do Lumacaftor/ivacaftor fica muito superior ao apresentado no relatório inicial da CONITEC. Por consequência, o RCEI / QALY, que indica o custo incremental por ano de vida com qualidade, fica muito menor. Assim, a razão de custo-efetividade fica muito mais favorável a incorporação do Lumacaftor/ivacaftor ao SUS. Com a explicação do procedimento de Diagnóstico da Fibrose Cística e com os dados do REBRAFC 2017 de que 79,5% dos pacientes já realizaram exames de genotipagem, restou pacificado a questão que o Lumacaftor/ivacaftor trata a causa da doença e não exame. Ser desfavorável a incorporação do medicamento baseado neste argumento de necessidade de exame de genotipagem é uma falácia. Revisando as documentações de entidades análogas a CONITEC e ao SUS de outros países, constata-se que o sistema público de saúde destes países invariavelmente incorporaram o Lumacaftor/ivacaftor, devendo o Brasil seguir esses exemplos, não permitindo que a demora em fazê-lo custe a vida dos pacientes com Fibrose Cística. Os critérios de prescrição também eliminam a dúvida sobre a ausência de critério para interrupção do medicamento. Não restando assim nenhuma dúvida ou aspecto incerto sobre a eficiência, segurança e razão de custo-efetividade. Para uma doença genética, crônica, progressiva e degenerativa, interromper o processo de piora do quadro geral de saúde já é um ganho excepcional para o paciente. Cada paciente é único e o seu médico especialista em Fibrose Cística é a pessoa que identifica o momento em que a progressão da doença se encaminha para limitações irreversíveis e impeditivas para a continuidade de uma vida com qualidade normal, ou seja, estudar, trabalhar, sonhar e construir um futuro para si e para a sociedade onde está inserido. Ter o Lumacaftor/ivacaftor à disposição no SUS é a ÚNICA ALTERNATIVA para interromper a progressão da Fibrose Cística. NEGAR a incorporação é negar seu direito à vida e à saúde, direitos esses garantidos na Constituição Brasileira. Temos a necessidade e direito ao tratamento, direitos esses já reconhecidos pela Lei Estadual de São Paulo no 11250 de 2002. No STF - Supremo Tribunal Federal, já reconhecido direito ao tratamento diferenciado para doenças raras e ultra raras. No Estatuto da Criança e do</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>Adolescente, Lei Federal 8069/90, onde se encaixam a grande maioria dos pacientes, em seu Art 3o Parágrafo Único “&#8203;Os direitos enunciados nesta Lei aplicam-se a todas as crianças e adolescentes, sem discriminação de nascimento, situação familiar, idade, sexo, raça, etnia ou cor, religião ou crença, &#8203;deficiência&#8203;...” e no Art 4o “...da sociedade em geral e do &#8203;poder público assegurar&#8203;, com absoluta prioridade, a efetivação dos &#8203;direitos referentes à vida, à saúde, à alimentação, à educação, ao esporte, ao lazer, à profissionalização, à cultura, à dignidade, ao respeito, à liberdade e à convivência familiar e comunitária.”</p> <p>NEGAR o Lumacaftor/ivacaftor aos pacientes de Fibrose Cística elegíveis ao medicamento é NEGAR muitos anos a mais de vida e com qualidade. É DESRESPEITAR AS LEIS VIGENTES E A CONSTITUIÇÃO. &#8203;É CONDENAR O PACIENTE À MORTE, CONFIGURANDO GENOCÍDIO E DISCRIMINAÇÃO AO PORTADOR DE DOENÇA RARA, sabendo que o tratamento existe e sabendo que seu DIREITO À VIDA deve ser respeitado.</p> <p>2ª - Sim, As evidências clínicas estão nos capítulos 7 e 8 do documento anexo.</p> <p>3ª - Sim, A análise econômica financeira está no capítulo 9 do documento anexo.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, As demais contribuições estão nos capítulos 1 ao 6 e do 10 ao 13 do documento anexo.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Instituição de saúde	<p>1ª - Discordo. Discordo do Parecer da CONITEC porque não existe nenhum outro medicamento específico que trate a fibrose Cística como no caso do medicamento proposto. Pois trata-se de uma doença rara e progressiva e os medicamentos atuais não impedem essa evolução da doença, elas apenas tratam os sintomas. E uma vida não tem preço. Quem sofre dessa doença tem o mesmo direito de viver assim como qualquer outra pessoa.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. A rotina de tratamento de um paciente portador de fibrose cística é árdua e intensa e sabemos que são medicamentos apenas paliativos pois não agem e não tratam o defeito genético e somente os sintomas decorrentes dele,esse medicamento é nossa esperança de que nossos filhos possam levar uma vida normal mais possível,diminuindo os sintomas e melhorando a sua qualidade de vida,pois passam mias de duas horas diárias para poder realizar o tratamento,passam por muitas internações hospitalares mesmo com tratamento contínuo para amenizar os sintomas.Queremos que nossos filhos tenham direito e chance de viver melhor,pois possibilidades já existem,mas no momento ainda não temos acesso ao tratamento.</p> <p>2ª - Sim, Tenho lido depoimentos de usuários dessa medicação em outros países e tiveram melhora significativa na qualidade de vida,ao contrário do que li no relatório da conitec que afirma que não há evidências de melhora do quadro clínico,Esse medicamento já vem sendo usado em muitos países e com melhora significativa na vida dos pacientes.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Acredito que o medicamento é de alto custo mas e se fosse com alguém de sua família, quanto vale uma vida?</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim, O Estudo Real-Life Safety and Effectiveness of Lumacaftor-Ivacaftor in Patients with Cystic Fibrosis, que anexo mostrou que houve melhora na doença pulmonar e estado nutricional , bem como redução nos cursos de antibioticos intravenosas nos adolescentes e adultos que toleraram o medicamento</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Exatamente porque as medicações objeto do relatório preliminar são as únicas que atuam na BASE DA DOENÇA, é essencial que sejam incorporadas ao SUS.O relatório preliminar possui inconsistências.Cite-se o relato do aumento de adultos com fibrose cística na população brasileira. Ora, enquanto em 2017 o Brasil possuía 28,9% de pacientes adultos, no mesmo ano os adultos eram 53,6% das pessoas com fibrose cística nos Estados Unidos, o que escancara a fragilidade da política pública de atenção à doença no Brasil. Ainda, o relatório optou por apontar a mediana de sobrevida dos brasileiros, mas omitiu a média de idade dos óbitos. Em 2017 foram 50 óbitos, o que representa 1,5% do total de pacientes que constam no Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC)! A média de idade dos pacientes é de 17,4 anos no Brasil, absolutamente inferior aos países que adotam tecnologias mais avançadas.Não faz sentido implementar uma Política Nacional de Doenças Raras, incluir a fibrose cística no teste do pezinho e esgotar a política pública no diagnóstico.É preciso fornecer aos pacientes o único tratamento que atua na causa da doença, o que inclusive impacta nos custos do tratamento dos sintomas já oferecido (dentre eles o próprio custo do transplante).Na análise do ivacaftor, o relatório preliminar basicamente se posicionou pela existência de evidências robustas apenas para a mutação G551D. Ora, há 414 pessoas no CFTR2, registro que reúne a informação de 89.052 pacientes de todo mundo. Desses 414, nem todos estão vivos e nem todos teriam idade para serem elegíveis para um ensaio clínico. Assim, é impossível pensar que com um número tão limitado de pacientes seja possível organizar um estudo com um número suficiente de pacientes. O relatório menciona ainda que quatro mutações elegíveis para o ivacaftor não ocorrem no Brasil. Na verdade, são cinco mutações que atualmente não possuem pacientes com registro no REBRAFC (G1349D, G178R, G551S, G1251N e S1251N). Há 47 pessoas no mundo que tem ou tiveram uma dessas variantes. O fato de não existirem pacientes que possuam tais mutações atualmente no Brasil não afasta a possibilidade de um dia haver nascimentos de indivíduos com essas variantes. Nesse ponto, a sugestão de excluir as outras oito variantes além da G551D é particularmente cruel com os brasileiros, especialmente quando se sabe que a S549R é a 13a variante mais frequente na população brasileira, enquanto G551D é apenas a 33a.O relatório preliminar da CONITEC também excluiu cinco evidências, por considerar inadequado um acompanhamento inferior a seis meses. Ora, a doença é progressiva e fatal, o que faz com que seja eticamente inaceitável manter um grupo placebo por tanto tempo considerando-se os resultados positivos no grupo que recebeu o tratamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Não existe, no Brasil, outro medicamento disponível para esta população de pacientes que atue do defeito básico da doença, ou seja, corrigindo a alteração celular decorrente do defeito genético. Todas as terapias até agora disponíveis apenas tratam a consequência da doença e, por isso, tem efeito limitado na qualidade de vida, no controle de exacerbações e no prognóstico dos pacientes.</p> <p>2ª - Sim, A Fibrose Cística é uma doença genética rara, autossômica recessiva, caracterizada pelo acometimento multissistêmico e crônico de diversos órgãos. O pulmão, entretanto, é o órgão mais comumente acometido e principal responsável pela morbi-mortalidade decorrente da doença. Ter diagnóstico de Fibrose Cística, especialmente em sua apresentação clássica, como a determinada pela presença de duas mutações do tipo DeltaF508 (alvo do medicamento Ivacaftor / Lumacaftor), muda definitivamente a vida de uma família e sela um mau prognóstico para o paciente, uma vez que, mesmo com a melhora expressiva da sobrevida nas últimas décadas, o paciente com Fibrose Cística ainda morre muito jovem, com cerca de metade dos óbitos, no mundo, ocorrendo antes dos 40 anos. Olhando apenas os dados do Brasil, vemos que menos de 30% da população com Fibrose Cística tem mais de 18 anos e cerca de metade dos pacientes tem 12 anos ou menos. A média de idade de óbito é 17 anos, sendo que metade dos pacientes ainda morre antes dos 15 anos no Brasil.</p> <p>(http://portalgbefc.org.br/ckfinder/userfiles/files/REBRAFC_2017.pdf).O curso clínico da Fibrose Cística, nestes casos, é marcado por deterioração pulmonar progressiva, bronquiectasias com produção de expectoração purulenta crônica, infecções de repetição, por germes multirresistentes, e múltiplos internamentos com uso de antibióticos. Paralelo a isso, há comprometimento de outros órgãos, como pâncreas, com insuficiência pancreática e disabsorção de gorduras, desnutrição, dificuldade de ganho de peso e déficit pondero-estatural. Pode haver evolução para insuficiência pancreática endócrina, com o aparecimento de Diabetes relacionado a Fibrose Cística, síndromes de obstrução intestinal, acometimento hepático com cirrose estabelecida, doença óssea, entre outros. O espectro de acometimento é variável de paciente para paciente, dependendo, entre outras coisas, do tipo de mutação apresentada e da presença ou não de mutações com função residual da proteína CFTR. Neste último caso, sintomas podem ser mais brandos e tardios, enquanto em mutações consideradas de função mínima, como a DeltaF508, o quadro clínico é mais complexo e mais grave. O manejo da Fibrose Cística no Brasil ainda está pautado apenas no tratamento das consequências da doença, ou seja, uso de agentes mucolíticos, antibióticos, fisioterapia, inalação, reposição de enzimas, suporte nutricional, acompanhamento da doença hepática e encaminhamento para transplante, seja de pulmão ou de fígado. Este tipo de abordagem apenas melhora sintomas, mas não trata a causa da doença e, apesar de ser capaz de prorrogar a sobrevida do paciente, não o faz de forma suficiente, não evita a deterioração pulmonar progressiva com perda de função pulmonar e, para o paciente e para a família, não evita uma vida marcada por limitações, não só físicas, mas de desenvolvimento pessoal e psicossocial, repleta de inalações, medicamentos, hospitalizações e morte precoce. O que vemos, na prática de consultório, são jovens adultos que, muitas vezes, não conseguiram frequentar a escola, desenvolver círculo de amizade, conquistar um emprego, ter relacionamentos, casar ou constituir família. Muitos permanecem dependentes dos pais, dada a limitação que a doença e a complexidade e o gasto de tempo que o tratamento impõe, além dos longos períodos de internação. Em</p>	

nosso centro temos um paciente de 26 anos que, apenas em 2020, já esteve internado por 6 vezes, somando mais de 90 dias de hospitalização. Uma outra paciente nossa, com seus 30 anos, em fila de transplante pulmonar, comemorou, semana passada, o primeiro mês que conseguiu permanecer em casa, fora do hospital. Em março deste ano, perdemos um paciente de 22 anos, homocigoto para DeltaF508 ou seja, elegível para uso da associação lumacaftor / ivacaftor, por um quadro de cirrose hepática decorrente da Fibrose Cística com hemorragia proveniente de varizes esofágicas e encefalopatia, além do acometimento pulmonar grave, que contraindicava a realização de transplante hepático. Esta é a evolução da doença, da forma com é tratada hoje, apesar de todos os nossos esforços. Há de se convir que, se há uma medicação que, indicada corretamente, é capaz de evitar a progressão da doença, reduzir exacerbações e internamentos e permitir que um paciente com Fibrose Cística consiga gozar uma vida digna e se desenvolver não só como pessoa, mas como cidadão, não há dúvidas de que seu uso deve ser orientado, tendo vindo para, finalmente, quebrar o paradigma que acompanha o paciente com Fibrose Cística já desde descrição de 1857: “The child will soon die whose brow tastes salty when kissed” - “A criança cuja testa fica com gosto salgado quando beijada logo morrerá”.¹⁰ medicamento Lumacaftor/Ivacaftor, foi aprovado pelo FDA, em 2015, nos Estados Unidos. Ele foi o segundo modulador da proteína CFTR lançado, destinado a corrigir defeitos mais complexos da proteína e, conseqüentemente, tratar pacientes com doença mais grave do que a coberta pelo seu antecessor, Ivacaftor. Este fato precisa ser levado em consideração quando comparamos os resultados das duas drogas, uma vez que na doença mais grave, nem sempre o benefício com relação a ganho de função pulmonar será tão significativo, devendo ser levado em consideração que a simples interrupção da perda, ou seja, a preservação da função pulmonar, já é considerada desfecho significativo do ponto de vista clínico. Além disso, a redução do número de exacerbações infecciosas e o ganho de peso, evidentes nos estudos e, também, nos relatos de vida real de pacientes que usaram lumacaftor/ivacaftor, agregam benefício tanto em qualidade de vida quanto em sobrevida, uma vez que exacerbações de repetição estão relacionadas a perda progressiva de função pulmonar e maior mortalidade ou necessidade de encaminhamento para transplante pulmonar. Em análise conjunta, o uso do lumacaftor/ivacaftor beneficiou pacientes com diferentes gravidades de doença pulmonar, onde subgrupos foram organizados por uma linha de corte na função pulmonar (FEV1). Estudos de longa duração demonstraram a continuidade dos benefícios para os pacientes com o uso da combinação lumacaftor/ivacaftor, com aumento no IMC (índice de massa corporal), redução de exacerbações e hospitalizações e redução significativa ou mesmo interrupção da deterioração pulmonar. O ganho é ainda maior quando o uso é mais precoce, antes do dano estrutural pulmonar importante causada pela Fibrose Cística. Assim, sendo a Fibrose Cística uma doença rara, cujo desenvolvimento de terapias enfrenta dificuldades no estabelecimento de ensaios clínicos randomizados, estudos duplo-cego e estudos de longa duração, consideramos não ser indicado que sua avaliação use os mesmos critérios aplicados para doenças mais prevalentes. Não se pode ignorar, neste caso, os dados de vida real, como os provenientes de estudos observacionais controlados, ferramenta importante para avaliar o real impacto desta tecnologia na vida cotidiana dos pacientes. Por fim, fazendo parte de um Centro de Tratamento de pacientes Adultos com Fibrose Cística, consideramos que as evidências acerca da segurança e eficácia do lumacaftor / ivacaftor são suficientes para justificar sua aprovação de uso pela CONITEC, mediante indicação correta, feita por centros

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>de referência em tratamento, baseada em genotipagem e com acompanhamento periódico dos resultado e comprovação de aderência do paciente ao tratamento.</p> <p>Referências</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Athanazio RA, Filho LVRFS, Vergara AA, Ribeiro AF, Riedi CA, Procianoy E FA, et al. Diretrizes Brasileiras de diagnóstico e tratamento da fibrose cística. J Bras Pneumol. 2017; 43(3):219-245. 2. Grupo Brasileiro de Estudos de Fibrose Cística. Registro Brasileiro de Fibrose Cística. Relatório Anual, 2017. Disponível em: http://portalgbecf.org.br/site/index.php 3. Cystic Fibrosis Foundation - Cystic Fibrosis Foundation Patient Registry Highlights, 2019. Disponível em: https://www.cff.org/Research/Researcher-Resources/Patient-Registry/Cystic-Fibrosis-Foundation-Patient-Registry-Highlights.pdf 4. Taylor-Cousar JL, Jain M, Barto TL, Haddad T, Atkinson J, Tian S, et al. Lumacaftor/ivacaftor in patients with cystic fibrosis and advanced lung disease homozygous for F508del-CFTR. Journal of Cystic Fibrosis 17 (2018) 228–235. 5. Elborn JS, Ramsey BW, Boyle MP, Konstan MW, Huang X, Marigowda G, et al. Efficacy and safety of lumacaftor/ivacaftor combination therapy in patients with cystic fibrosis homozygous for Phe508del CFTR by pulmonary function subgroup: a pooled analysis. Lancet Respir Med 2016; 4: 617–26. 6. Konstan MW, McKone EF, Moss RB, Marigowda G, Tian S, Waltz D, et al. Assessment of safety and efficacy of long-term treatment with combination lumacaftor and ivacaftor therapy in patients with cystic fibrosis homozygous for the F508del-CFTR mutation (PROGRESS): a phase 3, extension study. Lancet Respir Med 2016. http://dx.doi.org/10.1016/j.lanres.2016.06.012 7. Burgel, P-R, Durieu I, Chiron R, et al. Clinical response to lumacaftor-ivacaftor in patients with cystic fibrosis according to baseline lung function, Journal of Cystic Fibrosis, https://doi.org/10.1016/j.jcf.2020.06.012 <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O Lumacaftor/Ivacaftor é uma medicação que tem ação direta na mutação causadora da fibrose cística, o transporte de cloreto na membrana celular. Com o diagnóstico precoce e tratamento instituído, é possível evitar a progressão de doença e necessidade de tratamento de suas sequelas. Os medicamentos oferecidos pelo SUS, até o momento, são medicações sintomáticas, que não excluem a sobrevida livre de transplante. O tratamento da causa base não só reduz a necessidade de transplante, mas também a necessidade de terapias medicamentosas, fisioterapia respiratória, número de internações, além de promover ao cidadão portador de fibrose cística uma vida socio-econômica produtiva, além de melhorar a qualidade de vida, tanto no aspecto físico quanto psicológico. O exame necessário para indicar o tratamento é um exame de genotipagem, que requer uma estrutura mínima, mas que com parcerias e provavelmente em laboratórios de universidades públicas, poderá ser desenvolvido.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. Esse é o único tratamento que trata a doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Medicação necessária para manutenção da vida do paciente. Sendo assim é imprescindível que a mesma seja disponibilizada pelo SUS ao paciente.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. A incorporação dessa medicação poderá beneficiar e aumentar a sobrevida de inúmeras crianças 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Está medicação faz muita diferença na qualidade de vida dos portadores de FC. Há muito tempo não há medicação nova para tratamento desta doença pelo SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Por que a medicação é muito importante para os pacientes e é muito eficaz no tratamento! E deveria ser para todos! 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Discordo tendo em vista que o meu filho, tem direitos em ter uma vida melhor, e no momento sua capacidade pulmonar vem sofrendo uma baixa. E não queremos posteriormente que tal atitude de não incorporar tal medicamento nos faça ter arrependimentos. pois trata-se de uma vida e que não teve culpa de nascer com esse problema.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim,</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A Fibrose Cística (FC) é multissistêmica e apresenta uma ampla gama de manifestações. Na forma clássica, caracteriza-se por doença sino-pulmonar progressiva, insuficiência pancreática exócrina, com esteatorréia e desnutrição, além de concentrações elevadas de eletrólitos no suor. O acometimento de outros sítios pode se manifestar na forma de doença hepática, diabetes relacionado à FC (DRFC), osteopenia/osteoporose, infertilidade masculina (azoospermia obstrutiva) e pancreatite recorrente, entre outras (Farrel, 2008). A inflamação e as infecções frequentes do trato respiratório levam ao aumento da demanda energética (Pitts et al., 2008). A função pulmonar e o estado nutricional possuem íntima correlação, sendo que a acentuada perda de peso pode levar à diminuição de massa magra, com consequências sobre os músculos respiratórios e elasticidade pulmonar. Assim, a desnutrição energético-protéica é reconhecida como um importante fator prognóstico nos pacientes portadores de FC (Gaspar et al., 2002), associada com a queda da qualidade de vida e maior morbidade (Zhang & Lai, 2004). Referências: 1. Farrel PM, Rosenstein BJ, White TB, et al. Guidelines for diagnosis of cystic fibrosis in newborns through older adults: Cystic Fibrosis Foundation Consensus Report. J Pediatr. 2008;153:S4-S14. 2. Gaspar MCA, Chiba SM, Gomes CET, Juliano Y, Novo NF, Ancona Lopez F. Resultado de intervenção nutricional em crianças e adolescentes com fibrose cística. J Pediatr (Rio J). 2002; 78(2): 161-70. 3. Pitts J, Flack J, Goodfellow J. Improving Nutrition in the Cystic Fibrosis Patient. J Pediatr Health Care. 2008; 22(2):137-140. 4. Zhang Z, Lai, HJ. Evaluation of body mass index percentiles for assessment of malnutrition in children with cystic fibrosis. Am J Clin Nutr. 2004;80:982-91.</p> <p>2ª - Sim, Ainda que a associação de Lumacaftor com ivacaftor não tenha melhorado os sintomas respiratórios, foi observado redução das exacerbações pulmonares a uma extensão clinicamente significativa e melhora significativa do índice de massa corporal (IMC). Segue em anexo, o resumo do estudo citado.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Tenho amigos, são irmãos onde só um recebe a medicação! Temos prova que quem recebe tem uma saúde melhor comparada a quem não recebe, além de aumentar o peso e mostrar realmente a vantagem da medicação.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Tenho amigos, são irmãos onde só um recebe a medicação! Temos prova que quem recebe tem uma saúde melhor comparada a quem não recebe, além de aumentar o peso e mostrar realmente a vantagem da medicação.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Sociedade médica	<p>1ª - Discordo. A fibrose cística (FC) é uma doença genética rara, letal, complexa e progressiva, que afeta cerca de 5 mil brasileiros e aproximadamente 130 brasilienses. Sabe-se que a sobrevida desses pacientes no Brasil é abreviada ainda muito precocemente. Temos apenas 28,9% dos nossos pacientes acima de 18 anos no Brasil, contrastando com a realidade norte-americana e europeia, em que mais da metade desses pacientes já são adultos. Urge a atualização e incorporação de novas terapias que visem atuar no defeito básico da FC, e não apenas o tratamento da sintomatologia e das complicações dessa doença. Sabe-se do custo e do impacto orçamentário dessas novas medicações. Precisam ser levados em consideração os gastos para o tratamento da consequência da doença (inclusive internações, antimicrobianos de amplo espectro e transplante). Além disso, a proposta do Grupo Brasileiro de Estudos de FC (GBEFC) é a aplicação de critérios racionais e objetivos de inclusão (elegibilidade) das drogas em questão, e mesmo de critérios de acompanhamento da resposta clínica e de descontinuidade das medicações, a fim de nortear a prática clínica e restringir o uso e continuidade das drogas apenas para os casos que realmente se beneficiam das mesmas, otimizando os gastos e evitando judicialização. Dessa forma, dão o direito de melhoria dos pacientes que são elegíveis cientificamente, sem contemplar aqueles que não se beneficiam, de forma racional. Sobre a magnitude de resposta observada nos estudos clínicos, devemos considerar desfechos não somente de melhora do VEF1 (que pode ser considerado médio), mas também melhorais no LCI (lung clearance index), no índice de massa corporal (IMC), de qualidade de vida, bem como redução no número de exacerbações pulmonares. Essas novas terapias específicas, baseadas na correção e/ou modulação da função da proteína CFTR representam uma realidade em países norte-americanos e europeus, inclusive com critérios mais amplos do que os propostos pelo GBEFC. Vários países também já estão utilizando mais 2 drogas corretoras do canal de cloro, além das discutidas aqui. A Sociedade de Pediatria do Distrito Federal (SPDF) apoia o posicionamento do Grupo Brasileiro de Estudos de FC (GBEFC) e também se posiciona a favor da incorporação de novas tecnologias e medicações para o tratamento da FC, com o uso de critérios racionais e objetivos, propostos pelo GBEFC (item 15).</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Sabe-se do custo e do impacto orçamentário dessas novas medicações. Precisam ser levados em consideração os gastos para o tratamento da consequência da doença (inclusive internações, antimicrobianos de amplo espectro e transplante). Além disso, a proposta do Grupo Brasileiro de Estudos de FC (GBEFC) é a aplicação de critérios racionais e objetivos de inclusão (elegibilidade) das drogas em questão, e mesmo de critérios de acompanhamento da resposta clínica e de descontinuidade das medicações, a fim de nortear a prática clínica e restringir o uso e continuidade das drogas apenas para os casos que realmente se beneficiam das mesmas, otimizando os gastos e evitando judicialização. Dessa forma, dão o direito de melhoria dos pacientes que são elegíveis cientificamente, sem contemplar aqueles que não se beneficiam, de forma racional. Critérios de indicação e de descontinuidade da associação Lumacaftor + Ivacaftor, propostos pelo GBEFC, apoiados pela SPDF: Mutações F508del em homozigose, acima de 6 anos de idade: Segundo o Registro Brasileiro de Estudos de FC (REBRAFC/ GBEFC), cerca de 100 pacientes no Brasil, pelos critérios aqui</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>descritos:Indicações adicionais para prescrição da droga (necessário atender aos 3 requisitos):Estar vinculado a um Centro de Atendimento Especializado à FC;Justificativa: a fibrose cística é uma doença multissistêmica e complexa. Os centros de referência estão capacitados para o atendimento destes pacientes através de atendimento multiprofissional e seguimento de protocolos rígidos de acompanhamento. Além disso, isso garante um seguimento mais controlado dos pacientes, sendo possível acompanhar e avaliar os efeitos do tratamento. Ter manifestações da doença respiratória ou comprometimento nutricional (qualquer um dos itens);VEF1 entre 40 e 70% do predito OUExacerbações pulmonares frequentes com necessidade de admissão hospitalar (>2x/ano) OUDesnutrição ou percentil IMC < 15 Justificativa: As entidades médicas reconhecem a eficácia comprovada da associação lumacaftor+ivacaftor no ganho de função pulmonar, redução do número de exacerbações e melhora nutricional (aumento do peso e índice de massa corpórea) dos pacientes. Diante da existência de uma nova combinação tripla de modulador do CFTR com maior eficácia com perspectiva de chegada ao Brasil nos próximos anos e os custos atuais do medicamento, as entidades consideram apropriado garantir o acesso pelo menos ao grupo de pacientes de maior risco, como descrito acima, em que o atraso ao acesso do tratamento com moduladores da CFTR pode resultar em grave impacto negativo no prognóstico.Ter boa adesão ao tratamento: retirada regular e frequente de medicação no Centro de Atendimento, comparecimento regular às consultas ambulatoriais e de fisioterapia.NÃO ter sido submetido a transplante Justificativa: O objetivo do tratamento com os moduladores do CFTR é evitar a progressão da doença. Além disso, existe interação medicamentosa entre o uso dos imunossupressores e os moduladores do CFTR. Apresentações: Comprimidos revestidos contendo a associação lumacaftor/ivacaftor nas doses de 100mg/125mg e 200mg/125mg.Posologia: Pacientes com 12 anos ou mais: 2 comprimidos de 200mg/125mg (dose diária total de 800mg de lumacaftor e 500mg de ivacaftor). Pacientes entre 6 e 12 anos: 2 comprimidos 100mg/125mg (dose diária total de 400mg de lumacaftor e 500mg de ivacaftor). Deve ser tomado por via oral, com alimentos contendo gordura. O comprimido não deve ser mastigado, dividido ou dissolvido. Se tiverem decorrido mais de 6 horas de esquecimento da dose, o paciente deve aguardar a próxima dose.Avaliação prévia à prescrição: antropometria, avaliação oftalmológica, espirometria, cultura de secreção respiratória, avaliação da função hepática e novo teste do suor (cloridômetro).Avaliação da resposta à medicação: 30 dias: espirometria, antropometria3 meses: teste do suor (cloridômetro), espirometria, antropometria, avaliação da função hepática OBS: Caso o paciente apresente uma exacerbação pulmonar infecciosa nos primeiros 3 meses de tratamento, a reavaliação será postergada por 3 meses, mantendo o uso da medicação. Critérios de resposta satisfatória à medicação para continuidade do tratamento (qualquer um dos itens):Redução de pelo menos 10 mmol/L na dosagem de cloretos no suor (cloridômetro).Aumento do VEF1 igual ou superior a 5% do valor prévio.Conduta frente a efeitos adversos à medicação: Os pacientes que apresentarem efeitos adversos à medicação deverão ser avaliados caso a caso, devendo ser considerada a suspensão da medicação na eventualidade de reações adversas moderadas a severas. Por se tratar de um medicamento com evidências na melhora da evolução natural da doença, a equipe de saúde deve avaliar detalhadamente o caso com intuito de reverter os potenciais efeitos adversos e permitir que o paciente tolere o uso do medicamento.</p>	

5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A fibrose cística é uma doença de alta morbidade e letalidade, diminui em muito a qualidade e expectativa de vida. Os reguladores de CFTR (ORKAMBI), corresponde a única droga atualmente que age na causa da doença, NÃO HA MEDICAÇÃO ALTERNATIVA, todos os tratamentos existentes até aqui são apenas sintomáticos, portanto paliativos. Os reguladores (ORKAMBI), consegui estabilizar o caso, e concede vida normal aos pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Minha filha toma ORKAMBI, em apenas 06 meses de uso os resultados de sua espirometria melhoraram sensivelmente, pulou de 58% para 74%, as internações recorrentes deixaram de existir, hoje faz cerca de 01 ano e seis meses que não há necessidade de internações , ela antes sofria de hemoptises (sangue no escarro), hoje isso já não mais existe. Engordou 10 kg</p> <p>3ª - Sim, É uma enorme FALACIA, dizer que os reguladores (ORKAMBI) significara uma impacto econômico negativo, pois é o contrário. Estudos sérios comprovam que os tratamentos atuais paliativos, além de não resolver, são caros, as internações são recorrentes e duradouras, chagando a durar cerca de 28 dias, com uso de antibióticos caros, aparatos de UTI, equipes multidisciplinares são envolvidas, muitos suplementos alimentares, com muito gasto para o SUS, além do sofrimento e incerteza sobre a vida do paciente. Já o ORKAMBI evitaria muito destes gastos, pois diminuiria as internações, diminuiria os transplantes pulmonares e os óbitos</p> <p>4ª - Sim, O uso da tecnologia nova, além de salvar vidas, evitaria muitas despesas com internações recorrentes (podem ser várias durante o ano), além de ceifar vidas, compromete a renda dos familiares que concentram seus recursos na doença, incapacita o enfermo de trabalhar, promove enorme despesa ao SUS pois os tratamentos tradicionais e paliativos são caros, antibióticos caros, aparatos caros e muitos profissionais envolvidos, ocupações de UTIs, ao passo que a implementação da nova tecnologia (Reguladores como Lumacaftor/ivacaftor) abreviaria essas despesas. Estudos sérios comprovam isso (Vejam o anexo)</p> <p>5ª - Sim, o direito a vida e a saúde é básico da população, nossa constituição garante isso, o uso do Lumacaftor/ivacaftor significa muito para esses pacientes, significa a diferença entre a vida e a morte, pois NÃO HA TRATAMENTO EFETIVO ALTERNATIVO, embora os custos iniciais da implementação da nova tecnologia aparentemente sejam considerados, mas os benefícios na evidencias clinicas, avaliação econômica, e impacto orçamentários são positivos, pois haveria economia para o SUS, além de garantirmos a sobrevivida deste pacientes, que com os tratamentos atuais cedidos pelo SUS, apenas estão morrendo devagarzinho, com muitos gastos, perdas de vidas e sofrimentos. Assim,o uso da nova tecnologia é um ganho para todos, pacientes e estado</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. A doença é genética, logo, o tratamento tem que ser iniciado o mais breve possível. Com a utilização adequada do medicamento ao quadro clínico e a idade.</p> <p>2ª - Sim, A vida, nem a qualidade de vida podem ser mensurados em valores de custo. Todos os cidadãos brasileiros tem direito a receber do Estado o medicamento para seu tratamento.</p> <p>3ª - Sim, O impacto no orçamento do governo federal para disponibilizar esses medicamentos para todos os doentes, não corresponde a 0,3% do valor destinado ao fornecimento de medicamento.</p> <p>4ª - Sim, No Estado de direito, previsto na carta construcional existem diversos direitos, mas existe um que se sobrepõe a todos os outros: A VIDA</p> <p>5ª - Sim, Acompanhamos pacientes que fazem uso deste medicamento fora do Brasil com resultados fantásticos. Se a própria ANVISA/ANS autorizaram a comercialização é pq os resultados são comprovados. O não fornecimento do medicamento pela rede pública, fatalmy iria colocar os pacientes menos favorecidos financeiramente a morte. O Estado não pode escolher, quem vive ou quem morre.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Em 80 anos desde a descoberta científica da Fibrose Cística (FC) em 1938, muitos foram os ganhos clínicos e de qualidade de vida para os pacientes. A doença outrora considerada “da infância”, por possuir baixa expectativa de vida e alta mortalidade dos infantes que não chegavam à idade adulta, hoje vê os benefícios de um diagnóstico precoce, e tratamento contínuo. Apesar disso, como bem evidenciado no relatório da consulta pública 37 da CONITEC, de julho de 2020, o tratamento é limitado a terapias sintomáticas para fornecer suporte nutricional, melhorar o clearance das vias aéreas, e tratar manifestações clínicas da doença, como infecções pulmonares, sendo o objetivo apenas controlar os sintomas, mas não tratam o defeito na proteína que causa a doença. Com a descoberta do gene regulador, o Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator (CFTR), cuja função da proteína de mesmo nome é o transporte de ânions entre a membrana celular, uma nova perspectiva para um tratamento da doença foi colocada em pauta. Assim, medicamentos modulares da função da CFTR foram iniciados com o objetivo de possibilitar um tratamento personalizado. A doença é hoje modelo de pesquisa e inovação, e este modelo, de medicina personalizada, trás uma perspectiva de tratamento diferenciado para cada paciente com evidentes melhoras no quadro clínico, relatados em diversos ensaios clínicos, relatórios, artigos científicos, e associações de todo o mundo. Além disso, é preciso evidenciar os princípios norteadores do Sistema Único de Saúde Brasileiro (SUS) da universalização (direito de cidadania todos, cabendo ao Estado assegurá-lo); da equidade (diminuição das desigualdades); e da integralidade (considera as pessoas como um todo, atendendo as suas necessidades), trazendo a necessidade de revisão da recomendação inicial da CONITEC de não incorporação do Lumacaftor/Ivacaftor para tratamento de fibrose cística (FC) pelo SUS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Com o objetivo de identificar as mutações e a prevalência das mesmas em Pernambuco foi proposto o sequenciamento do exoma do gene CFTR dos pacientes diagnosticados com Fibrose Cística (FC) pelo Centro de referência do Estado de Pernambuco. O projeto foi aprovado pelo CNPq em 2014 e contou com a participação de 39 pessoas do centro, que atende aproximadamente 100 pacientes diagnosticados com FC. Foram encontradas 25 mutações, representando um alto grau de variabilidade genotípica em uma amostragem pequena. Destas mutações, 20 são conhecidas e cinco são mutações novas, ainda não registradas em bancos de dados e depositórios. As variantes se distribuem por todo o gene, atingindo desde a região promotora ao éxon 25. A mutação mais frequente foi a F508del, com frequência alélica de 41%. No total, 32 pacientes apresentavam pelo menos uma cópia do alelo mutado, sendo 12 heterozigotos e 10 homozigotos para a F508del, atingindo mais de 50% dos pacientes estudados. Os outros pacientes eram em sua maioria heterozigotos para outras mutações, embora tenha ocorrido homozigose para a mutação c.1624G>T (p.Gly542Ter) e c.1647T>G (p.Ser549Arg). As mutações mais frequentes foram a F508del, c.1624G>T, c.1647T>G, c.613C>T, c.1000C>T, c.2175dup, c.3421_3424dup e c.3484C>T, respectivamente em ordem decrescente. Sua frequência alélica foi diferente da encontrada nos pacientes registrados no REBRAFC e em outros registros ao redor do mundo (CYSTIC FIBROSIS CANADA, 2016; CYSTIC FIBROSIS AUSTRALIA,</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>2016; ECFS, 2016; CFF, 2017). Estes dados evidenciam a diversidade das mutações regionais, como também dos perfis de mutações de cada país, uma vez que das oito mutações mais frequentes encontradas nos pacientes de Pernambuco, apenas duas estavam presentes nos rankings de mutações de todos os outros países. Diante dos achados do sequenciamento exômico do gene CFTR de 39 pacientes de FC de Pernambuco, identificamos quatro pacientes que podem se beneficiar com o ivacaftor (Kalydeco) – consulta pública 38/2020 CONITEC, sendo três pacientes para a mutação c.1647T>G (S549R). Para o lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) - consulta pública 37/2020 CONITEC, foram diagnosticados 10 pacientes com F508del em homozigose, e que podem se beneficiar com a medicação proposta. Isso significa que 36% dos pacientes poderão usufruir dessa nova terapia uma vez que esteja regulamentada e disponível no Brasil. É importante de considerar este números, uma vez que estes 39 pacientes representam 35% dos atuais 112 pacientes acompanhados no centro de referência.</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O paciente de fibrose cística tem uma doença severa que compromete sua saúde de mídi crucial e frequentemente o leva à morte. Deve ter garantido pelo Estado seu direito à saúde e à vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Não concordo pois existe evidências clínicas na literatura do seu benefício.</p> <p>2ª - Sim, Artigo THE IMPACT OF 12 MONTHS TREATMENT WITH IVACAFTOR ON SCOTTISH PAEDIATRIC CYSTIC FIBROSIS PATIENTS WITH THE G551D MUTATION: A REVIEW Carol Drydena, Jane Wilkinsonb , David Youngc, Richard John Brookerdon behalf of the Scottish Paediatric Cystic Fibrosis Managed Clinical Network (SPCFMCN) Revisamos o impacto do ivacaftor em pacientes escoceses com fibrose cística (FC) pediátrica &#8805; 6 anos de idade após 12 meses de tratamento. Foram observadas melhorias estatisticamente significativas no VEF1 e no IMC e uma redução no cloreto no suor, todos comparáveis &#8203;&#8203;aos dados publicados anteriormente [1-3]. Os resultados também sugeriram redução do uso de antibióticos intravenosos e antibióticos orais. Nenhum efeito adverso significativo foi observado, mas uma possível associação com a formação de catarata não pôde ser excluída. Esta revisão sugere que, pelo menos a curto prazo, o ivacaftor é eficaz e seguro em doentes pediátricos &#8805; 6 anos de idade com G551D.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Muitas pessoas sofrem com o mal da fibrose cística e todos nós merecemos uma boa vida, e no momento, esse medicamento é de suma importância para a vida de quem tem a fibrose, falo isso convivendo com uma pessoa que vive e sente isso diariamente, desde criança.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Discordo da decisão da Conitec no não fornecimento desta medicação, uma vez que, com esta medicação o paciente terá uma melhora absurda na qualidade de vida e na evolução da doença. Tenho um sobrinho com Fibrose Cística e acompanho o seu tratamento desde o nascimento. Como é uma doença crônica, mesmo que você faça a fisioterapia e o tratamento com medicação - enzimas - e inalação diárias, esta medicação toda não impede que a doença evolua para um quadro clínico grave, com agravamento dos sintomas e perdas lastimáveis no processo respiratório, agravando a capacidade pulmonar do paciente. Meu sobrinho desde bebê, interna uma vez por ano 10 dias no hospital para tratamento preventivo com aplicação intravenosa de antibiótico, como tratamento preventivo. Desta forma, podemos observar a oneração do tratamento para o Sistema Público de Saúde, bem como, verificar a qualidade de vida do paciente, uma vez que, além de dispende horas para fisioterapia e inalação duas vezes por dia - o que significa 2 horas e meia por dia de tratamento, precisa dispor de internação anual para tratamento preventivo, com risco de contrair outras bactérias do ambiente hospitalar. Meu sobrinho, com 10 anos de idade, submeteu-se a uma cirurgia para retirada do lóbulo superior esquerdo do pulmão em 2015. Podem verificar, desta forma, o custo de uma cirurgia desta para o SUS. Com o passar dos anos, a doença vai se agravando cada vez mais, comprometendo o pulmão e o sistema digestivo. Desta forma, deveríamos pensar que um transplante de pulmão é uma realidade cada vez mais próxima. Temos que pensar no custo de um transplante e no período de internação para o sucesso deste transplante. São procedimentos caros e demanda de profissionais especializados. Portanto, com esta medicação, a doença iria se estagnar - sem evolução - e conseqüentemente, gerar economia no tratamento sem riscos de gastos com cirurgias. Sei que é uma medicação cara, mas se pensarmos nos benefícios que ela proporcionará ao paciente e nos custos posteriores que serão economizados - internação, na minha opinião, a aprovação</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Orkambi é medicação com benefícios já comprovados a pacientes com Fibrose Cística conforme a indicação adequada. Será um suporte a mais aos pacientes e trará uma melhor qualidade de vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Discordo da decisão da Conitec no não fornecimento desta medicação, uma vez que, com esta medicação o pacienteterá uma melhora absurda na qualidade de vida e na evolução da doença.Tenho um sobrinho com Fibrose Cística e acompanho o seu tratamento desde o nascimento. Como é uma doençacrônica, mesmo que você faça a fisioterapia e o tratamento com medicação - enzimas - e inalação diárias, estadedicção toda não impede que a doença evolua paa um quadro clínico grave, com agravamento dos sintomas e perdaslastimáveis no processo respiratório, agravando a capacidade pulmonar do paciente.Meu sobrinho desde bebê, interna uma vez por ano 10 dias no hospital para tratamento preventivo com aplicaçãointravenosa de antibiótico, como tratamento preventivo. Desta forma, podemos observar a oneração do tratamento parao Sistema Público de Saúde, bem como, verificar a qualidade de vida do paciente, uma vez que, além de dispenderhoras para fisioterapia e inalação duas vezes por dia - o que significa 2 horas e meia por dia de tratamento, precisadispor de internação anual para tratamento preventivo, com risco de contrair outras bactérias do didtema hospitalar.Meu sobrinho, com 10 anos de idade, submeteu-se a uma cirurgia para retirada do lóbulo superior esquerdo do pulmãoem 2015. Podem verificar, desta forma, o custo de uma cirurgia desta para o SUS.Com o passar dos anos, a doença vai se agravando cada vez mais, comprometendo o pulmão e o sistema digestivo.Desta forma, deveríamos pensar que um transplante de pulmão é uma realidade cada vez mais próxima. Temos quepensar no custo de um transplante e no período de internação para o sucesso deste transplante. São procedimentoscáros e demanda de profissionais especializados.Portanto, com esta medicação, a doença iria se estagnar- sem evolução - e consequentemente, gerar economia notratamento sem riscos de gastos com cirurgias.Sei que é uma medicação cara, mas se pensarmos nos benefícios que ela proporcionará ao paciente e nos custosposteriores que serão economizados - internação,na minha opinião, a aprovação</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Em uma doença genética progressiva, com tratamento apenas sintomático, a perspectiva de tratamento com o ivacaftor tem um impacto clínico considerável para aqueles portadores das mutações passíveis de tratamento. Este impacto é tão importante que os sistemas públicos mais considerados no mundo incorporaram a utilização desta medicação, como por exemplo o NHS no Reino Unido. O relatório técnico menciona que Agências de ATS do Canadá (CADTH), Austrália (PBAC) e Escócia (SMC) avaliaram que ivacaftor oferece benefícios clínicos importantes, comparado a placebo. Canadá e Austrália recomendaram pela sua incorporação apenas mediante redução de preço ou acordo de compartilhamento de risco. Falha em mencionar que o NHS incorporou a medicação. O relatório é falho no item 8 – Recomendações de outras agências. Menciona que “Não foi identificada recomendação do National Institute for Health and Care Excellence (NICE) sobre a utilização do ivacaftor em pacientes com FC para o sistema de saúde da Inglaterra”. Quando existe documento do NHS de 2012, incorporando a medicação no Reino Unido.</p> <p>2ª - Sim, Existem evidências suficientes de que o ivacaftor é clinicamente efetivo para pacientes com fibrose cística com idade acima de 6 meses, com uma das seguintes das mutações de gating (classe III) no gene regulador da condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR): (G551D, G178R, S549N, S549R, G551S, G1244E, S1251N, S1255P ou G139D), e mais recentemente para a mutação R117H. De forma geral, os desfechos estudados incluem: ganho na função pulmonar (volume expiratório forçado no primeiro segundo – VEF1) de 17,6% em adultos e 21,7% em crianças; redução de exacerbações em 22% e redução absoluta de riscos em 70%, em especial reduzindo em 26% o número de exacerbações que requerem tratamento endovenoso e 15% as que requerem internação hospitalar; ganho ponderal em média 2,7 kg. Em estudo fase III, aberto, o efeito de ganho funcional pulmonar de 9,4% em adolescentes e adultos e de 10,3% em crianças se manteve, com boa tolerância e segurança clínica.</p> <p>3ª - Sim, A avaliação econômica apresentada não incorpora a evolução inexorável da doença pulmonar que, na maioria dos casos, chega até a indicação de transplante pulmonar, com limitação das atividades produtivas do indivíduo e impacto familiar.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo</p> <p>2ª - Sim, Sim, pois toda medicação tem um efeito positivo sobre os pacientes, principalmente uma medicação tão importante no tratamento de FC como está é.</p> <p>3ª - Sim, Devem incorporar pois é uma medicação com alto valor e, muitos dos pacientes são de baixa renda e não têm condições de compra-la, além de que todos devem ter direito as medicações que seu tratamento pede.</p> <p>4ª - Sim, Os pacientes mais carentes não terão condições orçamentárias de comprar uma medicação tão cara, por isso devem libera-la.</p> <p>5ª - Sim,</p>	<p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A incorporação do lumacaftor/ivacaftor, impacta no ganho ponderal dos pacientes. O estado nutricional é uma condição há muito relacionada com a estabilização da função pulmonar. Além da função pulmonar, o expressivo efeito na insuficiência pancreática exócrina.</p> <p>2ª - Sim, O recente de estudo de vida real Pierre-Régis Burgel (2019) mostraram aumento no ganho ponderal nos pacientes que toleraram o tratamento. A associação entre ganho ponderal e melhora na função pulmonar é conhecida e essa condição é decorrente da diminuição das exacerbações pulmonares.</p> <p>3ª - Sim, O retardo em utilizar o lumacaftor/ivacaftor, leva a limitações reais para que este indivíduo se torne produtivo para a sociedade no decorrer de toda a sua vida. Outro ponto serão os gastos com os agravos de exacerbações da doença respiratória com comprometimento do estado nutricional, que implica em longas internações muitas vezes em unidades de terapia intensiva do SUS. As exacerbações tratadas em domicílio também impactam no agravo da função respiratória e piora da qualidade de vida, mobilizando familiares que se ausentam de suas atividades laborais.</p> <p>4ª - Sim, Minha opinião parte do pressuposto que essa medicação não figura entra as mais onerosas, daquelas já aprovadas por essa renomada agência. Por outro lado, os agravos decorrentes da não incorporação e o impeditivo para disponibilização da medicalização precoce, implicará um aumento significativo do custeio em função dos agravos já mencionados.</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Discordo pelo fato das medicações que temos hoje no Brasil só tratam sintomas e não impedem a doença de progredir.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. As crianças se beneficiarão com o uso dessa medicação. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O lumacaftor/ivacaftor demonstrou melhora da função pulmonar, redução do cloro no suor, redução das exacerbações e melhora do ganho de peso/IMC. Apesar da melhora da função pulmonar não ter sido tão expressiva a curto prazo é importante notar uma melhora a longo prazo com importante redução na queda. Visto que a doença pulmonar é progressiva uma estabilização na função pulmonar já é um ganho importante para o paciente. Considero ser importante ter uma chance com a medicação, com avaliação médica criteriosa para indicação, avaliação de resposta e suspensão no caso de não apresentar resposta esperada</p> <p>2ª - Sim, A combinação lumacaftor/ivacaftor foi estudada inicialmente em pacientes homocigotos para a variante F508del. Dois estudos randomizados, controlados por placebo e com duração inicial de 24 semanas (Estudos TRAFFIC e TRANSPORT) avaliaram a segurança e a eficácia da associação lumacaftor/ivacaftor (400 mg/ 250 mg de 12/12 horas) em 1.108 pacientes com fibrose cística homocigotos F508del, com 12 anos ou mais. Verificou-se um melhora de aproximadamente 3% no percentual do predito do VEF1 em relação ao placebo, estatisticamente significativa. Houve também melhora significativa do índice de massa corporal e diminuição do número de exacerbações. A magnitude da redução dos níveis de cloreto no suor não foi um desfecho nesse estudo, mas no estudo de fase 2 já havia sido demonstrada como de magnitude muito inferior à observada com ivacaftor em pacientes com variantes de regulação da CFTR. A extensão destes dois estudos (estudo PROGRESS), que incluiu pacientes tanto do grupo que usou a medicação como o grupo placebo, totalizando 1.030 pacientes, avaliou os efeitos da medicação por 96 semanas. Os resultados foram reafirmados, demonstrando benefícios na redução na frequência de exacerbações pulmonares agudas e benefícios na função pulmonar, com potencial impacto no longo prazo, e um perfil aceitável de tolerabilidade da medicação. Posteriormente, um estudo randomizado e controlado por placebo avaliou a eficácia e a segurança da associação lumacaftor/ivacaftor em pacientes homocigotos F508del com 6-11 anos de idade. O estudo, que incluiu 206 pacientes de 9 países por 24 semanas, demonstrou diminuição significativa dos níveis de cloreto no suor (-20mmol/L), aumento do IMC e do peso, melhora do percentual do predito do VEF1 e do lung clearance index em relação ao grupo placebo. Existe a necessidade de critérios bem definidos para indicação, avaliação de resposta e suspensão de medicação caso não tenha o desfecho esperado. Mas acredito que seja importante dar aos pacientes a possibilidade de uma medicação que possa frear a doença impedindo sua evolução e prolongando a vida dessas pessoas.</p> <p>3ª - Sim, Apesar do alto custo da medicação, se forem estabelecidos critérios bem definidos de indicação, resposta e se necessário suspensão, devemos levar em conta o alto custo do tratamento convencional sintomático disponível. Devido a gravidade da doença, evolução, exacerbações da doença pulmonar e outras complicações o paciente apresenta alto custo para o sistema de saúde com medicações e internações frequentes e prolongadas que ficam cada vez mais comuns com o evoluir da doença.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Acredito que uma medicação que possa melhorar a qualidade de vida dos portadores de FC seja muito importante. Dar uma chance de frear a evolução desfavorável da doença para os pacientes significa muito. Alguns já apresentam doença importante desde muito jovens e teriam uma chance de esperar por um</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>transplante ou quem sabe nem precisar dele. A simples perspectiva de uma maior expectativa de vida e uma melhor qualidade já são incentivos para que a luta desses pacientes seja menos árdua.O Estado de São Paulo emitiu recomendação para incorporação dessas medicação. Espero que os pacientes com FC no Brasil possam ter a felicidade de ter acesso as mais modernas medicações para travar suas batalhas contra essa doença que já ceifou tantas vidas e sonhos precocemente.</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Cono ja disse a Conitec tem que saber que meu filho merece essa medicação. Porque tudo que ele alimentação sai a metade ou mais dos nutrientes. Percentil 3. Parece um saco furado. Nao engrda . E triste saber que existe pessoas que não olha a dificuldade do meu filho e de todos.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. A fibrose cística é uma condição imprevisível e que não tem cura, mas é tratável. É direito de todo cidadão ter acesso a recursos que facilitem e melhorem seu tratamento. O tratamento é essencial para garantir saúde e qualidade de vida aos pacientes. A medicação e o tratamento são de grande benefício aos pacientes de diversas mutações da fibrose cística, alcançando pacientes de diferentes classes sociais e oferecendo a todos a mesma oportunidade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Possuo um filho com FC e vemos que os pacientes com acesso à esse medicamento lá fora obtiveram um salto na qualidade de vida. Diminuindo internações, estabilizando a função pulmonar, atrasando a necessidade de transplante e muitas outras melhoras</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Esta é a primeira droga lançada para correção do defeito básico para pacientes portadores da mutação de classe II, p.F508del, da maioria dos pacientes brasileiros, cuja a apresentação da doença é clássica e portanto com maior gravidade.Considerando tratar-se de doença com incidência aproximada de 1:10000, o investimento se justifica.</p> <p>2ª - Sim, Ainda que pequenos os ganhos de função pulmonar, os benefícios já demonstrados de redução das exacerbações e ganho nutricional resultam em melhor qualidade de vida e maior sobrevida. O acompanhamento da evolução dos pacientes nos ambulatórios dos centros deixa evidente 2 fatos: o elevado custo de tratamento decorrente de internações por exacerbações repetidas nos pacientes de todas as idades, mas principalmente nos de fase intermediária da doença2- o sofrimento físico e mental de pacientes e suas famílias.O advento da das drogas moduladoras do CFTR, trouxe aos pais e profissionais expectativas de mudança nos desfechos da doença e o início de uma nova etapa com maior permissividade à vida das crianças.</p> <p>3ª - Sim, Em nosso país, em nossa realidade sócio econômica, pacientes com doenças mais frequentes, cujos tratamentos também oneram o SUS, são agraciados pelo recebimento de medicamentos. Não seria razoável a igualdade de direitos para um quantitativo menor de pacientes portadores de doença rara?</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Visto que este tratamento já é disponibilizado em outros países, e que no Brasil só é possível via judicial. Tendo em vista a qualidade de vida proporcionada pelo uso do medicamento visto q esse vai agir na causa da doença e não somente como um paliativo para as repercussões que a FC traz.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	