

Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Ivacaftor para pacientes acima de 6 anos que apresentem mutações de gating - Conitec

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
12/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. os quesitos apresentados para não aprovar o medicamento não estão de acordo com as evidencias científicas. Por exemplo, custo não é critério científico 2ª - Sim, arquivo anexo, com comentários às perguntas levantadas na reunião CONITEC 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, no documento anexo item 10	Clique aqui
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	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Sim, 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
13/08/2020	Profissional de saúde	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). 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	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. 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. Já existem evidências científicas publicadas suficientes que o Ivacftor 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 Ivacaftor 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 Ivacaftor.</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. O relatório e a plenária não cumpriram com o tramite administrativo conforme o inciso II, do § 2, do art. 19-Q da Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011. O KALYDECO® É UMA DROGA ÓRFÃ E DEVE TER TRATAMENTO DIFERENCIADO PREVISTO NA LEI Nº 12.401. O relatório da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS deve considerar evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento e a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas. É preciso ficar claro que o modulador Kalydeco® (Ivacaftor) não trata os sintomas da Fibrose Cística, mas a doença propriamente dita, ou seja, corrige a Proteína CFTR da classe III de mutação, que causa a doença Fibrose Cística. O Kalydeco® é a primeira medicação desenvolvida na história, que trata a doença (correção da Proteína de classe III) e não apenas os sintomas. Nesse sentido, a análise da medicação pelos membros do plenário deve considerar Kalydeco® como uma droga Órfã, diferentemente de todas as demais tecnologias incorporadas na Relação Nacional de Medicamentos do Ministério da Saúde, que tratam apenas os sintomas, atribuindo ao Kalydeco® todas as previsões legais da legislação em vigor. Medicamentos que tratam os sintomas da fibrose Cística disponíveis atualmente na relação de medicamentos do SUS: • Tobramicina 300 mg solução inalatória; • Alfa1-nadornase 1 mg/ml solução para inalação; e • Pancreatina 10.000/25.000 UI solução oral. Assim sendo, não cabe à CONITEC fazer a avaliação econômica dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, uma vez que não existe tecnologia incorporada que trata a doença Fibrose Cística. Nesses termos dispõe o inciso II, do § 2, do art. 19-Q da Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011: “Art. 19-Q. A incorporação, a exclusão ou a alteração pelo SUS de novos medicamentos, produtos e procedimentos, bem como a constituição ou a alteração de protocolo clínico ou de diretriz terapêutica, são atribuições do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. § 1º A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, cuja composição e regimento são definidos em regulamento, contará com a participação de 1 (um) representante indicado pelo Conselho Nacional de Saúde e de 1 (um) representante, especialista na área, indicado pelo Conselho Federal de Medicina. § 2º O relatório da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS levará em consideração, necessariamente: I - as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou procedimento objeto do processo, acatadas pelo órgão competente para o registro ou a autorização de uso; II - a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, inclusive no que se refere aos atendimentos domiciliar, ambulatorial ou hospitalar, quando cabível.” Então vejamos: inciso I, do § 2, do art. 19-Q da Lei n 12.401: • Em relação a evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade, é possível reconhecer pelos estudos apresentados por ocasião da reunião plenária, que esses quesitos tiveram como status “alto” (principalmente para pacientes de 12 anos ou mais), sem qualquer contestação por parte dos membros da comissão. inciso II, do § 2, do art. 19-Q da Lei n 12.401: • O medicamento Kalydeco® é a única terapia registrada na ANVISA que trata a doença, corrigindo a Proteína CFTR na Classe III da Fibrose Cística. • Não cabe a CONITEC fazer a avaliação econômica dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, uma vez que não existe tecnologia incorporada que trata a doença Fibrose Cística. ☐</p> <p>2ª - Sim, 1. FIBROSE CÍSTICA Antes de iniciar minhas considerações peço vênias para nivelar o conhecimento sobre a doença, tendo em vista sua raridade. A Fibrose Cística é causada pela presença de mutações em</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>ambas as cópias do gene para a Proteína reguladora da condutância transmembrana na fibrose cística (CFTR), resultando em um defeito básico. A CFTR (canal regulador que atravessa a membrana) é uma proteína que localiza-se na membrana celular e ali é responsável por controlar a passagem do íon cloreto. A membrana celular é o envoltório da célula. Ela evita que o conteúdo da célula seja perdido e evita que substâncias indesejadas adentrem na célula. Quem controla a entrada e a saída na célula são as proteínas de membrana. Elas são as “portas” da membrana. Uma dessas portas é a CFTR. Assim, o canal CFTR é a porta por onde o cloreto sai das nossas células. Em pessoas saudáveis o cloreto sai da célula e atrai junto com ele a água, que lubrifica as secreções. Quando a proteína CFTR não é funcional (defeituosa), as secreções, que são geralmente finas, em vez disso, tornam-se espessas. A condição é diagnosticada por exame do suor e/ou exame genético. Assim, a doença Fibrose Cística é causada pelo defeito da Proteína CFTR. Defeitos da Proteína CFTR são Classificados em 5 classes: CLASSE I: No synthesis. Nonsense mutation. CLASSE II: Block in processing, Missense. CLASSE III: Block in regulation. Missense. Gene mais comum G551D (KALYDECO®) Classe IV: Altered conductance. Missense. Classe V: Reduced synthesis. Missense. Nesse sentido, só é possível tratar a doença corrigindo o defeito das proteínas CFTR com medicações chamadas de moduladores, que é o caso do Kalydeco®. 2. O KALYDECO® É UMA DROGA ÓRFÃ E DEVE TER TRATAMENTO DIFERENCIADO PREVISTO NA LEI Nº 12.401 O relatório da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS deve considerar evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento e a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas. É preciso ficar claro que o modulador Kalydeco® (Ivacaftor) não trata os sintomas da Fibrose Cística, mas a doença propriamente dita, ou seja, corrige a Proteína CFTR da classe III de mutação, que causa a doença Fibrose Cística. O Kalydeco® é a primeira medicação desenvolvida na história, que trata a doença (correção da Proteína de classe III) e não apenas os sintomas. Nesse sentido, a análise da medicação pelos membros do plenário deve considerar Kalydeco® como uma droga Órfã, diferentemente de todas as demais tecnologias incorporadas na Relação Nacional de Medicamentos do Ministério da Saúde, que tratam apenas os sintomas, atribuindo ao Kalydeco® todas as previsões legais da legislação em vigor. Medicações que tratam os sintomas da fibrose Cística disponíveis atualmente na relação de medicamentos do SUS: • Tobramicina 300 mg solução inalatória; • Alfacornase 1 mg/ml solução para inalação; e • Pancreatina 10.000/25.000 UI solução oral. Assim sendo, não cabe à CONITEC fazer a avaliação econômica dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, uma vez que não existe tecnologia incorporada que trata a doença Fibrose Cística. Nesses termos dispõe o inciso II, do § 2, do art. 19-Q da Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011: “Art. 19-Q. A incorporação, a exclusão ou a alteração pelo SUS de novos medicamentos, produtos e procedimentos, bem como a constituição ou a alteração de protocolo clínico ou de diretriz terapêutica, são atribuições do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. § 1º A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, cuja composição e regimento são definidos em regulamento, contará com a participação de 1 (um) representante indicado pelo Conselho Nacional de Saúde e de 1 (um) representante, especialista na área, indicado pelo Conselho Federal de Medicina. § 2º O relatório da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS levará em consideração, necessariamente: I - as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou</p>	

procedimento objeto do processo, acatadas pelo órgão competente para o registro ou a autorização de uso;II - a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, inclusive no que se refere aos atendimentos domiciliar, ambulatorial ou hospitalar, quando cabível.”Então vejamos:inciso I, do § 2, do art. 19-Q da Lei n 12.401:•Em relação a evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade, é possível reconhecer pelos estudos apresentados por ocasião da reunião plenária, que esses quesitos tiveram como status “alto” (principalmente para pacientes de 12 anos ou mais), sem qualquer contestação por parte dos membros da comissão.inciso II, do § 2, do art. 19-Q da Lei n 12.401:•O medicamento Kalydeco® é a única terapia registrada na ANVISA que trata a doença, corrigindo a Proteína CFTR na Classe III da Fibrose Cística. •Não cabe a CONITEC fazer a avaliação econômica dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, uma vez que não existe tecnologia incorporada que trata a doença Fibrose Cística. Isto posto, faz-se mister frisar alguns esclarecimentos que julgo de importante contribuição para análise complementar da comissão à partir do vídeo da reunião plenária disponibilizado no site da CONITEC.3. ANÁLISES À PARTIR DO VÍDEO DA PLENÁRIA E RELATÓRIO DISPONIBILIZADOS NO SITE DA CONITEC.BENEFÍCIO X MUTAÇÕES ESTUDADASComentário da comissãoFoi comentado que o fabricante assumiu que o benefício do Kalydeco® (Ivacaftor) ocorreria para todas as mutações do pedido, mas as pesquisas foram feitas somente com a mutação G551D.EsclarecimentoO Kalydeco® foi desenvolvido para corrigir a proteína CFTR de classe III. Nessa classe de mutação as proteínas chegam até a superfície celular mas não abrem o canal de cloro.A mutação G551D é a mais comum da classe III, por isso as pesquisas se basearam nela (maior quantidade de pacientes). No entanto, as demais mutações sugeridas pelo fabricante também são de classe III, e, sendo assim, o mecanismo defeituoso será o mesmo da mutação G551D. A proteína chegará até a superfície celular mas não abrirá o canal de cloro.Deve ficar claro que não se trata de um composto para correção genética da mutação G551D, mas de correção da própria proteína CFTR defeituosa de classe III.ConclusãoSendo assim, é possível afirmar que o Kalydeco® será igualmente efetivo para as demais mutações, de classe III, sugeridas pelo fabricante, tendo em vista que, nessas mutações a proteína CFTR sempre chegará a superfície celular não abrindo o canal de cloro.EFETIVIDADE DA MEDICAÇÃOComentário da comissãoFoi questionado pela comissão se a indicação seria exclusivamente nos casos de Fibrose pulmonar.EsclarecimentoO Kalydeco® atua diretamente na correção da proteína CFTR (classe III da doença), sendo assim, o benefício é percebido em todos os órgãos, como: pulmão, fígado, pâncreas, etc.Os dois estudos apresentados possuem endpoints secundários (não ficou claro o entendimento nas discussões entre os componentes da comissão), como a parte digestiva medida por meio do ganho de peso. Este ponto poderia ser melhor esclarecido pelo fabricante.Na parte digestiva podemos citar a possibilidade de restituição total ou parcial da função pancreática. Lembrando que, na fibrose cística, os canais pancreáticos estão obstruídos devido a viscosidade da secreção.A melhora da função pancreática fica evidente no frequente ganho de peso dos pacientes. Não é raro verificar, por meio de grupos de mídias sociais, depoimentos dos pacientes que, até então tinham uma prescrição de dietas hipercalóricas e hiperproteicas, com o objetivo de compensar a insuficiência pancreática, a preocupação com o excessivo ganho de peso em poucas semanas de tratamento. Muitos deles necessitam inclusive de uma reeducação alimentar, a fim de controlar o ganho de peso. No estudo ENVISION (6 a 11 anos): ganho de peso médio de

2,8 kg em 48 semanas.No estudo STRIVE (12 anos ou mais): ganho de peso médio de 2.7kg em 48 semanas.Entretanto, o ponto mais importante a ser considerado para avaliar a eficiência da medicação na manifestação clínica geral é a redução da quantidade de cloro no suor. Lembrando que o exame padrão ouro para diagnóstico da Fibrose Cística é a medição da quantidade de cloreto no suor.No estudo STRIVE (12 anos ou mais) a redução foi de 48 mmol/L em 48 semanas.No estudo ENVISION (6 a 11 anos) a redução foi de 53 mmol/L em 48 semanas.O diagnóstico padrão ouro da Fibrose Cística é o exame da quantificação de cloro no suor. Neste exame, o resultado acima de 60 mmol/L indica Fibrose Cística.Grande parte dos resultados dos resultados dos exames ficam em faixas entre 100 a 130 mmol/L. Podemos inferir então que, uma fração dos pacientes que receberem a medicação Kalydeco® e realizarem o exame do suor não seriam diagnosticados com fibrose cística, uma vez que teriam resultados inferiores a 60 mmol/L.Usando meu próprio filho como exemplo um resultado possível seria de:110 mmol/L (resultado do exame de diagnóstico do meu filho) – 53 mmol/L (média da redução do cloro no suor do estudo ENVISION) = 57mmol/L. Com o resultado em tela (57 mmol/L) meu filho estaria abaixo da faixa considerada para diagnóstico da doença (60 mmol/L).ConclusãoA resposta ao questionamento é “não”.É possível afirmar que todos os órgãos acometidos pela doença serão beneficiados com a medicação, uma vez que o Kalydeco® atua diretamente na raiz da doença, corrigindo o defeito da proteína CFTR de classe III intracelular.EXAME GENÉTICO PARA PRESCRIÇÃOComentário da comissãoFoi comentado pela comissão que a base da indicação seria o exame genético e não clínico.EsclarecimentoEsta afirmação está correta, pois no universo da Fibrose Cística possuímos 5 classes de mutações. Cada classe está associada a uma lista de mutações genéticas.Neste sentido, a prescrição de qualquer medicação que atue diretamente na raiz do problema (defeito da proteína CFTR) terá que ser feita baseada no resultado do exame genético, que vai indicar os genes mutados, possibilitando o médico fazer a prescrição da medicação adequada.CLASSE 1: No synthesis. Nonsensemutation. Gene mais comum G542XCLASSE 2: Block in processing, Missense. Gene mais comum DF508CLASSE 3: Block in regulation. Missense. Gene mais comum G551D (KALYDECO®)Classe 4: Alteredconductance. Missense. Gene mais comum R117HClasse 5: Reducedsynthesis. Missense. Gene mais comum A455EConclusãoA doença é genética e já foram classificadas mais de 2000 mutações genéticas associadas à Fibrose Cística. O tratamento da proteína defeituosa CFTR está ligado à classe de mutação da doença, e cada classe de mutação é associada aos genes mutados. Sendo assim, não é possível tratar a causa raiz da Fibrose cística sem conhecer o gene mutado.O exame genético se torna obrigatório. DIFERENÇAS DE RESULTADOS POR IDADE (6 A 11 ANOS E ACIMA DE 12 ANOS)Comentário da comissãoFoi questionado por um dos membros da comissão o motivo dos resultados do estudo No estudo STRIVE (12 anos ou mais) serem melhores que o do estudo ENVISION (6 a 11 anos).EsclarecimentoPara esclarecer este ponto é importante lembrar que a fibrose cística é uma doença progressiva. Neste sentido, os pacientes do estudo STRIVE (12 anos ou mais) possuíam em média um déficit da função pulmonar maior que o do estudo ENVISION (6 a 11 anos), 64% e 84% respectivamente, pois são pacientes de idades mais avançadas. ConclusãoA melhora da função pulmonar fica mais evidente nos pacientes que possuem um função mais baixa, tendo em vista que a melhora não é representa por um gráfico linear ascendente. Quanto mais próximo do FEV1 de 100% menor é a percepção de melhora pulmonar.Contudo, é importante ressaltar que o tratamento precoce, neste caso com 6 anos de idade, é

fundamental para controle da doença. Em outros países, como nos EUA, a medicação é utilizada à partir de 6 meses de idade, conforme bula original. EXTENSÃO DOS ENSAIOS CLÍNICOS Comentário da comissão Foi comentado sobre estudos de extensão dos ensaios. Esclarecimento Indico a análise do estudo PERSIST que demonstrou que a segurança e a eficácia do KALYDECO® observadas nas fases 3 (STRIVE e ENVISION), foram mantidas por 144 semanas. Cabe ressaltar que neste estudo não há grupo comparador em virtude da raridade da doença e a quantidade bastante limitada de pacientes. Isso poderia estar inclusive associada a questões éticas, já que a doença pode levar a mortalidade precoce. Estudo PERSIST: “ClinicalTrials.gov, number NCT01117012 and EudraCT, number 2009-012997-11” Conclusão Os benefícios da medicação persistiram ao longo do tempo. Nos Estados Unidos a medicação já é utilizada desde o ano de 2012 sem interrupção por falta ou perda de evidências. 3. CONSIDERAÇÕES FINAIS Desde a descoberta em 1989 da mutação do gene *CFTR* pelo canadense John Richard Riordan, a indústria farmacêutica iniciou uma corrida para o desenvolvimento de um modulador que corrigisse o defeito da proteína CFTR à partir do gene mutado. Trinta e um anos se passaram e finalmente os fibrocísticos brasileiros podem ter acesso a primeira medicação de alta efetividade comprovada utilizada mundialmente desde o ano de 2012. A não incorporação do fármaco colocará os doentes brasileiros à margem dos demais países do mundo que, já incorporaram e fornecem mensalmente a medicação, ou, no mínimo, estão negociando o preço com a fabricante Vertex. Além disso, a não incorporação do Kalydeco® inviabilizará TODAS as incorporações das terapias hoje aprovadas no mundo, que possuem em sua combinação o Kalydeco® (Ivacaftor), como mecanismo de abertura do canal de cloro. Por fim, é importante salientar que não se trata de apenas mais uma droga, mas de uma medicação que tem a capacidade de realmente aumentar a sobrevida e a qualidade de vida dos pacientes. Para tanto, encaminho em anexo alguns dos milhares de depoimentos espontâneos, coletados aleatoriamente em mídias sociais, que mostram, do ponto de vista dos pacientes, o resultado que realmente importa: a vida. CONITEC, a medicina possui múltiplas especialidades e subespecialidades. É imperioso que, para este tema, seja considerado a opinião dos médicos que tratam a Fibrose Cística diariamente e que possuem experiência em congressos no exterior e com pacientes que já fazem o uso da medicação, seja no Brasil ou no exterior. A incorporação é a última barreira entre a vida e a morte dos nossos filhos. Não nos deixem para trás. Nossos filhos não são apenas números, valores ou estatísticas; eles são a razão da nossa própria existência. “Por vezes sentimos que aquilo que fazemos não é senão uma gota de água no mar. Mas o mar seria menor se lhe faltasse uma gota.”

3ª - Sim, O KALYDECO® É UMA DROGA ÓRFÃ E DEVE TER TRATAMENTO DIFERENCIADO PREVISTO NA LEI Nº 12.401 O relatório da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS deve considerar evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento e a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas. É preciso ficar claro que o modulador Kalydeco® (Ivacaftor) não trata os sintomas da Fibrose Cística, mas a doença propriamente dita, ou seja, corrige a Proteína CFTR da classe III de mutação, que causa a doença Fibrose Cística. O Kalydeco® é a primeira medicação desenvolvida na história, que trata a doença (correção da Proteína de classe III) e não apenas os sintomas. Nesse sentido, a análise da medicação pelos membros do plenário deve considerar Kalydeco® como uma droga Órfã, diferentemente de todas as demais tecnologias incorporadas na Relação

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>Nacional de Medicamentos do Ministério da Saúde, que tratam apenas os sintomas, atribuindo ao Kalydeco® todas as previsões legais da legislação em vigor. Medicações que tratam os sintomas da fibrose Cística disponíveis atualmente na relação de medicamentos do SUS: • Tobramicina 300 mg solução inalatória; • Alfadornase 1 mg/ml solução para inalação; e • Pancreatina 10.000/25.000 UI solução oral. Assim sendo, não cabe à CONITEC fazer a avaliação econômica dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, uma vez que não existe tecnologia incorporada que trata a doença Fibrose Cística. Nesses termos dispõe o inciso II, do § 2, do art. 19-Q da Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011: “Art. 19-Q. A incorporação, a exclusão ou a alteração pelo SUS de novos medicamentos, produtos e procedimentos, bem como a constituição ou a alteração de protocolo clínico ou de diretriz terapêutica, são atribuições do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. § 1º A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, cuja composição e regimento são definidos em regulamento, contará com a participação de 1 (um) representante indicado pelo Conselho Nacional de Saúde e de 1 (um) representante, especialista na área, indicado pelo Conselho Federal de Medicina. § 2º O relatório da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS levará em consideração, necessariamente: I - as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou procedimento objeto do processo, acatadas pelo órgão competente para o registro ou a autorização de uso; II - a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, inclusive no que se refere aos atendimentos domiciliar, ambulatorial ou hospitalar, quando cabível.” Então vejamos: inciso I, do § 2, do art. 19-Q da Lei n 12.401: • Em relação a evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade, é possível reconhecer pelos estudos apresentados por ocasião da reunião plenária, que esses quesitos tiveram como status “alto” (principalmente para pacientes de 12 anos ou mais), sem qualquer contestação por parte dos membros da comissão. inciso II, do § 2, do art. 19-Q da Lei n 12.401: • O medicamento Kalydeco® é a única terapia registrada na ANVISA que trata a doença, corrigindo a Proteína CFTR na Classe III da Fibrose Cística. • Não cabe a CONITEC fazer a avaliação econômica dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, uma vez que não existe tecnologia incorporada que trata a doença Fibrose Cística.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Em anexo apresento alguns dos inúmeros depoimentos dos pacientes que já fazem uso do kalydeco no mundo</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. O KALYDECO® É UMA DROGA ÓRFÃ E DEVE TER TRATAMENTO DIFERENCIADO PREVISTO NA LEI Nº 12.401O relatório da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS deve considerar evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento e a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas.É preciso ficar claro que o modulador Kalydeco® (Ivacaftor) não trata os sintomas da Fibrose Cística, mas a doença propriamente dita, ou seja, corrige a Proteína CFTR da classe III de mutação, que causa a doença Fibrose Cística. O Kalydeco® é a primeira medicação desenvolvida na história, que trata a doença (correção da Proteína de classe III) e não apenas os sintomas.Nesse sentido, a análise da medicação pelos membros do plenário deve considerar Kalydeco® como uma droga Órfã, diferentemente de todas as demais tecnologiasincorporadas na Relação Nacional de Medicamentos do Ministério da Saúde, que tratam apenas os sintomas, atribuindo ao Kalydeco® todas as previsões legais da legislação em vigor. Medicamentos que tratam os sintomas da fibrose Cística disponíveis atualmente na relação de medicamentos do SUS:•Tobramicina 300 mg solução inalatória;•Alfadornase 1 mg/ml solução para inalação; e•Pancreatina 10.000/25.000 UI solução oral.Assim sendo, não cabeà CONITEC fazer a avaliação econômica dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, uma vez que não existe tecnologia incorporada que trata a doença Fibrose Cística.Nesses termos dispõe o inciso II, do § 2, do art. 19-Q da Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011: “Art. 19-Q. A incorporação, a exclusão ou a alteração pelo SUS de novos medicamentos, produtos e procedimentos, bem como a constituição ou a alteração de protocolo clínico ou de diretriz terapêutica, são atribuições do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS.§ 1º A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, cuja composição e regimento são definidos em regulamento, contará com a participação de 1 (um) representante indicado pelo Conselho Nacional de Saúde e de 1 (um) representante, especialista na área, indicado pelo Conselho Federal de Medicina.§ 2º O relatório da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS levará em consideração, necessariamente:I - as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou procedimento objeto do processo, acatadas pelo órgão competente para o registro ou a autorização de uso;II - a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, inclusive no que se refere aos atendimentos domiciliar, ambulatorial ou hospitalar, quando cabível.”Então vejamos:inciso I, do § 2, do art. 19-Q da Lei n 12.401:•Em relação a evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade, é possível reconhecer pelos estudos apresentados por ocasião da reunião plenária, que esses quesitos tiveram como status “alto” (principalmente para pacientes de 12 anos ou mais), sem qualquer contestação por parte dos membros da comissão.inciso II, do § 2, do art. 19-Q da Lei n 12.401:•O medicamento Kalydeco® é a única terapia registrada na ANVISA que trata a doença,corrigindo a Proteína CFTR na Classe III da Fibrose Cística. •Não cabe a CONITEC fazer a avaliação econômica dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, uma vez que não existe tecnologia incorporada que trata a doença Fibrose Cística</p> <p>2ª - Sim, conforme documento em anexo</p> <p>3ª - Sim, O KALYDECO® É UMA DROGA ÓRFÃ E DEVE TER TRATAMENTO DIFERENCIADO PREVISTO NA LEI Nº</p>	<p>Clique aqui</p>

12.401O relatório da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS deve considerar evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento e a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas.É preciso ficar claro que o modulador Kalydeco® (Ivacaftor) não trata os sintomas da Fibrose Cística, mas a doença propriamente dita, ou seja, corrige a Proteína CFTR da classe III de mutação, que causa a doença Fibrose Cística. O Kalydeco® é a primeira medicação desenvolvida na história, que trata a doença (correção da Proteína de classe III) e não apenas os sintomas.Nesse sentido, a análise da medicação pelos membros do plenário deve considerar Kalydeco® como uma droga Órfã, diferentemente de todas as demais tecnologias incorporadas na Relação Nacional de Medicamentos do Ministério da Saúde, que tratam apenas os sintomas, atribuindo ao Kalydeco® todas as previsões legais da legislação em vigor. Medicamentos que tratam os sintomas da fibrose Cística disponíveis atualmente na relação de medicamentos do SUS:•Tobramicina 300 mg solução inalatória;•Alfadornase 1 mg/ml solução para inalação; e•Pancreatina 10.000/25.000 UI solução oral.Assim sendo, não cabe à CONITEC fazer a avaliação econômica dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, uma vez que não existe tecnologia incorporada que trata a doença Fibrose Cística.Nesses termos dispõe o inciso II, do § 2, do art. 19-Q da Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011: “Art. 19-Q. A incorporação, a exclusão ou a alteração pelo SUS de novos medicamentos, produtos e procedimentos, bem como a constituição ou a alteração de protocolo clínico ou de diretriz terapêutica, são atribuições do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS.§ 1º A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, cuja composição e regimento são definidos em regulamento, contará com a participação de 1 (um) representante indicado pelo Conselho Nacional de Saúde e de 1 (um) representante, especialista na área, indicado pelo Conselho Federal de Medicina.§ 2º O relatório da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS levará em consideração, necessariamente:I - as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou procedimento objeto do processo, acatadas pelo órgão competente para o registro ou a autorização de uso;II - a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, inclusive no que se refere aos atendimentos domiciliar, ambulatorial ou hospitalar, quando cabível.”Então vejamos:inciso I, do § 2, do art. 19-Q da Lei n 12.401:•Em relação a evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade, é possível reconhecer pelos estudos apresentados por ocasião da reunião plenária, que esses quesitos tiveram como status “alto” (principalmente para pacientes de 12 anos ou mais), sem qualquer contestação por parte dos membros da comissão.inciso II, do § 2, do art. 19-Q da Lei n 12.401:•O medicamento Kalydeco® é a única terapia registrada na ANVISA que trata a doença, corrigindo a Proteína CFTR na Classe III da Fibrose Cística. •Não cabe a CONITEC fazer a avaliação econômica dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, uma vez que não existe tecnologia incorporada que trata a doença Fibrose Cística

4ª - Não

5ª - Sim, Conforme documento em anexo

[Clique aqui](#)

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
13/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Os resultados de melhora a curto prazo sobre as variáveis de função pulmonar e demonstra uma estabilização da doença ao longo do tempo diminuindo a taxa de queda da função pulmonar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, A redução nas taxas de exacerbação é um fator econômico importante pois diminui os gastos com a internação e o uso de antibióticos</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. no Brasil não tem tratamento</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. No Brasil não tem tratamento curativo para fibrose</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. No Brasil não tem tratamento curativo para Fibrose</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 - Sim, uma reforma orçamentária pode dar conta da redistribuição dos gastos. Por exemplo, rever o gasto de 63 milhões anualmente, com auxílio paletó.</p> <p>5ª - Não</p>	
13/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. Lamentável!</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. Os remédios atuais tratam apenas os sintomas, os pacientes permanecem ruins mesmo com o tratamento. Existem muitos que estão em 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	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>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
14/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Minha esposa tem fibrose cística é compatível com esse medicamento ele representa uma esperança de vida melhor ã só para ela mas para muitos pacientes vivemos uma luta diária contra essa doença peço por favor que reconsidere a decisão inicial de vcs e que incorporem o ivacaftor no sus só lutamos pelo direito de respirar por favor nos ajude</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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim,</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>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
15/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Os pacientes precisam dessa medicação 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
15/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
15/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
15/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
15/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Em que refere a saúde pública o governo deveria no mínimo investir.</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 - Não Concordo e Não Discordo. É o remédio novo, embora as pesquisas tenham indicado eficácia e segurança aceitáveis, mesmo que indicado e utilizado corretamente, podem ocorrer eventos adversos imprevisíveis ou desconhecidos.</p> <p>2ª - Sim, Eu sou profissional de Educação Física é atendo uma garota de 17 anos de idade que tem a fibrose cística é o uso do medicamento junto aos exercícios obtive resultados bastante consideráveis. Que poderia possibilitar avanços em tratamentos em conjunto aos remédios. As avaliações obtidas nós meses de Agosto e setembro poderiam embasar uma pesquisa no tocante mais substancial da importância multidisciplinar nós tratamentos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Eu sou profissional de Educação Física é atendo uma garota de 17 anos de idade que tem a fibrose cística é o uso do medicamento junto aos exercícios obtive resultados bastante consideráveis. Que poderia possibilitar avanços em tratamentos em conjunto aos remédios. As avaliações obtidas nós meses de Agosto e setembro poderiam embasar uma pesquisa no tocante mais substancial da importância multidisciplinar nós tratamentos.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
15/08/2020	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
16/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Todos tem direito à vida.</p> <p>2ª - Sim, Os estudos clínicos referente ao Ivacfator, nome comercial Kalydeco, evidenciam melhora da função pulmonar através da variável VEF1, melhora da distância percorrida no TC6m e diminuição da frequência das exacerbações. Cito dois papers publicados em dois períodos muito respeitados na comunidade científica, um da N Engl J Med 2011 e o outro na Pediatr Pulmonol 2019. Esse último não consegui acessá-lo na integra, portanto apenas o primeiro 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>
16/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O uso dos reguladores das 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	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>	
16/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Porquw tem muitas crianca dependendo desse remedio. Tenho. Parente que depende dele tem que vim 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
16/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Se é um tratamento que permite estabilização do paciente, não vejo o porquê de nao utiliza-lo. Isso pode ser um marco na qualidade de vida das pessoas que sofrem com a fibrose cistica. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Considero que o benefício justifica a incorporação do ivacator para o tratamento nesses pacientes. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

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 (Ultima 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. Pois tem muitos pacientes na espera de uma vida e saúde melhor. E com esses medicamentos melhora a qualidade de vida.</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 - Concordo. Devido ao custo do medicamento</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. Tenho uma filha que sofre muito com a doença fibrose cística, faz uso de muito a antibiótico e não vejo melhora nenhuma.Essa medicação Nova é uma esperança pra nós mãe e ele paciente pra ter um quadro de vida melhor a medicação para tratar a doença não sintoma.</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. Tenho uma filha que sofre muito com a doença fibrose cística, faz uso de muito a antibiótico e não vejo melhora nenhuma.Essa medicação Nova é uma esperança pra nós mãe e ele paciente pra ter um quadro de vida melhor a medicação para tratar a doença não sintoma.</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 uso deste remédio aumenta a qualidade de vida de pacientes que apresentam algumas mutações de gating (classe III), dando a eles mais sobrevida. Portanto, o medicamento deve ser incorporado no SUS para ajudar a todos nesta condição.</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. Os remédios disponíveis atualmente ele trata os sintomas e não a doença em si. No que faz a necessidade de outro medicamento que venha a parar de progredir a doença. Sendo uma esperança na melhora do paciente. Esse remédio é de alto custo e faz com que muitas famílias não batem condições para pegar o remédio</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. Tenho uma sobrinha com fibrose cística é já esteve inúmeras vezes, por complicações de bactérias, ela corre riscos grandes pois necessita a cada vez internada fazer a colocação do cateter central, pois com os antibióticos endovenosos suas pequenas veias não aguentam e estouram.</p> <p>2ª - Sim,</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. O remédio disponibilizado atualmente não auxilia na cura da doença e sim nos sintomas. Com isso esse medicamento, vem a ser uma esperança de melhora e cura da doença. Atualmente o remédio é caro e muitas famílias não têm condições em adquirir o remédio, por isso a necessidade do auxílio.</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	1ª - Discordo. Medicamento muito caro difícil de acesso à população 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/08/2020	Interessado no tema	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
17/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Discordo, pois o medicamento é muito necessário para Aumentar a sobrevida, de crianças que sofrem de fibrose cística. 2ª - Não 3ª - Sim, 4ª - Não 5ª - Não	
18/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
18/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo. Se há um tratamento por quê não o tornar possível para todas as categorias ? É obrigação do Estado disponibilizar saúde, tratamento e diminuir propagação de doenças 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 - Sim, Existem pacientes sendo realmente beneficiados pelo uso da medicação, ganhando peso e qualidade de vida.</p>	
18/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. A Fibrose cística é uma doença grave, cabe ao governo fornecer tido medicamento que possa melhorar a qualidade de vida e aumentar a sobrevida dos pacientes, pois é um dever do estado atender a saúde de seus cidadãos. Ainda mais pelo fato de existirem experiências positivas com esse medicamento no exterior.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Nenhuma questão orçamentária sobrepõe o custo de uma vida.</p> <p>5ª - Sim, O Fico da Conitec deve ser no resultado clínico dos medicamentos quanto a melhoria da qualidade de vida e aumento da sobrevida do paciente.</p>	
18/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Acho que todos tem direito a vida, muitas pessoas poderiam ter melhorias se pudessem obter esse medicamento.</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. Sou mãe de uma filha com fibrose cística que sofreu muito com a doença toma muito antibiótico forte e a gente não vê melhora nenhuma, com essa medicação nova tenho esperança que o quadro dela melhore muito. Eu não aguento mais ver minha filha sofrer tanto.</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
18/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 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	
18/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Eu sou a favor da incorporação para portadores da fibrose cística se 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
18/08/2020	Profissional de saúde	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 - Sim, Sabemos que fibrose cística é uma doença fatal, independente do genótipo. Porém cada paciente tem sua evolução a depender de vários fatores, entre eles o genótipo. 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. Estes medicamentos foram os primeiros a serem licenciados que mostram ação direta sobre o funcionamento do canal CFTR. Os resultados iniciais foram animadores: o ivacaftor, o primeiro a ser lançado, mostrou melhora significativa da função pulmonar (isto que estabilização com diminuição da perda de função pulmonar já é um bom resultado), melhora nutricional e, incrivelmente, mostrou redução dos níveis de cloro no suor chegando a valores normais. Nenhum medicamento tinha conseguido isto. Este achado foi inédito. Estudos posteriores aos ensaios clínicos iniciais e que utilizaram dados “de vida real” confirmaram que os benefícios do ivacaftor são mantidos pelo período analisado de 3 anos, indicando que o medicamento tem um efeito modificador da evolução da doença (Sawicki et al, Am J Resp Crit Care, 2015). Em 2015, o ivacaftor foi aprovado nos Estados Unidos para uso em crianças a partir de 2 anos e para outras mutações. Em 2017 seu uso foi ampliado para outras mutações e em 2019 foi aprovado para uso em bebês a partir de 6 meses. Porém, o custo elevado do ivacaftor tem limitado sua incorporação ao tratamento da fibrose cística, embora esteja disponível em vários países. Estudo de previsão de resultado e custos analisando o uso do ivacaftor em pacientes com a mutação G551D prevê uma média de 18 anos de vida adicional a estes pacientes e uma diminuição aproximada de 18% na probabilidade de transplante pulmonar. O incremento no custo de vida destes pacientes seria de \$ 3 374 584, mas com um impacto no orçamento de \$ 0.087 por membro por mês (Dilokthornsakul at al, Eur Respir J, 2016). No documento da CONITEC a principal recomendação para não incorporação do ivacaftor baseou-se principalmente na avaliação econômica. Entretanto, o modelo desenvolvido para comparação entre o tratamento de suporte com o tratamento de suporte adicionado + ivacaftor está duplamente equivocado: por um lado tem-se o custo do tratamento de suporte da fibrose cística subestimado e do outro o custo do tratamento com o ivacaftor superestimado. Obviamente, a diferença entre os dois tipos de tratamento tornou-se maior o que veio a inviabilizar do ponto de vista econômico a recomendação de não incorporação do ivacaftor.No que se refere ao tratamento de suporte foi considerado uso de antibióticos orais, solução salina inalada, alfadornase, suplementos nutricionais, enzimas pancreáticas, agentes antifúngicos, corticosteroide e fisioterapia. Não foram considerados os custos com internações hospitalares devido as exacerbações que não respondem ao tratamento oral, onde utilizam-se antibióticos endovenosos de alto custo, por um período prolongado que pode variar de 14 a 21 dias. Segundo Suthoff et al (Suthoff et al, J Med Econ, 2016) ocorre redução de 2/3 nas internações no primeiro ano de tratamento com ivacaftor. Também não foram considerados custos com oxigenioterapia hospitalar ou domiciliar. Não foram considerados os custos com antibioticoterapia inalatória, mesmo estando a tobramicina inalatória incluída nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do SUS que abordam as manifestações pulmonares da fibrose cística. Todos estes itens regularmente fazem</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>parte do tratamento da maioria dos pacientes com FC. Além disto, o modelo preditivo de projeção de sobrevida considerou infecções por <i>Staphylococcus aureus</i> (sem especificação do padrão de resistência) e <i>Burkholderia cepacia</i> (sem especificação do genótipo), ao invés da <i>Pseudomonas aeruginosa</i>. A infecção por <i>Pseudomonas aeruginosa</i> é sabidamente um fator de risco associado a maior perda de função pulmonar, enquanto para as demais bactérias os dados são variados a depender da sensibilidade aos antibióticos e subtipo de bactéria. Outro fator não considerado foi a redução de uso, e consequentemente de custo total por paciente, dos medicamentos do tratamento padrão nos pacientes em uso do ivacaftor. Grosse et al (Grosse et al, <i>Pediatric Pulmonology</i>. 2018; 1-8) publicaram dados sobre os custos do tratamento de pacientes com FC cobertos por planos de saúde privado no período de 2010 a 2016 nos Estados Unidos. Embora o custo total tenha aumentado, foi demonstrado (figura 2 abaixo, extraída do artigo de Grosse et al) que os gastos com as outras medicações para o tratamento padrão reduziram proporcionalmente. Observar que neste gráfico o ivacaftor (barra cinza), embora prescrito para número menor de pacientes, está relacionado a uma diminuição de gastos com enzimas pancreáticas, medicações para as manifestações pulmonares e outros. Com relação a superestimação da demanda estimada para o ivacaftor, o que também acarreta custo e impacto orçamentário excessivo, o próprio documento da CONITEC reconhece o fato. Estes dados são corroborados pelo último REBRAFC de 2017.</p>	
		<p>4ª - Sim, No documento da CONITEC a principal recomendação para não incorporação do ivacaftor baseou-se principalmente na avaliação econômica. Entretanto, o modelo desenvolvido para comparação entre o tratamento de suporte com o tratamento de suporte adicionado + ivacaftor está duplamente equivocado: por um lado tem-se o custo do tratamento de suporte da fibrose cística subestimado e do outro o custo do tratamento com o ivacaftor superestimado. Obviamente, a diferença entre os dois tipos de tratamento tornou-se maior o que veio a inviabilizar do ponto de vista econômico a recomendação de não incorporação do ivacaftor. No que se refere ao tratamento de suporte foi considerado uso de antibióticos orais, solução salina inalada, alfadornase, suplementos nutricionais, enzimas pancreáticas, agentes antifúngicos, corticosteroide e fisioterapia. Não foram considerados os custos com internações hospitalares devido as exacerbações que não respondem ao tratamento oral, onde utilizam-se antibióticos endovenosos de alto custo, por um período prolongado que pode variar de 14 a 21 dias. Segundo Suthoff et al (Suthoff et al, <i>J Med Econ</i>, 2016) ocorre redução de 2/3 nas internações no primeiro ano de tratamento com ivacaftor. Também não foram considerados custos com oxigenioterapia hospitalar ou domiciliar. Não foram considerados os custos com antibioticoterapia inalatória, mesmo estando a tobramicina inalatória incluída nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do SUS que abordam as manifestações pulmonares da fibrose cística. Todos estes itens regularmente fazem parte do tratamento da maioria dos pacientes com FC. Além disto, o modelo preditivo de projeção de sobrevida considerou infecções por <i>Staphylococcus aureus</i> (sem especificação do padrão de resistência) e <i>Burkholderia cepacia</i> (sem especificação do genótipo), ao invés da <i>Pseudomonas aeruginosa</i>. A infecção por <i>Pseudomonas aeruginosa</i> é sabidamente um fator de risco associado a maior perda de função pulmonar, enquanto para as demais bactérias os dados são variados a depender da sensibilidade aos antibióticos e subtipo de bactéria. Outro fator não considerado foi a redução de uso, e consequentemente de custo total por paciente, dos medicamentos do tratamento padrão nos</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>pacientes em uso do ivacaftor. Grosse et al (Grosse et al, Pediatric Pulmonology. 2018; 1-8) publicaram dados sobre os custos do tratamento de pacientes com FC cobertos por planos de saúde privado no período de 2010 a 2016 nos Estados Unidos. Embora o custo total tenha aumentado, foi demonstrado (figura 2 abaixo, extraída do artigo de Grosse et al) que os gastos com as outras medicações para o tratamento padrão reduziram proporcionalmente. Observar que neste gráfico o ivacaftor (barra cinza), embora prescrito para número menor de pacientes, está relacionado a uma diminuição de gastos com enzimas pancreáticas, medicações para as manifestações pulmonares e outros.</p> <p>5ª - Não</p>	
19/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Doença é rara mas no Brasil é a doença rara mais comum e com muito número de casos..O tratamento aumenta a expectativa de vida grandemente podendo evitar transplante pulmonar..E porque toda vida importa</p> <p>2ª - Sim, Sou Farmacêutica e vejo que as pesquisas mostram grandes resultados sendo uma melhoria muito considerável para pacientes com essas mutações</p> <p>3ª - Sim, Saúde é direito de todos e dever do Estado mais nada a declarar apenas a lei</p> <p>4ª - Sim, Eu acredito em uma diminuição em internações que são frequentes na fibrose cística e a maioria pelo SUS e também outras medicações que hoje são fornecidas pelo SUS serão diminuídas pelos efeitos e resposta satisfatória desta nova medicação</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</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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
19/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
19/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
19/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Essas medicações trazem melhorias contínuas para o não avanço da doença e também melhora na qualidade de vida do portador da doença. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
19/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
19/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
19/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Toda vida é muito importante e se tem um remédio que de uma melhor qualidade de vida pra pessoa ela tem o direito de receber essa medicação pelo SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
19/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Paciente no início da vida sendo medicamento usado em outros países com sucesso e benefício 2ª - Sim, Apresentando melhora na experiência clínica em relatos de casos 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
20/08/2020	Profissional de saúde	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). 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

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	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	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. Se existe o medicamento que faz melhorar o estado de saúde do paciente com fibrose cística, por que negar esse direito de tomá-lo? Todo ser humano tem direito à vida. Em primeiro lugar em qualquer situação, a saúde vem em primeiro lugar. Cabe aos governantes assegurar esse direito. Muitos são os valores gastos em outros fins que podem ser protelados em prol desse objetivo. Por favor, atenda o uso desse medicamento kalydeco. A pessoa que está com essa fibrose sofre muito. Se esse medicamento trás benefícios para amenizar o sofrimento, ela tem direito de tomá-los. Não interessa o valor (R\$). Se coloque no lugar dessa pessoa e reflita.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Se o impacto for alto, deve-se desviar de outras esferas em que abusam de recursos públicos para terem benefícios exorbitantes, que é muito comum neste país.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
20/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A medicação ivacaftor endereça o tratamento da causa básica da fibrose cística em pacientes com mutações tipo gating. O acesso à medicação pode permitir o incremento da sobrevida média em 17,32 anos, ou seja 32,19% de aumento na idade dos pacientes, conforme consta no documento da CONITEC.</p> <p>2ª - Sim, Considerações referentes aos itens “6. EVIDÊNCIAS CLÍNICAS”, “7. EVIDÊNCIAS ECONÔMICAS”, “8. RECOMENDAÇÕES DE OUTRAS AGÊNCIAS DE ATS”, “9. MONITORAMENTO DO HORIZONTE TECNOLÓGICO”, “10. IMPLEMENTAÇÃO”: a) Tabela 4 do item 6. EVIDÊNCIAS CLÍNICAS, nomeada como “Perfil de evidências sobre a eficácia do tratamento de pacientes com fibrose cística acima de 12 anos com ivacaftor, comparado a placebo, a partir da metodologia grade. Elaboração própria, a partir de Ramsey (2011)”, concluiu que os desfechos considerados críticos de “Qualidade de Vida” e “Volume Expiratório Forçado no 1º segundo” (VEF1), bem como os desfechos considerados importantes, tais como “Exacerbação Pulmonar”, “Peso Corporal” e “Concentração de Cloretos no Suor”, tiveram a qualidade da evidência considerada como “Alta”. b) Tabela 5 do mesmo item, nomeada como “Perfil de evidências sobre eficácia do tratamento de pacientes com fibrose cística entre 6 e 11 anos com ivacaftor, comparado a placebo, a partir da metodologia GRADE. Elaboração própria, a partir de Davies (2013)” concluiu que os mesmos desfechos “críticos” e “importantes” tiveram a qualidade de evidência considerada como “Moderada” e “Baixa. Surpreendentemente, os resultados dos trabalhos realizados nas faixas etárias acima de 12 anos e entre 6 e 11 anos, são muito semelhantes. Como exemplo, verifica-se que a melhora no VEF1 (desfecho paramétrico) foi de 10,5 e 10 pontos, respectivamente nos grupos acima de 12 anos e entre 6 e 11 anos. A diferença de 0,5 ponto percentual no VEF1 não permite concluir que a qualidade da evidência encontrada no primeiro grupo deva ser considerada “Alta” e a do segundo grupo “Moderada”. Assim sendo, a avaliação da qualidade da evidência deve ser considerada como igual, ensejando a reavaliação de todo o parecer. c) Nas considerações finais do documento, constam as seguintes afirmações: “Para pacientes com idade superior a 12 anos, o nível de evidência dos desfechos de eficácia é de alta qualidade, com grau de recomendação forte a favor da incorporação do medicamento, apresentando benefícios em desfechos de qualidade de vida, capacidade respiratória, diminuição de exacerbações pulmonares, ganho de peso e redução de cloreto no suor. Para pacientes com idade entre 6 e 11 anos, o nível de evidência de eficácia é de qualidade baixa a moderada, com grau de recomendação fraco a favor da incorporação, apresentando benefícios em desfechos de capacidade respiratória, ganho de peso e redução de cloreto no suor”. Como as evidências dos trabalhos realizados nos grupos de faixa etária acima de 12 anos e entre 6 e 11 anos são muito semelhantes, a recomendação deveria ser a mesma para ambos. d) Liberação de comercialização da medicação ivacaftor pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), European Medicines Agency (EMA) e U.S. Food and Drug Administration (FDA) para o tratamento de pacientes com fibrose cística as outras mutações tipo gating G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N e S549R ocorreu em razão de evidências laboratoriais de alta qualidade e estudos clínicos, guardando grande semelhança de resultados se comparadas à mutação padrão G551D.</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
20/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Pois, essa medicação trata não apenas os sintomas da Fibrose, mais também a doença como toda. Isso, por sua vez trás mais chances de vida e saúde para esses pacientes, sobretudo, aqueles que sofrem com reações tão catastrófica da doença. Em outros países com Canadá, EUA e uma parte da Europa já faz uso desses medicamentos, e por sua vez, eles vem apresentado bons resultados, os pacientes com um quadro médico bastante afetados, tem mais qualidade de vida, e sentem menas reação da doença.</p> <p>2ª - Sim, Os medicamentos tratam a doença por completo e não apenas os sintomas, o que trás um maior benefício para esses pacientes. A pesar do alto custo, vale apena inseri-los no planejamento de medicamentos essências para atender as necessidade da população que sofre com a mesma, pois só sabe o sofrimento desses paciente no seu dia a dia aquele que acompanha a rotina de vida deles. Imagina você vê uma criança com um pulmão comprometido com é o da minha sobrinha e não poder fazer nada. Esses medicamentos já trouxe benefícios para pacientes de outros países, e vai ajudar inúmeros pacientes do Brasil também, tenho certeza.</p> <p>3ª - Sim, Sabe-se que o valor das duas medicações é de alto custo para o país, porem quando se trata de salvar vidas, não pelo que exitar. Ademais a CF/88 assegura a todos o direito a SAÚDE, ou seja, classifica com um direito que todo cidadão que cumpre com seus deveres civis, tem seu direito tutelado pelo Estado Democrático de Direito. Logo, os imposto, taxas e demais contribuições econômicas, são arrecadadas para cumprir com a receita do país, que está diretamente relacionada com as necessidades do povo brasileiro. Constituição Federal de 1988Art. 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>4ª - Sim, CF/88Art. 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, Alguns países já fazem o uso da medicação e tem mostrado resultados positivos e mais qualidade de vida para os pacientes portadores da Fibrose Cística.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
20/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Estão privando estas pessoas de ter uma vida melhor, injusto</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. Discordo, uma vez que é uma doença grave e progressiva, com baixa expectativa de vida. Essa medicação ajudaria a estacionar a doença, aumentando a qualidade e expectativa de vida dos portadores.</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. Vidas dependem desse medicamento. Ele é incompatível com qualquer outro que temos a disposição para nossos filhos no momento presente</p> <p>2ª - Sim, Com o uso deste modular dos genes a função pulmonar melhora consideravelmente, fazendo com que os pacientes tenham menos intercorrências principalmente por conta das pneumonias de repetição, não precisarão de transplante pulmonar, além do que conseguem ganhar peso e crescer, saindo da faixa de desnutrição que muitos vivem!</p> <p>3ª - Sim, O estado deixará de gastar com internações, antibióticos e outros medicamentos de alto custo, pois os modulares suprem as deficiências causadas pelas mutações genéticas</p> <p>4ª - Sim, Certamente será um benefício para os cidadãos e para o estado que estará economizando com consultas, internações e uma série de outros medicamentos e alto custo</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. Minha sobrinha precisa de uma qualidade de vida melhor, ela no momento está no hospital.</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	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Sim, Existem pacientes sendo realmente beneficiados pelo uso da medicação, ganhando peso e qualidade de vida.	
20/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo. Todos têm o direito à vida e preservação de sua saúde, inclusive pacientes com doenças raras. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
20/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não Concordo e Não Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Pacientes necessitam da medicação para tratamento mais eficaz, dando a eles condição de vida tranquila, sendo assim discordo desta preliminar da Conitec 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	<p>1ª - Discordo. Vidas dependem desse medicamento. Ele é incompatível com qualquer outro que temos a disposição para nossos filhos no momento presente</p> <p>2ª - Sim, Com o uso deste modular dos genes a função pulmonar melhora consideravelmente, fazendo com que os pacientes tenham menos intercorrências principalmente por conta das pneumonias de repetição, não precisarão de transplante pulmonar, além do que conseguem ganhar peso e crescer, saindo da faixa de desnutrição que muitos vivem!</p> <p>3ª - Sim, O estado deixará de gastar com internações, antibióticos e outros medicamentos de alto custo, pois os modulares suprem as deficiências causadas pelas mutações genéticas</p> <p>4ª - Sim, Certamente será um benefício para os cidadãos e para o estado que estará economizando com consultas, internações e uma série de outros medicamentos e alto custo</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>	
21/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Vidas dependem desse medicamento. Ele é incompatível com qualquer outro que temos a disposição para nossos filhos no momento presente</p> <p>2ª - Sim, Com o uso deste modular dos genes a função pulmonar melhora consideravelmente, fazendo com que os pacientes tenham menos intercorrências principalmente por conta das pneumonias de repetição, não precisarão de transplante pulmonar, além do que conseguem ganhar peso e crescer, saindo da faixa de desnutrição que muitos vivem!</p> <p>3ª - Sim, O estado deixará de gastar com internações, antibióticos e outros medicamentos de alto custo, pois os modulares suprem as deficiências causadas pelas mutações genéticas</p> <p>4ª - Sim, Certamente será um benefício para os cidadãos e para o estado que estará economizando com consultas, internações e uma série de outros medicamentos e alto custo</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>	
21/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Todo ser humano tem direito a saúde e a vida, por esse motivo discordo, pois se temos já o medicamento essas pessoas tem o direito a ele.</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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Interessado no tema	1ª - Não Concordo e Não Discordo. Ele mto importante p salvar vidas pq vidas são importante 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
21/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo. Todos tem direito a cuidados médicos e oportuniza ter medicamentos. 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. Todos tem direito a vida. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
22/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Todos devem ter acesso a medicamentos comprovadamente eficazes aos seus problemas de saúde 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
22/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Devido ao fato de o medicamento trazer melhor qualidade de vida aos pacientes de fibrose cística, não importando sua idade, todos tem o direito de se beneficiar dos efeitos comprovados deste medicamento para tratamento da doença. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
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 uma das doenças 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 sub grupo desses pacientes, não vamos torná-la acessível? Repito, como pediatra não faz sentido triar, ter um medicamento para um grupo de pacientes, independentemente do seu tamanho, identificados pela triagem e não dar acesso a um medicamento eficaz, como descrito no relatório da Conitec, em Evidências Científicas.</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</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>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
22/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Doenças raras, porém atingindo jovens, hoje com viabilidade para exercerem vidas produtivas se forem tratados, com os recursos terapeuticos</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim, Seguramente o uso dessa medicação em regime regular, propiciará uma redução de gastos com outros antimicrobianos e em especial com internações hospitalares para controle de exacerbações e de infecções secundárias.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Esse medicamento está aprovado pelo FDA , mesmo com os estudos citados pela CONITEC como sendo de moderada qualidade de evidencia científica, com base em estudos clínicos considerados suficientes. Como pneumologista e tratando pacientes com fibrose cística há muitos anos, não tenho dúvida da validade dessa reconsideração e aprovação. Vale dizer os pacientes próximos que tratei e trato, e que se</p>	
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 Ivacaftor já aprovado 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 media a levar ao óbito aos 20 anos no Brasil e 40 nos EEUU. As medicações habituais, que são fornecidas pelo SUS tratam apenas as consequência 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> <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	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. todo brasileiro tem direito a educação e saúde. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
23/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Temos relatos (videos) de pacientes em outros Países, que estão usando o medicamento, e teve uma melhora significativa no tratamento, chegando alguns a sair da fila de espera de transplante de pulmão. Uma esperança para todos os pacientes e familiares aqui no Brasil também , ter o medicamento disponível para o uso. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
23/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo. No momento, não há medicações eficazes, no Brasil, para a fibrose cística. A saúde é um direito assegurado pela Constituição Federal, de forma universal, como dever do Estado. Desta forma, o medicamento deve ser disponibilizado pelo SUS. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
23/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. A saúde é um direito assegurado pela Constituição Federal, dever do Estado, de forma universal à toda população. Este medicamento é seguro e eficiente, utilizado em diversos países para tratamento da fibrose cística. Então é dever do estado disponibilizar esta medicação via SUS.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
23/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. De acordo com as evidencias, esse modulador da CFTR, levou a um aumento considerável da função pulmonar, o que pode retirar pacientes da fila de transplante, além disso a melhora do ganho de peso e das exacerbações provoca estabilização e parada de progressão da doença, o que acarreta diretamente em melhora da qualidade de vida, sobrevida e diminui gastos públicos com internações, procedimentos e outros medicamentos de alto custp.</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 - Não Concordo e Não Discordo. Na Constituição Brasileira há o inciso Todo brasileiro tem direito a saúde. A condição de "não favorável " fere esse parágrafo.</p> <p>2ª - Sim, Através de redes sociais lutar pelo direito do remédio no Susana.</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. 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>	
24/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. Você que criou esse formulário quer viver? A mesma coisa coisa querem os portadores da doença, se existe uma forma de melhorar a qualidade de vida dessas pessoas porque está sendo negado?</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, Põe na minha conta</p> <p>4ª - Sim, Coloca na minha conta, se eu pago as mordomias do funcionalismo público eu pago com prazer o remédio para melhorar a vida.</p> <p>5ª - Não</p>	
24/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Observando os casos de crianças e/ou adolescentes acometidos pela doença, as dificuldades de sobrevivência diária, a perda da autonomia, dificuldades motoras, o distanciamento da sociedade, dentre tantas outras dificuldades, sem o tratamento adequado, devido a estas questões, vejo a necessidade deste tratamento medicamentoso.</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 medicamento kalydeco é a única possibilidade da pessoa ter uma vida normal, pois ele vai agir direto na doença onde a pessoa fazendo a utilização do mesmo vai ter uma melhora e uma qualidade de vida muito melhor, isso quer dizer normal. Pois a vida não tem preço.</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</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. Como médico psiquiatra e psicoterapeuta já atendi no passado familiares de pessoas portadoras desta doença. A situação de complicações e risco de morrer dos pacientes levam seus familiares a quadros de ansiedade e depressão intensas que não respondem facilmente a medicamentos ou psicoterapia pois a realidade da doença com seus riscos é muito forte. Novos medicamentos com bons resultados no exterior podem mudar esta situação.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, A questão não é apenas econômica: a questão é que não podemos discriminar portadores de doenças menos frequentes, isto acaba sendo um verdadeiro genocídio de um grupo de pacientes que podem se beneficiar enormemente destes mais recentes progressos científicos.</p> <p>4ª - Sim, Volto a dizer: a questão não é apenas econômica: a questão é que não podemos discriminar portadores de doenças menos frequentes, isto acaba sendo um verdadeiro genocídio de um grupo de pacientes que podem se beneficiar enormemente destas novas substâncias.</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Ainda que reconheça os custos elevados do tratamento da FC para o sistema de saúde no Brasil, ressalto que, no presente, as medicações utilizadas visam apenas o melhor controle dos sintomas. O Ivacaftor é uma droga mais recentemente aprovada por diversas agências regulatórias internacionais, incluindo a ANVISA, que objetiva corrigir o defeito na proteína CFTR, responsável pelas alterações fisiopatológicas da doença.</p> <p>2ª - Sim, Coordeno um centro de assistência destinado a crianças e adolescentes com fibrose cística (FC) e conheço muito bem o sofrimento que esta doença causa à criança e seus familiares. Os estudos realizados em pacientes com FC, com pelo menos 38 variantes genéticas, os tornam elegíveis para utilização do Ivacaftor, baseando-se nas evidências de melhora da função pulmonar, na qualidade de vida, no estado nutricional e na redução dos níveis do cloro do suor nos pacientes em uso desta droga, comparado ao grupo placebo. Ainda, existem evidências de que a redução do óxido nítrico nas vias aéreas de pacientes com FC contribui para piora da função pulmonar, infecção respiratória por Pseudomonas aeruginosa, maior comprometimento vascular pulmonar e maior alteração no transporte transepitelial de íons. O estudo de Grasmann et al., demonstrou elevação dos níveis do óxido nítrico exalado em pacientes em uso de Ivacaftor por quatro semanas, comparado ao uso de Dornase alfa ou salina hipertônica, sugerindo um benefício do uso desta droga comparado às medicações disponíveis para tratamento da FC em pacientes brasileiros. Gostaria de salientar, também, que acompanhamos um paciente com FC, portador da mutação G1069R que está em uso do Ivacaftor há cerca de 18 meses, observando-se significativa melhora em parâmetros como estado nutricional, número de exacerbações respiratórias e episódios de pancreatite.</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. Penso este ser um caminho para nosso país, evitando-se judicialização por parte das famílias, o que beneficia um número reduzido de pacientes e mantém custos muito elevados para o tratamento.</p>	<p>Clique aqui</p>
24/08/2020	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>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
24/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Não Concordo e Não Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
24/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Não Concordo e Não Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
24/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Não Concordo e Não Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
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
25/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. É de suma importância que o órgão favoreça o uso do medicamento. Além de aumentar a qualidade de vida dos portadores da fibrose, aumentará significativamente sua expectativa de vida, pois para nós familiares será uma esperança a mais, não é fácil perder um ente querido e muitas vezes em um tempo tão curto, viver a cada dia vendo a pessoa tendo uma vida limitada e incerta. Será muito importante este avanço e essencial para todos.</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. MEDICAÇÃO SEGUNDO PESQUISAS APRESENTA RESULTADOS POSITIVOS PARA O QUADRO CLINICO DOS PORTADORES DE FIBROSE CÍSTICA COM MELHORA DA QUALIDADE DE VIDA</p> <p>2ª - Sim, Seu uso teve efeitos relevantes na redução dos níveis de cloreto no suor, melhora do VEF1 e ganho ponderal, assim como na redução do número de exacerbações e na melhora da qualidade de vida. Davies JC, Wainwright CE, Canny GJ, Chilvers MA, Howenstine MS, Munck A. Efficacy and safety of ivacaftor in patients aged 6 to 11 years with cystic fibrosis with a G551D mutation. Am J Resp Crit 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'Alonzo R, et al. A CFTR potentiator in patients with cystic fibrosis and the G551D 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	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo. Concordo com a recomendação</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	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Vários estudos no mundo têm demonstrado que essa medicação é efetiva para essa classe de mutações, com melhora desde todos os parâmetros (qualidade de vida, queda dos valores de cloro no suor, melhora da função pulmonar e parâmetros nutricionais) a alguns desses para as mutações de mesma classe, que não sejam G551D.</p> <p>2ª - Sim, As evidências clínicas de trabalhos científicos comprovam os achados descritos acima, conforme descrito com maiores detalhes no texto abaixo anexado.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Precisamos considerar que atualmente a expectativa de vida da população brasileira com FC está muito abaixo dos países desenvolvidos. Isso acarreta um "burden" para toda a sociedade, já que alguns trabalhos nacionais já demonstram esse baixo acesso aos tratamentos especializados e centros de referência podem ser críticos aos pacientes brasileiros.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
25/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Sei da necessidade desse medicamento para saúde de um sobrinho de uma amiga, para que ele possa ter uma qualidade de vida melhor, onde ele vai poder estudar, trabalhar, com uma vida mais saudável.</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. Este medicamento já usado nos países mais desenvolvidos com bastante sucesso para tratar 50% dos portadores desta terrível doença. Porque não podemos usar os gastos absurdos em internações e tratamentos sintomáticos, que pouco resolvem, para medicar corretamente estes pacientes para que tenham a chance de sobreviver. Para que serve o teste que é feito no recém nato se não vamos atuar no tratamento da doença. Não temos todos o mesmo direito de acesso a saúde pública ou apenas as doenças que acometem a maioria da população devem ser consideradas?</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	Interessado no tema	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Concordo. Melhora da capacidade pulmonar favorecendo qualidade de vida. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Conheço amigos que tem Fibrose Cística 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/08/2020	Interessado no tema	1ª - Discordo. Elw precisam de uma qualidade de vida melhor 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/08/2020	Interessado no tema	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/08/2020	Profissional de saúde	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. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
26/08/2020	Profissional de saúde	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 a criança com FC tem o cognitivo preservado. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
26/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. No exterior funciona bem</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. 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 Conitec 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 Conitec 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>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
27/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Estudos mostram melhora do VEF1 predito, do índice de massa corporal, cloro no súr e no escore de gravidade de pacientes com FC após o uso do Ivacaftor. Melhora essa que se manteve por semanas, sem efeitos colaterais significativos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, O Ivacaftor é uma esperança para os pacientes com fibrose cística, já que é o único medicamento disponível no mercado para o tratamento de pacientes com mutações específicas e pode melhorar a qualidade de vida e reduzir custos com internações e outras medicações disponibilizadas pelo SUS.</p>	Clique aqui
27/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Sou favorável a incorporação da medicação do Ivacaftor para pacientes de fibrose cística.</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. Sou favorável a incorporação da medicação do Ivacaftor para pacientes de fibrose cística.</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 - Concordo. A possibilidade de o medicamento proporcionar qualidade de vida para os portadores de fibrose cística é uma coisa fantástica. Esses pacientes tem muita restrição em diversos aspectos na vida. Uma medicação que combate essas restrições é uma coisa esperada há tempos por muitos. Então vamos lutar por isso. Muito difícil ver quem amamos , e tantas pessoas lutando diariamente com os efeitos da Fibrose.</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 - Concordo. A melhora da qualidade de vida, aumento da expectativa de vida de tantos portadores de Fibrose Cística é um sonho esperado por tantos pacientes há muito tempo. A possibilidade do medicamento proporcionar isso é indiscutível . Pelo SUS, é garantia de TODOS terem acesso.</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>	
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	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A MEDICAÇÃO SERÁ UM MARCO PARA MELHORA DA EXPECTATIVA DE VIDA DOS 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 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 Ivafcor aos portadores de Fibrose Cística(FC)</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	Clique aqui
27/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O medicamento melhora a função pulmonar, a qualidade de vida e diminui exacerbações</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</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	Paciente	1ª - Discordo. Medicamentos necessários à pessoas q só podem obtê-lo desta forma devem recebê-los, pois são cidadãos q merecem respeito e saúde. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
27/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
28/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Sim, ver arquivo anexo. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	Clique aqui
28/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Queremos os remédios. São uma esperança de qualidade de vida para os fibrocísticos. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O ivacaftor mostrou um benefício significativo na função pulmonar de pacientes com as mutações de gating. Quem trabalha com fibrose cística, como eu, sabe que a doença causa lesões pulmonares irreversíveis e progressivas que levam a morte do indivíduo, uma medicação que age diretamente na causa da doença impedindo a progressão da doença e melhorando mesmo que em pequena monta a função pulmonar evita a evolução e morte pela doença. Os últimos estudos mostram que pacientes com a doença leve podem não evoluir para um quadro grave da doença e os pacientes já com doença avançada, e acometimento pulmonar grave podem vir a evitar a piora progressiva como também melhoram o estado nutricional, ainda não há dados suficientes sobre mortalidade pois essas são medicações novas, mas pelos dados encontrados com certeza teremos melhora da sobrevida e impedimento da evolução da doença a longo prazo.</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Sim,</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
28/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A FIBROSE cÍSTICA É UMA DOENÇA GENETICA EXTREMAMENTE LIMITANTE E COM SOBREVIDA AINDA MUITO BAIXA NO BRASIL. ATÉ BEM POUCO TEMPO , APENAS TRATAVAMOS AS CONSEQUENCIAS DA ENFERMIDADE , OU SEJA NAO TINHAMOS UM TRATAMENTO DA CAUSA BASE, QUE É O DEFEITO DA PROTEINA CFTR , QUE REGULA O MECANISMO DE TROCA DE IONS NA MEMBRANA CELULAR .COM O ADVENTO DAS MOLECULAS MODIFICADORES DA PROTEINA CFTR, COMO O IVACAFTOR , A QUALIDADE DE VIDA, SOBREVIDA MELHORAM MUITO PARA OS PACIENTE INDICADOS.INCLUSIVE COM DIMINUICAO DAS MEDICACOES E BAIXANDO O CUSTO DO TRATAMENTO , NAO SO FINANCEIRO, MAS A DIMINUICAO DA FALTA AS ESCOLAS E DE TRABALHO DOS PAIS.EESTA APROVADO NOS EUA DESDE 2015 , E MAIS RECENTEMENTE PARA CRIANCAS A PARTIR DE 2 ANOS DE IDADE , E EM DIVERSOS PAIS DO MUNDO , ALEM DA MELHORA SIGNIFICATIVA DOS PARAMETROS ESPIROMETRICOS E DE OUTRAS PROVAS DE FUNÇÃO PULMONAR , ATUA CLINICAMENTE NA DIMINUICAO DO USO DE ENZIMAS DIGESTIVAS E A QUASE NORMALIZACAO DO TESTE DO SUOR .TODOS TRABALHOS CIENTIFICOS PUBLICADOS NA LITERATURA ESPECIALIZADA , NAO SO PARA A MUTACAO G551D, MAS PARA TODAS AS INDICACOES NOMEADAS EM BULA SE MOSTROU ALTAMENTE EFETIVO .</p> <p>2ª - Sim, EM TODOS OS PAISES EM QUE FORARAM APROVADOS O USO DE IVACFTOR , FORAM PARA TODAS AS MUTACOES CONSTANTES NA BULA BRASILEIRO , COM EFEITOS SEMELHANTES, COM EVIDENCIAS CLINICAS EXTREMAMENTE FAVORAVEIS , COM ENORME AUMENTO DA EXPECTATIVA DE VIDA, DIMINUICAO DAS EXACERBACOES E INTERNACOES HOSPITALRES, , AUMENTO SIGNIFICATIVO DO GANHO DE PESO , DIMINUICAO DA DOSAGEM DO CL NO SUOR , E MELHORA DA QUALIDADE DE VIDA E REDUCAO SIGNIFICATIVA DO NUMERO DE OBITOS .</p> <p>3ª - Sim, PARA NOS MEDICOS . A VIDA NAÓ TEM PRECO. MAS LOGICO TEMOS QUE AVALIAR ESTE ITEM COM CUIDADO, QUE FOI UMAS DAS PRINCIPAIS ARGUMENTACOES DA CONITEC SOBRE A NAO APROVACAO DO IVACFTOR.VEJAMOS - TEMOS UM NUMERO LIMITADO DE PACIENTES ELEGIVEIS , DEVIDO AO PEQUENO NUMERO DE PORTADORES DAS MUTACOES QUALIFICATEIS ALEM DA G551D .O CUSTO DO TRATAMENTO DA FIBROSE CISTICA COM TODA A TERAPIS, ANTIBIOTICOS ORAIS, ENDOVENOSOS E POR NEBULIZACAO , ENZIMAS PANCREATICAS, SUPLEMENTOS NUTRICIONAIS , VITAMINAS LIOSOLUVEIS , ALFADORNAS, SOLINA HIPERTONICA, OXIGENOTERAPIA, INTERNACOES HOSPITALARES EM TORNO DE 3 A 4 POR ANO , FALTA A ESCOLAS, FALTA AO TRABALHOO, CUSTO DE EQUIPE MEDICA E DE MULTIDISCIPLINAR E MAIS AS INTERCORRENCIAS INTERDISCIPLINARES MUITO COMUM EM PACIENTE COM ENFERMIDADE GENETICA MULTISSISTEMICA - SABEDORES QUE ESTES MEDICAMENTOS TENDEM A CAIR DE PRECO COM O PASSAR DOS ANOS , ATE A QUEBRA DA PATENTE, .- A NAÓ INCOORPORACAO DESTE CLASSE DE MEDICAMENTO , SE TORNARIA UMA AMEACA A VIDA E A SOBREVIDA DESTES PACIENTES , COM UMA EXPECTATIVA DE PRATICAMENTE QUADUPLICAR O SEU TEMPO PREVISTO DE VIDA , E COM CUSTOS DECRESCENTE TANTO DO IVACAFTOR COMO DAS TERAPIAS ATÉ ENTÃO REALIZADAS,</p> <p>4ª - Sim, O gRUPO BRASILEIRO DE eSTUDOS DE FIBROSE cISTICA , E UMA ENTIDADE QUE CONGREGA VARIOS PROFISSIONAUS DE SAUDE QUE CUIDAM DE PACIENTES COM FIBROSE CISTICA NOS DIVERSOS</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>CENTRO DO PAIS. TEMOS UM REGISTRO EXTREMAMENTE ORGANIZADO E PLANILHADO DE QUAIS PACIENTE SERIAM ELEGIVEIS PARA RECEBER O IVACAFTOR , EM TORNO DE 56 PACIENTES .ACREDITO QUE SERIA UMA GRANDE PERDA DE VIDAS , A NAO INCOORPORACAO DESTE MEDICAMENTO PARA AS INDICACOES EM BULA ,O IMPACTO ORCAMENTARIO SERIA MUITO BAIXO EM RELACAO AOS BENEFICIOS DA DROGA,</p> <p>5ª - Sim, AS INDICACOES E EVIDENCIAS CLINICAS ESTAO AMPLAMENTE DISCUTIDAS NA LITERATURA E PELO DOCUMENTO DO GBEFC.MAS TEREMOS CRITERIOS BEM ESPECIFICOS DE EINDICACAO ;1, ESTAR SENDO ATENDIDO POR UM CENTRO DE FC , AFILIADO AO GBEFC DEVIDAMENTE REGISTRA2. CRITERIOS DE DOENCA RESPIRATORIA3,CRITERIOS DE DOENCA GASTROINTESTINAL 4, NAO TER SIDO SUBMETIDO A TRANSPLANTE 5, TER BOA ADESAO AO TRATAMENTO , NAO SO DA DROGA INSTITUIDA , MAS DO TRATAMENTO GERAL 6. CRITERIOS DE RESPOSTA A DROGA 7 - CRITERIOS BEM ESTABELECIDOS DE RETIRADA DA DROGA</p>	
28/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. TRATA-SE DE UMA MEDICACAO EXTREMAMENTE EFETIVA DO PONTO DE VISTA DE EVIDENCIAS CLINICAS E FATOS DA VIDA REAL</p> <p>2ª - Sim, DIVERSOS TRABALHOS NA LITERATURA ESPECIALIZADA , EVIDENCIOU O SEU BENEFICIO NAS MUTACOES INDICADAS NA BULA BRASILEIRA COMO :1, MELHORA SIGNIFICATIVA DA FUNCAO PULMONAR 2. AUMENTO DA SOBREVIDA EM TORNO DE 18 ANOS 3. MELHORA NO GANHO DE PESO 4. MELHORA NA QUALIDADE DE VIDA 5, NORMALIZACAO DO CL NO SUOR 6. DIMINUICAO DO NUMERO DE INTERNACOES</p> <p>3ª - Sim, A VIDA NAO TEM PRECO PARA NOS MEDICOS .MAS O TRATAMENTO DA FIBROSE CISTICA ;E CARO E MULTIDISCIPLINAR , ENVOLVEM ENZIMAS DIGASTIVAS, SANTIBIOTICOS ORAIS, ENDOVENOSOS, INALATORIOS , ALFADORNASE, SUPLEMENTOS ALIMENTARES, VITAMINAS LIPOSSOLUVEIS, E ATENDIMENTO ESPECIALIZADO COM EQUIPE MULTIDISCIPLINAR .COMA MELHORA CLINICA ESPERADA, POSSIVELMENTE ALEM DOS GANHOS ESPECIFICOS DE SAUDE TAMBEM TERIAMOS UMA POSSIVEL DIMINUICAO DE ALGUNS MEDICAMENTOS , MENOS INTERNACOESM MEENOS FALTA A ESCOLA E TRABALHO</p> <p>4ª - Sim, O IMPACTO ORCAMENTARIA NO INICIO PARECE SER ALTO, MAS COM O PASSAR DO TEMPO O VALOR COBRADO PELA INDUSTRIA FARMACEUTICA TENDE A CAIR , AT;E A QUEDA D A PATENTE . ATUALMENTE TEMOS ELEGIVEIS, PELOS DADOS DO GBEFC , CERCA DE 56 PACIENTES,IMPACTO ORCAMENTARIO MUITO BAIXO EM COMPARACAO AOS BENEFICIOS DA DROGA</p> <p>5ª - Sim, 1, EVIDENCIAS CLINICAS E DE VIDA REAL EXTREMAMENTE FAVORAVEIS 2. VIDA NAO TEM PRECO - 3. IMPACTO ORCAMENTARIO BAIXO , 56 PACIENTES PARA TODAS MUTACOES EM BULA BRASILEIRA 4, RECOMENDACOES - CRITERIOS DE INDICACOES BEM ESTA- CRITERIOS DE RESPOSTA E RETIRADA TAMBEM BEM ESTABELECIDOS CONFORME NORMA DO GBEFC</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
28/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

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 as mutações nas quais o ivacaftor tem ação. O medicamento ivacaftor é um medicamento potencializador da proteína CFTR, que facilita o transporte de cloreto, aumentando a abertura desse canal em pacientes que apresentam as seguintes mutações gênicas: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R.</p> <p>2ª - Sim, A não incorporação foi baseada na escassez de estudos relativos ao uso do medicamento, apesar do relatório em questão se basear em evidências científicas de apenas dois estudos clínicos. No entanto foi comprovado que em ambos os estudos houve melhora significativa nos resultados apresentados, como por exemplo, melhora na função respiratória, ganho de peso, redução de cloreto no suor e de eventos adversos graves quando comparados com o placebo. E esses dados por si só já qualificam a inclusão do medicamento no rol de medicamentos do SUS, pois efetivamente podemos verificar que o ivacaftor está agindo na causa da doença e não apenas nos sintomas da doença. Nas evidências científicas do relatório da CONITEC não foi incluído o importante estudo de Bessenova e colaboradores (2018) que analisou dados de pacientes tratados com ivacftor nos Estados Unidos e no Reino Unido. Eles mostraram menor risco de morte, transplante pulmonar, hospitalização e exacerbação pulmonar em pacientes tratados com ivacaftor em relação ao grupo controle. Além disso, os pacientes tratados com ivacaftor tiveram menor prevalência de complicações relacionadas com a fibrose cística, bem como melhor preservação da função pulmonar.</p> <p>3ª - Sim, Não há de se considerar que o maior problema para a inclusão do 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 à 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 ivacaftor pelo governo federal terá um menor impacto orçamentário.</p> <p>4ª - Sim, No Brasil, devido a nossa grande miscigenação, podemos observar uma grande variação nas mutações apresentadas pelos nossos pacientes. Por causa dessa grande variação genética o melhor exame para a determinação da mutação do paciente é o sequenciamento do gene. Além disso, podemos considerar o diagnóstico da fibrose cística recente. A partir desse fato é que houve interesse da indústria farmacêutica no processo de desenvolvimento de drogas para tratamento da fibrose cística e conseqüentemente a realização de ensaios clínicos. Como resultado surgiram os moduladores do CFTR. Esse interesse determinou a realização da genotipagem dos pacientes brasileiros, que estão sendo realizados pelo demandante em parceria com o Grupo Brasileiro de Estudos de Fibrose Cística (GBEFC). Recentemente começamos a formar</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>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. Desta forma não haverá desperdício de recursos públicos com resultados falso positivos. Lembramos que as mutações são divididas em classes, atualmente foram descritas seis classes. Essas classes estão relacionadas com o nível de atividade do canal de cloro. Nos casos mais severos o canal do íon cloreto nem é formado e transportado para a membrana celular. Já nos casos mais leves os canais apresentam uma função deficiente. A literatura nos mostra onde cada mutação se insere na classificação e quais mutações apresentam a mesma funcionalidade ou a falta dela.</p> <p>5ª - 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 o 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. A Associação Brasileira de Assistência à Mucoviscidose, representando todos os pacientes com fibrose cística no Brasil, solicita a incorporação do 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. Não concordo porque os medicamentos hoje disponíveis pelo SUS são considerados paliativos não tratando a doença. A esperança é que com essa nova medicação que já está sendo usada em outros lugares e tendo resultados positivos, tratando a doença. O valor é muito alto para ser adquirido se não form pelo SUS.</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</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	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>	
28/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Esse medicamento precisa ser disponibilizado para pacientes específicos</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 tem como alvo o defeito celular básico provocado por determinadas mutações. Seu uso corrige a proteína causadora da fibrose cística</p> <p>3ª - Sim, As verbas para a saúde têm sido desviadas há muitos anos. Este medicamento pode salvar a vida de muitas pessoas.</p> <p>4ª - Sim, As verbas para a saúde têm sido desviadas há muitos anos. Este medicamento pode salvar a vida de muitas pessoas.</p> <p>5ª - Não</p>	
28/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Esse medicamento é de suma importância para muitas pessoas, nada mais justo que esteja disponível no 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. 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 à Mucoviscidose (ACAMRJ). Participo, há 16 anos, de um grupo de trabalho referente à 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 Ivacaftor é um motor de vida. Não podemos perder essa esperança! O medicamento já está sendo usado em outros países há oito anos e não podemos, no Brasil, ser excluídos do progresso científico alcançado. Vários artigos comprovam sua eficácia e segurança ao longo desse período de uso. 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 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 - Discordo. Direito a vida supraprincípio do país chamado Brasil.</p> <p>2ª - Sim, Direito a Vida supraprincípio no Brasil.</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Sim, A Vida</p> <p>5ª - Sim, O valor da vida de milhares de seres humanos.</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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Discordo porque acredito que um remédio como esse que tem a capacidade de elevar a qualidade de vida, bem como estender a sobrevida, dos pacientes de fibrose cística, deve estar acessível a todos os brasileiros. Tenho uma prima de 18 anos de idade que tem fibrose cística e, através dela, que não é rica, descobri várias outras pessoas como ela, brasileiros jovens, cheios de vida, que querem viver e ser felizes, trabalhar, estudar, construir carreiras e formar novas famílias. Viver, enfim. E que, para terem acesso ao medicamento em questão, é fundamental que o SUS, um sistema de saúde único e universal, leve essa disponibilidade a todos os seus pacientes. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Medicamento imprescindível para ajudar na sobrevivência dos pacientes de fibrose cística. Tenho meu sobrinho que sofre muito com essa doença. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Seria melhor incluir o remédio para melhor eficácia do tratamento 2ª - Sim, 3ª - Sim, 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Precisamos de um remédio que combata a doença</p> <p>2ª - Sim,</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
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>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. é muito eficaz sim para as tais mutacoes</p> <p>2ª - Sim, melhora da qualidade de vida medicamento essencial para um paciente de fibrose cistica</p> <p>3ª - Sim, nao ha possibilidade nenhuma para aquisicao do medicamento devido ao seu pre.co exorbitante</p> <p>4ª - Sim, nao ha possibilidade alguma para aquisicao do medicamento devido ao seu preço exorbitante</p> <p>5ª - Sim, medicamento imprescindivel para manutencao da vidanenum dos medicamentos ate hoje foi tao efetivo quanto o medicamento em questaotob , azitromicina , colistin , pulmozyme , meropenem , fortaz (todos eles fornecidos pelo SUS)</p>	
29/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. É a grande oportunidade de dar um tratamento mais efetivo o mais cedo possível para quem precisa, proporcionando a famílias que não tem condições de fazer este tratamento uma qualidade de vida melhor para todos os envolvidos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. Como o medicamento melhora a qualidade de vida e aumenta a sobrevida, o governo precisa amparar e pagar o remédio para os pacientes de fibrose.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Não concordo, pois acredito que os tratamentos que usamos são paleativos e os pacientes com fibrose precisam de algo que dê mais segurança no tratamento. Essa doença precisa ser mais assistida pela medicina, pois é muito agressiva. Imploramos por essa 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
29/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo. OS TRATAMENTOS QUE UTILIZO SÓ MANTEM A MINHA DOENÇA COMO ESTA E EVITAM QUE EU MORRA ANTES, MAS OS MEDICAMENTOS AQUI ESTUDADOS PODEM ME GERAR UM TRATAMENTO QUE REDUZA OS IMPACTOS DA DOENÇA NA MINHA VIDA E ASSEGUREM QUE EU TENHA UMA VIDA MAIS NORMAL.</p> <p>2ª - Sim, É MUITO TRISTE TRABALHAR E TER QUE PARAR SISTEMATICAMENTE PARA FAZER MINHAS 6 NEBULIZAÇÕES DIÁRIAS. NÃO TER UMA VIDA NORMAL. A EXPECTATIVA DE REDUÇÃO DAS CONDIÇÕES DA DOENÇA ATRAVÉS DE UM TRATAMENTO QUE NÃO RESOLVE A DOENÇA, APENAS MANTÉM OS SINTOMAS. USO COLOMYCIN, USO PULMOZIME, USO NEBUNIZAÇÕES, ANTIBIÓTICOS, TENHO MEDO DE NÃO RECEBER MEUS MEDICAMENTOS. SEI QUE O NOVO MEDICAMENTO PODE TRATAR MEUS PULMÕES DE TAL FORMA QUE ELES FUNCIONEM NORMALMENTE, OU SEJA, PODEREI TRAVAR A PROGRESSÃO DA DOENÇA E VIVER UMA VIDA NORMAL.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. As pessoas acometidas por essa doença têm grande necessidade do remédio para não sofrerem tanto,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. A medicação é fundamental para a qualidade de vida dos pacientes 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
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 ivacaftor para pacientes acima de 6 anos que apresentem uma das seguintes mutações de gating (classe III), G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R uma vez que o alto custo não deve ser argumento plausível para a garantia do acesso à saúde.</p>	
29/08/2020	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
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Sou mãe de uma criança portadora de FC, onde toma medicação pra amenizar os sintomas dessa doença. Com essa nova medicação nossos filhos não só vão tratar os sintomas mas sim impedir a progressão da doença pois esse medicamento trata o gen defeituoso, apelamos pra que nossos filhos tenham mas dias felizes sem tantas internações.</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. Discordo da recomendação da Conitec. Na parte das considerações finais a frase “Ivacaftor demonstrou benefício clínico em apenas um subgrupo de pacientes proposto para incorporação”. Vários ensaios clínicos randomizados e estudos observacionais já demonstraram eficácia do ivacaftor: melhora da função pulmonar, ganho ponderal, diminuição das agudizações pulmonares. A fibrose cística (FC) é uma doença progressiva, a cada agudização os pacientes apresentam perda da função pulmonar. Quando os pacientes com FC evoluem com piora aumentam as necessidades de internações para antibioticoterapia endovenosa e uso de antibióticos orais no intervalo das internações. O estado nutricional está diretamente relacionado a função pulmonar, ao quadro respiratório e a sobrevida. Para melhorar o estado nutricional realizamos em alguns pacientes a gastrostomia (GTM). A progressão da doença leva a dependência de oxigênio domiciliar. Há uma perda importante da qualidade de vida para o paciente e da família. O ivacaftor é o primeiro medicamento modulador do CFTR aprovado nos EUA em 2012. Os medicamentos moduladores do CFTR, são os únicos que agem no defeito genético da fibrose cística. O trabalho de Davies e cols(2013) na faixa etária de 6 a 11anos, tiveram aumento na função pulmonar e ganho ponderal importante quando comparado ao grupo placebo. Quanto as exacerbações pulmonares, na faixa etária de 6 -11anos, ocorrem menos quando comparados aos pacientes maiores de 12anos. Há uma tendência de piora da doença conforme aumento da faixa etária. “Foi ressaltado ainda o curto tempo de acompanhamento dos pacientes nos estudos (48 semanas), com medidas de desfechos intermediários”. O estudo de Volkova et al 2019 é o maior estudo longitudinal nos centros de FC dos EUA e Inglaterra. Nos EUA período de seguimento de 5 anos e Inglaterra seguimento de 4 anos. A grande maioria dos nossos pacientes já apresentam o teste genético. Além da mutação G551D em um dos alelos fazem parte outras mutações gating (classe III) G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N, S549R (Boeck K et al (2014): Estudo KONNECTION)</p> <p>2ª - Sim, O estudo observacional de Volkova et al 2019 é a maior análise longitudinal de pacientes tratados com ivacaftor nos centros fibrose cística nos EUA e na Inglaterra com período de seguimento de 5 anos(EUA) e 4 anos (inglaterra). Este estudo demonstrou o benefício do ivacaftor com resultados relevantes em pacientes tratados por até 5 anos quando comparado ao grupo que não recebeu a medicação. Os resultados reforçam as evidências que ivacaftor modifica o curso da doença em pacientes com FC. O objetivo do estudo observacional a longo prazo foi avaliar a progressão da doença em pacientes tratados com ivacaftor por até 5 anos. Os pacientes tratados com ivacaftor apresentaram melhor função pulmonar, melhor estado nutricional, menor número de agudizações pulmonares e internações em ambos centros do EUA e Inglaterra. A diabetes relacionada a fibrose cística e a prevalência de Pseudomonas aeruginosa foram menores no grupo que recebeu ivacaftor em ambos centros. A Pseudomonas aeruginosa é a principal bactéria na fibrose cística responsável pela destruição pulmonar ao longo da vida.Ramsey et al 2011: Foi um ensaio randomizado, duplo-cego, controlado por placebo para avaliar ivacaftor, em pacientes com FC com 12 anos de idade ou mais e pelo menos uma mutação G551D. O efeito na função pulmonar foram observados em 2 semanas, na 24 semanas(6meses) o VEF1 foi maior em 10,6 pontos percentuais no grupo do ivacaftor do que no grupo do placebo (P <0,001).o efeito foi mantido na 48 semanas(12meses). Os pacientes que receberam ivacaftor tiveram 55% menos probabilidade de ter uma exacerbação pulmonar do que os pacientes que receberam placebo, 48 semanas (P <0,001). Na 48 semanas, os pacientes tratados com ivacaftor ganharam, em média,</p>	<p>Clique aqui</p>

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

2,7 kg a mais de peso do que os pacientes que receberam placebo (P <0,001). Houve uma diminuição significativa na concentração do cloreto no suor. Davies JC et al(2013): Foi um ensaio randomizado, duplo-cego e controlado por placebo avaliaram ivacaftor em pacientes com fibrose cística com idade entre 6-11 anos e pelo menos uma mutação G551D. Os pacientes que receberam ivacaftor tiveram um aumento significativo na porcentagem do VEF1 previsto desde o início até a 24 semanas em relação ao grupo placebo (efeito do tratamento, 12,5 pontos percentuais; P, 0,001). Os efeitos na função pulmonar foram evidentes em 2 semanas, e um efeito significativo do tratamento foi mantido até a 48 semanas. Os pacientes tratados com ivacaftor ganharam, em média, 2,8 kg a mais do que aqueles que receberam placebo na 48 semanas(P, 0,001). A alteração na 48 semanas na concentração de cloreto no suor, com ivacaftor foi de -53,5 mmol / L (P, 0,001) versus placebo. Boeck K et al (2014): Estudo KONNECTION avaliou a eficácia e segurança de ivacaftor em pacientes com FC e uma mutação gating não G551D: G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R . Oito semanas de ivacaftor resultaram em melhoria significativa na porcentagem prevista de VEF1, IMC, cloreto de suor e foram mantidos durante 24 semanas. Ivacaftor foi bem tolerado.

3ª - Sim, A fibrose cística(FC) é uma doença grave e progressiva, os paciente pioram com a idade. Embora tenha havido importante avanços na terapêutica da FC nos últimos anos ainda os pacientes continuam apresentando perda progressiva da função pulmonar e o tratamento continua sintomático. O tratamento sintomático da FC é complexo, demanda tempo ao paciente e seus familiares pois incluem vários medicamentos para sintomas pulmonares e gastrointestinais. A fisioterapia respiratória é diária para limpeza das secreções pulmonares, inalação com mucolíticos, inalação com solução hipertônica, dependendo da gravidade uso diário de inalação com antibiótico. A dieta é hipercalórica, a maioria dos pacientes usam as enzimas pancreáticas em todas as refeições, suplementos alimentares e vitaminas lipossolúveis. Com o tempo surgem outras complicações em outros sistemas (doença hepática, diabetes relacionada a FC, osteoporose etc) . Com a progressão da doença, os pacientes precisam de mais medicamentos e as hospitalizações se tornam mais frequentes com maior tempo de duração. O aumento da gravidade, com perda da função pulmonar o paciente torna-se dependente de oxigênio domiciliar. O impacto para o paciente e seus familiares é muito grande. A incorporação de medicamentos moduladores da proteína CFTR, como o ivacaftor, ao SUS é fundamental para o tratamento da FC, é a única opção terapêutica com ação no defeito genético. Um medicamento que age no defeito genético, com melhora da função pulmonar, aumento de peso, diminuição das agudizações pulmonares e de complicações tais como diabetes relacionada a FC e a prevalência de Pseudomonas aeruginosa (principal bactéria na FC e responsável pela destruição pulmonar ao longo da vida) vai aumentar a expectativa de vida com qualidade. Isto significa menos gastos com medicações, internações, internações em UTI e possivelmente menor necessidade de transplante pulmonar.

4ª - Sim, O impacto orçamentário no Sistema Único de Saúde é alto comparado com o tratamento sintomático. Com o decorrer dos anos a tendência é a diminuição dos preços. Permitira uma aumento da sobrevida e uma vida com qualidade

[Clique aqui](#)

5ª - Não

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>

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. 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

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<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 reflatam no aumento da qualidade de vida e, principalmente, na sobrevida dos pacientes.</p> <p>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.</p> <p>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.</p> <p>5ª - 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</p>	<p>Clique aqui</p>

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 morbimortalidade. 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). 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

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>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 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.</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 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.</p> <p>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</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>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.</p>	
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Há vários estudos mostrando melhora importante do estado dos pacientes com as mutações citadas com o uso de IVACAFTOR, As melhoras foram vistas em ganho de função pulmonar, melhor qualidade de vida, redução na dosagem de cloro no suor e de exacerbações. Efeitos colaterais leves, bem tolerados na grande maioria dos pacientes. No estudo PERSIST, os efeitos benéficos persistiram por 144 semanas de duração do mesmo.</p> <p>2ª - Sim, Ver diversos artigos anexados abaixo. Incluem estudo com as diferentes mutações listadas na consulta. Adicionalmente, acrescentei artigos em crianças com menos idade.</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
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim, O ivacaftor já é usado há alguns anos fora do Brasil e mostra resultados clínicos muito promissores e segurança. Colaboro aqui com um estudo recente, de vida real, incluindo 1567 pacientes em tratamento dos EUA e Reino Unido, que esclarecem os pontos considerados frágeis na conclusão do relatório da Conitec. Os indicadores foram pesquisados nos Registros de Fibrose Cística (FC) destes países e correspondem a 2-3 anos de seguimento. O impacto clínico, apesar de naquela época ter sido baseado em estudos relacionados às mutações G551D e R117H, já eram evidenciados e estimados em revisão sistemática da Cochrane de 2019 (também anexa). Nesta revisão são cuidadosamente comentadas também as limitações apresentadas no relatório da Conitec. Por fim, gostaria de acrescentar que este medicamento serve para evitar a progressão da doença e que os indicadores que dispomos hoje medem a doença já estabelecida. Quanto à necessidade de genotipagem, que realmente não temos pelo SUS, sugiro que seja exigida a manutenção do que vem sendo feito, que é o patrocínio dos exames pela Vertex a pacientes do Registro Brasileiro de FC. Na UERJ temos 3 pacientes em uso de Ivacaftor com resposta muito satisfatória. Contribuiremos na seção específica para os relatos de experiência. 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, Creio que no momento temos limitações para evidências robustas, mas 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 - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
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>	Clique aqui
30/08/2020	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. medicação de alto custo e inacessível para muitos pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Estudos bem conduzidos que evidenciam benefícios interessantes aos portadores de fibrose cística</p> <p>3ª - Sim, Custos decorrentes de complicações da doença e seu necessário tratamento.</p> <p>4ª - Sim, A extensa maioria dos pacientes e familiares , não apresenta condições de bancar os custos do tratamento</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. É importante para poder salvar a vida do Augusto</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. É importante para poder salvar a vida do Augusto</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</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 crianças 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 - Sim, agencias reguladoras de outros paises, reconhecendo a eficacia da medicação partiram para a negociação visando tentar beneficiar os pacientes, uma vez que a doença nao espera.</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. Os portadores de fibrose cistica merecem 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
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim, O Ivacaftor foi a primeira droga aprovada visando a causa da FC e é um potencializador, ou seja, aumenta a atividade do canal de cloro na superfície das células dos pacientes com mutações de classe III (a proteína CFTR é sintetizada, mas a regulação do canal de cloro é alterada) e possivelmente classe IV (há redução na condução de ions através do canal de cloro)O Ivacaftor foi aprovado em 4/09/2018, para pacientes com 6 anos ou mais que têm uma das 9 mutações de “gating” no gene CFTR, assim como em pessoas com fibrose cística com idades entre 18 ou mais que tenham uma mutação R117H no gene CFTR. Segundo a literatura: Estudo randomizado multicêntrico de fase 3 de 161 indivíduos com 12 anos de idade ou mais com uma mutação G551D, o ivacaftor usado por 24 semanas melhorou o percentual médio do volume expiratório forçado previsto em um segundo (VEF1) em 10,4%, comparado com um declínio de 0,2% nos indivíduos recebendo um placebo (p <0,001) . Ele também diminuiu os valores de cloreto de suor em 48,1 mmol/L em comparação com o grupo placebo (p <0,001), elevando o valor médio no grupo ivacaftor para 51,7 mmol/L, abaixo do ponto de corte de 60 mmol/L. O tratamento com ivacaftor após 48 semana, reduziu a frequência de exacerbações pulmonares (redução de 55%), melhorou os sintomas pulmonares e resultou em um ganho de peso significativo de 2,7 kg. A frequência de eventos adversos graves foi menor no grupo ivacaftor do que nos pacientes tratados com placebo. [Ramsey BW, Davies J, McElvaney NG, et al. A CFTR potentiator in patients with cystic fibrosis and the G551D mutation. N Engl J Med 2011; 365:1663.]Outro estudo randomizado, cego, controlado por placebo, de 52 indivíduos com idades entre 6 e 11 anos e com pelo menos uma mutação G551D CFTR encontrou melhoras semelhantes na função pulmonar. Davies JC, Wainwright CE, Canny GJ, et al. Efficacy and safety of ivacaftor in patients aged 6 to 11 years with cystic fibrosis with a G551D mutation. Am J Respir Crit Care Med 2013; 187:1219.Os efeitos benéficos foram observados por pelo menos por três anos de tratamento com ivacaftor Skilton M, Krishan A, Patel S, et al. Potentiators (specific therapies for class III and IV mutations) for cystic fibrosis. Cochrane Database Syst Rev 2019; 1:CD009841. Após 36 meses de tratamento, a mudança absoluta no VEF1 foi de aproximadamente 10 pontos percentuais em comparação com a linha de base, e os pacientes também apresentaram melhora no peso corporal e uma taxa reduzida de exacerbações pulmonares. Além disso, o declínio da função pulmonar ao longo dos três anos de tratamento foi 50% mais lento do que em um grupo de comparação de pacientes com mutações homocigotas F508del que não foram tratadas com ivacaftor. Sawicki GS, McKone EF, Pasta DJ, et al. Sustained Benefit from ivacaftor demonstrated by combining clinical trial and cystic fibrosis patient registry data. Am J Respir Crit Care Med 2015; 192:836.Outro estudo, coletou dados clínicos e laboratoriais prospectivamente de 151 indivíduos antes e depois de um, três e seis meses após o início do tratamento com o ivacaftor. Observou-se rápidas melhoras no VEF1 e no ganho de peso, inclusive entre indivíduos com doença relativamente leve no início do estudo. Comparando os períodos de seis meses antes e após o início do ivacaftor, a frequência de hospitalizações diminuiu 19,1% e a porcentagem de indivíduos com pelo menos uma cultura positiva de Pseudomonas aeruginosa diminuiu 18,8%. Além disso, o tratamento com ivacaftor melhorou a depuração mucociliar e a tosse. Finalmente, o pH duodenal aumentou dentro de um mês após o tratamento com ivacaftor, evidenciando a melhora do CFTR no canal de bicarbonato. Rowe SM, Heltshe SL, Gonska T, et al. Clinical mechanism of the cystic fibrosis transmembrane conductance regulator potentiator</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>ivacaftor in G551D-mediated cystic fibrosis. Am J Respir Crit Care Med 2014; 190:175. Heltshe SL, Mayer-Hamblett N, Burns JL, et al. Pseudomonas aeruginosa in cystic fibrosis patients with G551D-CFTR treated with ivacaftor. Clin Infect Dis 2015; 60:703. Rowe SM, et al observaram os efeitos a longo prazo do ivacaftor usando dados de registro dos Estados Unidos e do Reino Unido, comparando com um grupo controle. Aqueles nos Estados Unidos em uso de ivacaftor apresentaram menores riscos de morte (0,6 versus 1,6%), hospitalizações (27,5 versus 43,1%) e transplantes (0,2 versus 1,1%), e resultados semelhantes foram observados no Registro do Reino Unido. Rowe SM, Heltshe SL, Gonska T, et al. Clinical mechanism of the cystic fibrosis transmembrane conductance regulator potentiator ivacaftor in G551D-mediated cystic fibrosis. Am J Respir Crit Care Med 2014; 190:175. Outro estudo de registro do Reino Unido relatou menor prevalência de P. aeruginosa entre pacientes tratados com ivacaftor, com menores taxas de aquisição e maiores taxas de depuração. Heltshe SL, Mayer-Hamblett N, Burns JL, et al. Pseudomonas aeruginosa in cystic fibrosis patients with G551D-CFTR treated with ivacaftor. Clin Infect Dis 2015; 60:703. Em 2017, a lista de mutações foi ampliada pela FDA adicionando 28 mutações com função residual, baseadas principalmente em testes in vitro de resposta ao ivacaftor. Van Goor F, Yu H, Burton B, Hoffman BJ. Effect of ivacaftor on CFTR forms with missense mutations associated with defects in protein processing or function. J Cyst Fibros 2014; 13:29. A eficácia e segurança do Ivacaftor também foram avaliadas em pacientes com mutações de classe IV com boa resposta na concentração de cloreto no suor e sintomatologia, também com subsequente aprovação pelo FDA. As mutações adicionadas incluem algumas que permitem a função residual da CFTR e estão associadas a um fenótipo mais suave da FC, por exemplo, suficiência pancreática. Aproximadamente 10% dos pacientes no registro de pacientes da Fundação CF têm pelo menos uma das mutações agora aprovadas pelo FDA para ivacaftor. Como o dano pulmonar na FC geralmente começa na primeira infância, foram realizados estudos para determinar se o ivacaftor é seguro para crianças pequenas. Um estudo aberto de 24 semanas de ivacaftor administrado a 34 crianças de 2 a 6 anos demonstrou que ele tinha um perfil de segurança semelhante ao de grupos etários mais velhos. Os eventos adversos mais comuns foram tosse (56 por cento) e vômito (29 por cento). Cinco pacientes (15 por cento) tiveram elevações nas enzimas hepáticas de 8 vezes o limite superior da normalidade, necessitando de interrupção do tratamento com ivacaftor. Entretanto todos esses pacientes já possuíam um histórico de elevações semelhantes antes do ivacaftor, e o tratamento foi retomado com sucesso em quatro dos cinco pacientes. Embora o estudo evidenciou diminuição significativa no cloreto de suor (-46,9 mmol / L) e aumentos no peso corporal. Davies JC, Cunningham S, Harris WT, et al. Safety, pharmacokinetics, and pharmacodynamics of ivacaftor in patients aged 2-5 years with cystic fibrosis and a CFTR gating mutation (KIWI): an open-label, single-arm study. Lancet Respir Med 2016; 4:107. Esses dados foram corroborados em por outro estudo realizado com 19 crianças de 12 a 24 meses que receberam ivacaftor por 24 semanas. Rosenfeld M, Wainwright CE, Higgins M, et al. Ivacaftor treatment of cystic fibrosis in children aged 12 to <24 months and with a CFTR gating mutation (ARRIVAL): a phase 3 single-arm study. Lancet Respir Med 2018; 6:545. Em 2019, o FDA reduziu a idade mínima de aprovação do ivacaftor para seis meses em pacientes com qualquer uma das 10 mutações gating, com base nos resultados de um ensaio clínico de 24 semanas com 11 participantes com idade entre 6 meses e 1 ano. Em um relatório preliminar, o perfil de segurança foi considerado semelhante ao observado em crianças mais velhas. O cloreto de suor dos</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>seis participantes também diminuiu em 24 semanas. Business Wire. FDA Approves KALYDECO® (ivacaftor) as First and Only CFTR Modulator to Treat Eligible Infants with CF as Early as Six Months of Age. 2019. Available at: https://www.businesswire.com/news/home/20190430005570/en/ (Accessed on May 22, 2019). Desta forma, uso desta medicação pode reduzir o número de exacerbações, internações contribuem para redução da perda funcional pulmonar e para uma melhora no estado nutricional. Essas considerações certamente contribuirão para melhora na qualidade de vida destes pacientes.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. É importante para poder salvar a vida do Augusto</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim,</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim,</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Escrevo 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 Kalydeco. 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 Kalydeco se relaciona diretamente com a resposta clínica no paciente (in Vivo). A pesquisa que eu faço visa compreender mais profundamente como o Kalydeco 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 batimento 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 Kalydeco. 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 Kalydeco 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 Kalydeco, peço que por favor se refiram ao seguinte artigo: Balfour-Lynn & J King, Paed Resp Rev 2020 May 26;S1526-0542(20)30081 Este artigo fala sobre a sobrevivência de pacientes com FC após o uso do Kalydeco (ivacaftor), segue o resumo do artigo e o artigo completo se encontra em anexo. Resumo: "Os moduladores do CFTR mudaram dramaticamente o curso clínico da FC naqueles que têm a sorte de recebê-los. Inevitavelmente, os ensaios clínicos randomizados durante o desenvolvimento dessas drogas são muito curtos para usar a mortalidade como resultado. As evidências de seu efeito sobre a expectativa de vida são mais bem obtidas a partir de estudos de registros do mundo real que examinam especificamente a mortalidade, mas até agora só estão disponíveis para o ivacaftor. Portanto, a evidência indireta deve ser obtida examinando os desfechos que afetam a mortalidade e observando o efeito dessas drogas nesses desfechos."</p> <p>2ª - Sim, Muito importante são os dados de mundo real do uso do Kalydeco que devem ser incluídos e peço que por favor se refiram ao seguinte artigo: Balfour-Lynn & J King, Paed Resp Rev 2020 May 26;S1526-0542(20)30081 Este artigo fala sobre a sobrevivência de pacientes com FC após o uso do Kalydeco (ivacaftor), segue o resumo do artigo e o artigo completo se encontra em anexo. Resumo: "Os moduladores do CFTR</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>mudaram dramaticamente o curso clínico da FC naqueles que têm a sorte de recebê-los. Inevitavelmente, os ensaios clínicos randomizados durante o desenvolvimento dessas drogas são muito curtos para usar a mortalidade como resultado. As evidências de seu efeito sobre a expectativa de vida são mais bem obtidas a partir de estudos de registros do mundo real que examinam especificamente a mortalidade, mas até agora só estão disponíveis para o ivacaftor. Portanto, a evidência indireta deve ser obtida examinando os desfechos que afetam a mortalidade e observando o efeito dessas drogas nesses desfechos.”</p> <p>3ª - Sim, Faltou incluir nessas avaliações o impacto da diminuição de internações relacionadas ao tratamento dos sintomas da FC. 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 uma doença 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>	
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. OS PACIENTES PORTADORES DESSA MUTAÇÃO SE BENEFICIARIAM MUITO COM O USO DESSE MEDICAMENTO SEGUNDO A LITERATURA POIS A MESMA MELHORA A FUNÇÃO PULMONAR E REDUZ EXACERBAÇÕES DA DOENÇA. ALÉM DISSO, ESSA MUTAÇÃO É RARA E POR ISSO NÃO TRARIA ÔNUS AO SISTEMA.</p> <p>2ª - Sim, Ivacaftor foi estudado em pacientes com variantes das classes 3 (defeitos do tipo "gating" - regulacão do canal) e 4 (defeitos de condutividade). Os resultados iniciais do uso de Ivacaftor em pacientes com a variante G551D foram extremamente positivos, com incrementos de função pulmonar (VEF1) na faixa de 10%, redução dos valores de cloretos no suor ao redor de 50mml/L, ganho ponderal e redução significativa das exacerbações pulmonares, quando comparados ao grupo que recebeu placebo 9-11. Estudos de extensão do uso de Ivacaftor para pacientes com variantes dessas classes (nao G551D), incluindo G178R, S549N, S549R, G551S, G970R, G1244E, S1251N, S1255P ou G1349D mostraram resultados muito semelhantes, mesmo em indivíduos com apenas um alelo dessas variantes, em associação a outras variantes de função mitocondrial como a F508del.</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
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 clínica, 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	Instituição de ensino	<p>1ª - Discordo. Médicos da equipe já responderam à Consulta Pública individualmente com referências que complementam as evidências a partir das abordadas no relatório da CONITEC. Aqui trazemos relatos de casos de pacientes acompanhados em nosso centro de referência, que é o único centro para adultos com FC no estado do Rio de Janeiro.</p> <p>2ª - Sim, Relatos de caso de vida real. A Equipe de Fibrose Cística da UERJ é a responsável por este relato, aqui representada por mim, Mônica de Cássia Firmida, Médica, Professora da Pneumologia, docente da Faculdade de Ciências Médicas (FCM), UERJ.</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 para o filho de uma amiga, com este 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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Esses medicamentos são importantes para a cura da doença e não somente tratar sintomas 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Esses medicamentos são importantes para a cura da doença e não somente para tratar sintomas 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
30/08/2020	Paciente	1ª - Concordo 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. Esse medicamento é um fármaco potencializador do regulador de CFTR, aumentando a função iônica em algumas mutações de classe III.</p> <p>2ª - Sim, Tese de mestrado de CHARLLES ZAPP DE SOUZA, intitulada AVALIAÇÃO DA EFICÁCIA DO IVACAFTOR: ANÁLISE CRÍTICA DOS DESFECHOS UTILIZADOS e que pode ser acessada no link: http://www.mestradoinc.com.br/wp-content/uploads/2019/01/AVALIA%C3%87%C3%83O-DA-EFIC%C3%81CIA-DO-IVACAFTOR-AN%C3%81LISE-CR%C3%8DTICA-DOS-DESFECHOS-UTILIZADOS.pdf Concluiu que conclui-se que a intervenção é eficaz quando se considera desfechos substitutos como o VEF1,</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 e suplementos, internações frequentes e também para o paciente. Os pacientes que apresentam resposta a medicação melhoram significativamente, com melhora da qualidade de vida, diminuição expressiva das exacerbações e da nutrição diminuindo o custo final 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 melhor sendo mais produtivo.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
30/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Essa nova medicação vai ajudar os nossos filhos a não só tratar os sintomas mas a doença, não queremos ver nossos filhos definhando e com tantas internações vidas não tem preço.</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, país onde 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 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>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
30/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Trata-se de um medicamento com uma vasta literatura mostrando evidências de boa resposta em redução de cloretos no suor, significativa melhora do VEF1, redução de exacerbações pulmonares e melhora nutricional. A Fibrose Cística é uma doença grave e leva a morte precoce. As perspectivas são de agregar um tratamento que contribua para melhorar a qualidade de vida e aumentar a expectativa de vida aos casos indicados.</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. É um direito do paciente se tratar. Eu sou paciente de câncer e tenho minha medicação de cinco anos que se estendeu para mais dois anos. Ora porque, outras doenças também não podem ter o mesmo direito.</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</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. Ivacaftor é uma nova tecnologia que já foi incorporada em 21 países devido as fortes evidencias quanto aos benefícios no VEF1, peso e taxa de exacerbações, tanto no estudo pivotal como no de extensão, sustentados até a semana 144.</p> <p>2ª - Sim, Ivacaftor é similarmente efetivo em outras mutações de "gatinha". No estudo observacional, de mundo real, o grupo tratado teve desfechos clínicos consistentemente favoráveis suportando que a doença é modificada ao longo do tempo pela terapia moduladora e os efeitos foram multisistêmicos.</p> <p>3ª - Sim, Embora, o custo de tratamento de uma doença rara seja sempre elevado, é esperado redução de custos pela melhora da função pulmonar, redução das exacerbações, consequentemente admissões hospitalares e menor risco de transplante pulmonar.</p> <p>4ª - Sim, Mutações de classe III ocorrem são causadoras de FC em pequeno número de pacientes, menos de 3% dos pacientes brasileiros. Ter critérios para descontinuidade do tratamento se os objetivos não forem atingidos reduzirá custos desnecessários.</p> <p>5ª - Sim, Estudo observacional que suporta a indicação do ivacaftor em mutações de gatinho não G551D.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Os medicamentos hoje entregue pelo SUS são paliativos e não ajudam no travamento da doença, a esperança está neste tratamento pois irá tratar atuando diretamente na proteína defeituosa e pode ser um divisor de águas para evitar um transplante e fazer com que os órgãos trabalhem melhor e o paciente sofra menos. O valor do medicamento é muito alto para adquirir e tem que ser fornecido 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
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Ivacaftor é uma nova tecnologia que já foi incorporada em 21 países devido as fortes evidencias quanto aos benefícios no VEF1, peso e taxa de exacerbações, tanto no estudo pivotal como no de extensão, sustentados até a semana 144.</p> <p>2ª - Sim, Ivacaftor é similarmente efetivo em outras mutações de "gatinha". No estudo observacional, de mundo real, o grupo tratado teve desfechos clínicos consistentemente favoráveis suportando que a doença é modificada ao longo do tempo pela terapia moduladora e os efeitos foram multisistêmicos.</p> <p>3ª - Sim, Embora, o custo de tratamento de uma doença rara seja sempre elevado, é esperado redução de custos pela melhora da função pulmonar, redução das exacerbações, consequentemente admissões hospitalares e menor risco de transplante pulmonar.</p> <p>4ª - Sim, Mutações de classe III ocorrem são causadoras de FC em pequeno número de pacientes, menos de 3% dos pacientes brasileiros. Ter critérios para descontinuidade do tratamento se os objetivos não forem atingidos reduzirá custos desnecessários.</p> <p>5ª - Sim, Estudo observacional que suporta a indicação do ivacaftor em mutações de gatinho não G551D.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
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	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Discordo. A recomendação preliminar da CONITEC foi negativa, portanto as seções incluídas no documento em anexo apresentam os principais pontos que esclarecem e apoiam o valor do ivacaftor, um medicamento modificador da doença que satisfaz a uma necessidade não atendida; benefícios clínicos sustentados em longo prazo para toda a população submetida para esta incorporação; disponibilidade de acesso a pacientes em vários países do mundo; e nova proposta de valor.Vide Documento em Anexo</p> <p>2ª - Sim, Os resultados dos ensaios clínicos de ivacaftor demonstram a eficácia sustentada e a segurança do tratamento, mostrando melhoras significativas em vários resultados clínicos, totalizando 144 semanas de evidência, em doentes com 12 anos ou mais e em crianças com 6 a 11 anos. O benefício do ivacaftor também foi observado para todas as mutações avaliadas e estudos observacionais representam uma importante fonte de evidências científicas além dos ensaios clínicos.Vide Documento Final em anexo</p> <p>3ª - Sim, Os métodos do estudo econômico apresentado pela Vertex foram considerados adequados para a avaliação de ivacaftor para a indicação solicitada no contexto de incorporação pelo Sistema Único de Saúde, dando uma extensão média de vida de 17,32 anos e um resultado compatível com ICER de outras doenças raras já incorporadas por esta renomada Agência.Vide Documento Final em anexo</p> <p>4ª - Sim, Com o objetivo de reduzir o valor do impacto orçamentário previamente apresentado, protocolamos uma proposta comercial diferenciada no DGITIS no dia 28/08/20, oferecendo uma redução significativa do Impacto Orçamentário em 5 anos de R\$90.8M que representa 32% frente a primeira proposta</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>
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. desejo uma melhor qualidade de vida para o filho de uma grande amiga 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. O Ivacaftor é um medicamento que muda o prognóstico da fibrose cística. Até o momento o tratamento é de alto custo, inclusive o paciente necessita de internações hospitalares recorrentes. Com o Ivacaftor o paciente tem possibilidade de mudança da história natural da doença e melhora da qualidade de vida significativa.</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	Sociedade médica	<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 uso de ivacaftor em pessoas com FC portadoras de mutações de gating (ativação do canal) foram absolutamente inéditos e emocionantes: melhora significativa da função pulmonar, melhora nutricional, redução de exacerbações pulmonares e, incrivelmente, redução dos níveis de cloro no suor chegando a valores normais. Nenhum medicamento jamais havia demonstrado essa magnitude de efeitos. Estudos posteriores aos ensaios clínicos iniciais e que utilizaram dados “de vida real” confirmaram que os benefícios do ivacaftor são mantidos pelo período analisado de 3 anos, indicando que o medicamento tem um efeito modificador da evolução da doença. Diante do seu efeito indiscutível e de grande magnitude, ivacaftor foi aprovado nos Estados Unidos em 2015 para uso em crianças a partir de 2 anos de idade e para outras mutações com o mesmo tipo de defeito. Em 2017 seu uso foi ampliado para mutações com defeitos de condutividade ou de redução da quantidade de proteína CFTR expressa na membrana celular, e em 2019 seu uso foi aprovado inclusive para bebês a partir de 6 meses de idade. Como profissionais de saúde envolvidos no atendimento a pacientes com doenças crônicas como a fibrose cística, sabemos da importância de critérios rígidos de eficácia e segurança para incorporação de novos medicamentos ao SUS. Mas é preciso ficar claro que a baixa frequência de algumas mutações torna inviável e até antiética a realização de ensaios randomizados e controlados para todos os cenários possíveis. Os resultados dos estudos de uso de ivacaftor em pacientes com outras mutações, entretanto, são de magnitude muito semelhante à observada com a mutação G551D do estudo original, o que subsidia de forma clara as indicações da bula brasileira – ainda mais restritiva que a de outros países, por não permitir estudos in vitro para fins de inclusão. Vale ressaltar que diversos países incorporaram ivacaftor no tratamento de pacientes com mutações responsivas, dado o indiscutível efeito clínico dessa medicação para os pacientes, entre eles: EUA, Irlanda, Nova Zelândia, França, Dinamarca, Países Baixos, Inglaterra, Israel, Irlanda do Norte, Gales, Espanha, Escócia, Áustria, Austrália, Bélgica, Itália, Luxemburgo, Eslovênia, Alemanha, República Checa e Suíça. Um aspecto de extrema importância refere-se ao custo elevado desse medicamento. Os profissionais do GBEFC estão alinhados com o poder público na busca de reduzir os custos de tratamento para os pacientes com fibrose cística, mas é preciso analisar o benefício desse tratamento para os pacientes, com impacto muito superior ao descrito no documento da Conitec (baseado na documentação enviada pela empresa Vertex). Estima-se que para com a mutação G551D, o ganho seja de uma média de 18 anos de vida adicional e uma diminuição aproximada de 18% na probabilidade de transplante pulmonar. Isso será demonstrado a seguir, nas seções correspondentes. A opinião dos profissionais do GBEFC quanto ao uso de ivacaftor em pacientes com fibrose cística e mutações responsivas é que ele é indispensável, constituindo falha grave do profissional de saúde deixar de prescrevê-lo, diante dos efeitos clínicos absolutamente irrefutáveis.</p> <p>2ª - Sim, Ivacaftor foi estudado em pacientes com mutações das classes 3 (defeitos do tipo gating - regulação</p>	<p>Clique aqui</p>

do canal) e 4 (defeitos de condutividade). Os resultados iniciais do uso de ivacaftor em pacientes com a mutação G551D foram extremamente positivos, com incrementos de função pulmonar (VEF1) na faixa de 10%, redução dos valores de cloretos no suor ao redor de 50mmol/L, ganho ponderal e redução significativa das exacerbações pulmonares, quando comparados ao grupo que recebeu placebo (1-3). Estudos de uso de ivacaftor para pacientes com mutações de regulação do canal (não G551D), incluindo G178R, S549N, S549R, G551S, G970R, G1244E, S1251N, S1255P ou G1349D mostraram resultados muito semelhantes, mesmo em indivíduos com apenas um alelo dessas mutações, em associação a outras mutações de função mínima como a F508del (4). Não há como deixar de incluir esse estudo na avaliação do medicamento, pois a frequência dessas mutações impede a realização de estudos com maiores casuísticas de portadores. Em particular, esse estudo (4) foi excluído por apresentar “tempo de acompanhamento inferior a 6 meses”, o que não procede, pois, o estudo foi cego e controlado por placebo nas primeiras 8 semanas (em sistema de crossover), seguindo-se 16 semanas de acompanhamento aberto – todos em uso da medicação. Os benefícios, de magnitude semelhante à observada em indivíduos portadores da mutação G551D, foram mantidos por todo o período do estudo (4). Cabe ressaltar que os dados do estudo de Bessanova (5), incluído nas análises do documento da CONITEC, revela de forma clara a extensão e magnitude dos efeitos benéficos de ivacaftor num cenário de vida real, através da análise de dados dos registros norte-americano e inglês de pacientes com fibrose cística. Nesse estudo, um total de 1.667 pacientes em uso de ivacaftor foram comparados a 8.269 pacientes como comparadores nas duas coortes, incluindo pacientes com mutações não-G551D responsivas ao medicamento em questão (5). Os resultados são absolutamente claros: redução de mortalidade, necessidade de transplante pulmonar, admissão hospitalar e exacerbações pulmonares; além de redução na prevalência de patógenos respiratórios e outras complicações da fibrose cística, como diabetes (5). Nenhum dos países que disponibilizou ivacaftor para pacientes com fibrose cística fez restrição para uso exclusivo em pacientes com a mutação G551D (EUA, Irlanda, Nova Zelândia, França, Dinamarca, Países Baixos, Inglaterra, Israel, Irlanda do Norte, Gales, Espanha, Escócia, Áustria, Austrália, Bélgica, Itália, Luxemburgo, Eslovênia, Alemanha, República Checa e Suíça). Os resultados de eficácia e segurança foram posteriormente reproduzidos em pacientes na faixa etária de 2 a 5 anos, mostrando impacto na função pancreática destes pacientes – com aumento inclusive dos níveis de elastase fecal (6-7). Resultados de estudo de ivacaftor em lactentes (12 a 24 meses) com mutações de regulação da CFTR demonstraram sua segurança de forma clara, com efeitos nos marcadores de função pancreática e reduções dramáticas dos níveis de cloro no suor (8), motivando em 2019, sua recomendação nos EUA a partir dos 6 meses de idade. Estudos de vida real com ivacaftor indicam efeitos de grande magnitude na saúde dos pacientes. Num estudo publicado em 2018, os autores indicavam uma redução das admissões hospitalares relacionadas à fibrose cística numa magnitude de 81% (9). Estudo de vida real analisando o impacto de ivacaftor em pacientes da Irlanda demonstrou melhoras de VEF1, IMC e redução de internações hospitalares dos pacientes tratados (10). Mais recentemente, outro estudo de vida real, analisando dados dos registros de pacientes norte-americano e do Reino Unido, evidenciou efeitos significativos na redução de óbitos, internações, transplantes pulmonares e exacerbações pulmonares agudas (11). O potencial impacto em relação ao ganho de tempo de vida parece ainda ser bastante superior ao que consta do documento produzido pela CONITEC. Um estudo norte-

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>americano, analisando apenas pacientes com a mutação G551D, indica que o ganho é de 18,25 anos de vida (ICr95% 13,71 – 22,2), e levando-se em conta anos ajustados por qualidade (QALY), essa cifra seria de 15,03 QALYs anos (ICr95% 11.13 – 18.73) (12). Os resultados de segurança com a droga foram bastante positivos, sendo a toxicidade hepática o principal aspecto a monitorizar. Em crianças é importante a avaliação oftalmológica também, mas vale ressaltar que a maior parte dos efeitos adversos reportados nos estudos clínicos não são diretamente associados ao medicamento, mas próprios da doença. Adicionalmente, os estudos de vida real já citados (5,9-11) foram muito claros em demonstrar a segurança do uso prolongado da medicação.</p>	
		<p>3ª - Sim, A avaliação econômica foi o principal motivo indicado no documento da CONITEC para recomendar a não incorporação do ivacaftor ao rol de medicamentos do SUS. Entretanto, o modelo desenvolvido para comparação entre o tratamento de suporte com o tratamento de suporte adicionado a ivacaftor está duplamente equivocado: por um lado o custo do tratamento de suporte básico da fibrose cística está subestimado e por outro lado, o custo do tratamento com o ivacaftor encontra-se superestimado. Obviamente, a diferença entre os dois tipos de tratamento ficou ainda maior, resultando na recomendação de não incorporação do medicamento. No que se refere ao tratamento de suporte foi considerado uso de antibióticos orais, solução salina inalada, alfadornase, suplementos nutricionais, enzimas pancreáticas, agentes antifúngicos, corticosteroide e fisioterapia. Não foram considerados os custos com internações hospitalares decorrentes de exacerbações pulmonares que não respondem ao tratamento oral, onde utilizam-se antibióticos endovenosos de alto custo, por um período prolongado que pode variar de 14 a 21 dias. Há evidências de estudos de vida real demonstrando redução significativa (70 a 80%) das internações com uso ivacaftor (1,2). Também não foram considerados custos com oxigenioterapia hospitalar ou domiciliar. Não foram considerados os custos com antibioticoterapia inalatória, mesmo estando a tobramicina inalatória incluída no Protocolo Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do SUS que abordam as manifestações pulmonares da fibrose cística. Todos estes itens regularmente fazem parte do tratamento da maioria dos pacientes com FC, que atualmente é estimado em cerca de R\$ 15.000 reais/mês para pacientes em uso de todos esses recursos. O modelo preditivo de projeção de sobrevida considerou infecções por <i>Staphylococcus aureus</i> (sem especificação do padrão de resistência) e <i>Burkholderia cepacia</i> (sem especificação do genótipo), ao invés da <i>Pseudomonas aeruginosa</i>. A infecção por <i>Pseudomonas aeruginosa</i> é sabidamente um fator de risco associado a maior perda de função pulmonar e necessidade de internações hospitalares (3,4), enquanto para as demais bactérias os dados são variados a depender da sensibilidade aos antibióticos e subtipo de bactéria. Outro fator não considerado foi a redução de uso, e consequentemente de custo total por paciente, dos medicamentos do tratamento padrão nos pacientes em uso do ivacaftor. Em estudo recente sobre os custos do tratamento de pacientes com FC cobertos por planos de saúde privado, no período de 2010 a 2016 nos Estados Unidos, Grosse et al (5) demonstraram que, embora o custo total tenha aumentado com o uso do ivacaftor, os gastos com as outras medicações de tratamento padrão reduziram proporcionalmente. Há mais um aspecto a considerar nessa questão: o valor declarado do ivacaftor para fins de cálculo (R\$ 67.000/mês), certamente não será o valor dispendido pelo governo numa eventual incorporação – sendo sujeito a uma desoneração de impostos de pelo menos 20% (o governo é isento de</p>	<p>Clique aqui</p>

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

carga tributária). Por fim, como será possível ver adiante, o GBEFC alinhou com outras sociedades médicas uma proposta mais restritiva de uso de 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, Consideramos as premissas de número de pacientes no Brasil superestimadas. Hoje quase todos os pacientes diagnosticados seguem em Centros Especializados de Referência, estando a maioria deles cadastrado no Registro Brasileiro de Fibrose Cística, o que consideramos como um critério mínimo para indicação de um tratamento de alto custo como esse. Utilizando dados de 2018 e incluindo pacientes com genotipagem, do total de 5.073 pacientes cadastrados no Registro Brasileiro de Fibrose Cística, 1,4% tem mutações responsivas a ivacaftor (73 pacientes). Destes, apenas 56 teriam atualmente a idade de 6 anos ou mais. Sem aplicar qualquer outro critério restritivo de indicação (que recomendamos utilizar, como será exposto adiante), isso representaria num custo inferior ao estimado pelo modelo. Adotando o valor sem impostos para o medicamento, totalizando R\$ 53.600,00 (20% de desconto sobre o valor apresentado no modelo), resultaria numa despesa anual de R\$643.200,00/paciente/ano – portanto, mesmo a inclusão de todos esses casos resultaria numa despesa cerca de 10% inferior à apresentada no modelo já no primeiro ano, totalizando R\$ 36.019.200,00. Esse seria o “pior cenário”, pois os critérios mais restritivos que propomos não incluiriam todos esses casos. 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 mecanismos de controle dos benefícios do tratamento, como indicado acima e explicitado na próxima seção. Por fim, gostaríamos de salientar que os dados apresentados no documento da CONITEC, especificamente no seu item 8 (RECOMENDAÇÕES DE OUTRAS AGÊNCIAS DE ATS), encontra-se desatualizado. O medicamento está disponível e é reembolsado por agências governamentais nos seguintes países: EUA, Irlanda, Nova Zelândia, França, Dinamarca, Países Baixos, Inglaterra, Israel, Irlanda do Norte, Gales, Espanha, Escócia, Áustria, Austrália, Bélgica, Itália, Luxemburgo, Eslovênia, Alemanha, República Checa e Suíça.

[Clique aqui](#)

5ª - Sim, O Grupo Brasileiro de Estudos da Fibrose Cística (GBEFC), Sociedade Brasileira de Pneumologia e Tisiologia (SBPT) 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. O ivacaftor (um dos 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. A não incorporação desse medicamento seria um prejuízo

[Clique aqui](#)

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>incomensurável para os pacientes. Diante disso, sugerimos abaixo algumas indicações adicionais e modelo de acompanhamento dos pacientes, assim como critérios de descontinuação da droga quando apropriado. Indicações adicionais para prescrição da droga (necessário atender aos 3 requisitos):</p> <p>A. Ter 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.</p> <p>B. Ter manifestações da doença respiratória ou comprometimento nutricional (qualquer um dos itens);</p> <ul style="list-style-type: none"> • VEF1 (volume expiratório forçado no primeiro segundo) < 90% do predito OU • Sinais de impactação mucoide/bronquiectasias na tomografia de tórax OU • Exacerbações pulmonares frequentes com necessidade de admissão hospitalar (>2x/ano) OU • Sinusopatia crônica com repercussão clínica (dor facial crônica/recorrente, descarga nasossinusal persistente, polipose nasal ou mucocelos) OU • Desnutrição ou percentil do IMC < 15 OU • Infeção respiratória crônica por bactéria típica da FC (Pseudomonas aeruginosa, Complexo Burkholderia cepacia e/ou Staphylococcus aureus resistente à oxacilina - MRSA). <p>Justificativa: Os efeitos de ivacaftor são de tamanha magnitude que seu uso pode potencialmente evitar o desenvolvimento da doença pulmonar da FC. Desse modo, não se justifica uma indicação mais tardia – ele deveria ser indicado em pacientes com qualquer sinal relevante de doença pulmonar ou sistêmica da FC.</p> <p>C. Ter boa adesão ao tratamento: retirada regular e frequente de medicação no Centro de Atendimento, comparecimento regular às consultas ambulatoriais e de fisioterapia.</p> <p>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.</p> <p>Avaliação prévia à prescrição: antropometria, avaliação oftalmológica, espirometria, cultura de secreção respiratória, avaliação da função hepática e novo teste do suor (cloridômetro).</p> <p>Avaliação da resposta à medicação:</p> <ul style="list-style-type: none"> • 30 dias: espirometria, antropometria • 3 meses: teste do suor (cloridômetro), espirometria, antropometria, avaliação da função hepática <p>OBS: Caso o paciente apresente uma exacerbação pulmonar infecciosa nos primeiros 3 meses de tratamento, a reavaliação será postergada por 30 dias, mantendo o uso da medicação.</p> <p>Critérios de resposta satisfatória à medicação para continuidade do tratamento (qualquer um dos itens):</p> <ul style="list-style-type: none"> • Redução de pelo menos 30 mmol/L na dosagem de cloretos no suor (cloridrômetro). • Aumento do VEF1 igual ou superior a 5% do valor prévio. <p>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>	

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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. O Ivacaftor já foi incorporado no sistema de saúde de outros países, trará melhor qualidade de vida e opção de tratamento aos portadores de fibrose cística. 2ª - Não 3ª - Sim, A avaliação econômica não pode se basear em incertezas. Pode se fazer uma análise junto aos países que já utilizam o ivacaftor para tratamento da fibrose cística. 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. Tal medicação já é incorporada em outros países com eficácia comprovada, trazendo melhor qualidade de vida aos pacientes. 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 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, precisamos infelizmente</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>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 da proteína 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 ivacaftor em pacientes com fibrose cística e mutações responsivas é que ele é indispensável, constituindo falha grave do profissional de saúde deixar de prescrevê-lo, diante dos efeitos clínicos absolutamente irrefutáveis.</p>	
		<p>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 reconhecida 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 da proteína 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. Tal fato é verdade que o FDA aprovou a indicação de uso do Ivacaftor para mutações sequer testadas em ensaios clínicos diante da correlação entre atividade in vitro da CFTR e resposta clínica funcional pulmonar. - Atividade da proteína 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</p>	<p>Clique aqui</p>

elevado, consequência da disfunção da proteína CFTR que é um canal de cloro. Os moduladores da CFTR, incluindo o 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 reforçar as peculiaridades da avaliação de uma doença rara. A indicação do ivacaftor consiste em pacientes com fibrose cística e mutações de gating (classe III), tais como G551D, G178R, S549N, S549R, G551S, G970R, G1244E, S1251N, S1255P ou G1349D. Essas mutações possuem prevalência extremamente baixa, sendo a realização de ensaio clínico randomizado inexecutável para cada uma delas. Não obstante, temos dados irrefutáveis do efeito benéfico do ivacaftor em pacientes com mutação G551D em um ensaio clínico com mais de 100 pacientes. Neste estudo o ivacaftor foi comparado à terapia padrão e mostrou ganho médio acima de 10% na 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 ivacaftor nesses pacientes não é exclusivo ao sistema respiratório, mas com ações multi-sistêmicas. Gostaríamos de chamar a atenção para este último dado uma vez que a redução do cloreto no suor se deu a níveis inferiores do que são considerados diagnósticos para doença, mostrando restauração da funcionalidade da CFTR de forma inquestionável. Este estudo teve duração de 1 ano. A avaliação da CONITEC excluiu diversos estudos com maior tempo de seguimento dos pacientes sob uso do ivacaftor com argumento de serem estudos sem grupo controle. Todos esses estudos são de extrema importância uma vez que todos comprovam a manutenção da estabilidade do ganho funcional apresentado com o tratamento. Além disso, é muito importante que a CONITEC reconheça que esses estudos observacionais estariam cometendo GRAVE TRANSGRESSÃO ÉTICA caso mantivessem um grupo controle sem recebimento do uso de ivacaftor uma vez que o medicamento já havia mostrado eficácia comprovada. Devemos reconhecer que seria inaceitável privar aos pacientes o acesso a um medicamento que comprovadamente altera a história natural da doença. Diante disso, reforçamos a importância de considerar os dados dos estudos abaixo:

- Dryden C, Wilkinson J, Young D, Brooker RJ. The impact of 12 months treatment with ivacaftor on Scottish paediatric patients with cystic fibrosis with the G551D mutation: a review. *Arch Dis Child*. 2016;0:1–3.
- Ronan NJ, Bch MB, Einarsson GG, Twomey M, Mooney D, Mullane D, et al. CORK study in CF: Sustained improvements in ultra-low dose chest CT scores post CFTR modulation with ivacaftor. *Chest*. 2017;
- Kirwan L, Fletcher G, Harrington M, Jeleniewska P, Zhou S, Casserly B, et al. Longitudinal Trends in Real-World Outcomes after Initiation of Ivacaftor A Cohort Study from the Cystic Fibrosis Registry of Ireland. *Ann Am Thorac Soc*. 2019;16(2):209–16.
- Mckone EF, Borowitz D, Drevinek P, Griese M, Konstan MW, Wainwright C, et al. Long-term safety and efficacy of ivacaftor in patients with cystic fibrosis who have the Gly551Asp-CFTR mutation: a phase 3, open-label extension study (PERSIST). *Lancet Respir Med*. 2014;2:902–10.

Gostaríamos de ressaltar a importância deste último estudo que foi o estudo de extensão ao estudo pivotal de ivacaftor que comprova a estabilização da função pulmonar ao longo de pelo menos dois anos após um ganho de mais de 10% de VEF1. Todos os estudos citados acima estão referenciados no próprio documento da CONITEC e devem ser levados em consideração na análise de eficácia

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>do medicamento. Outro aspecto de extrema importância que devemos chamar a atenção foi para a exclusão da análise da referência: Boeck K De, Munck A, Walker S, Faro A, Hiatt P, Gilmartin G, et al. Efficacy and safety of ivacaftor in patients with cystic fibrosis and a non-G551D gating mutation. <i>J Cyst Fibros.</i> 2014;13(6):674–80. Este é o estudo que comprova a eficácia do uso do ivacaftor para outras mutações de gating não-G551D. O argumento da CONITEC para não levar esse estudo em consideração é o fato de possuir apenas 6 meses de acompanhamento. Mais uma vez aqui é importante avaliar o conjunto agregado de informações geradas no processo de desenvolvimento de um medicamento. Estudos prévios com ivacaftor em pacientes com mutação G551D revelaram que os pacientes apresentam rápido ganho de função pulmonar e queda dos níveis de cloreto no suor logo no primeiro mês de avaliação. Além disso, esses resultados permaneceram estáveis por pelo menos dois anos de avaliação. Diante disso, seria futilidade e transgressão ética manter pacientes com comprovado benefício clínico desprovidos de acesso ao medicamento uma vez que os mesmos benefícios clínicos das mutações de gating não G551D foram igualmente obtidas com o tratamento. Soma-se a isso, o fato das mais importantes agências regulatórias internacionais, incluindo a ANVISA, terem aceitado a inclusão em bula da indicação do ivacaftor para estas mutações. Por fim, os estudos de avaliação de vida real do ivacaftor em coortes de pacientes seguidas nos registros internacionais comprovaram que a eficácia do medicamento foi igualmente positiva em pacientes com mutação G551D como nos pacientes com mutações não-G551D. Nenhum dos países que disponibilizou ivacaftor para pacientes com fibrose cística fez restrição para uso exclusivo em pacientes com a mutação G551D (EUA, Irlanda, Nova Zelândia, França, Dinamarca, Países Baixos, Inglaterra, Israel, Irlanda do Norte, Gales, Espanha, Escócia, Áustria, Austrália, Bélgica, Itália, Luxemburgo, Eslovênia, Alemanha, República Checa e Suíça).</p> <p>1) Kirwan L, Fletcher G, Harrington M, Jeleniewska P, Zhou S, Casserly B, et al. Longitudinal Trends in Real-World Outcomes after Initiation of Ivacaftor A Cohort Study from the Cystic Fibrosis Registry of Ireland. <i>Ann Am Thorac Soc.</i> 2019;16(2):209–16. Gostaríamos de ressaltar alguns outros tópicos do documento publicado pela CONITEC que merecem revisão técnico-científica: 1) Na tabela 3, um importante desfecho de eficácia em fibrose cística não foi considerado: exacerbações pulmonares infecciosas. Trata-se de evento extremamente relevante no seguimento desses pacientes uma vez que exacerbações pulmonares infecciosas estão associadas a declínio funcional acelerado, pior qualidade de vida e redução de sobrevida. Este desfecho deve ser considerado como, pelo menos, importante pela CONITEC. E, importante frisar, a resposta robusta que o ivacaftor tem na prevenção de exacerbações pulmonares infecciosas em todos estudos clínicos. 2) O documento da CONITEC comenta uma alta prevalência de eventos adversos nos estudos com ivacaftor. Trata-se de um dado real, porém não deve ser mal interpretado. Esses eventos adversos não estão relacionados ao medicamento em estudo (ivacaftor) e sim à própria doença de base, sabidamente grave e associada a inúmeras complicações. Tanto esse fato é verídico, que o grupo intervenção com ivacaftor apresentou menos eventos adversos que o grupo controle. Achado esse raramente encontrado em estudos de avaliações de novas drogas mostrando tanto a segurança como a eficácia do medicamento. 3) O documento faz uma crítica ao estudo EVISION por não fornecer o processo de randomização, a manutenção do sigilo da alocação e o mascaramento dos pacientes considerando risco de viés grave. Importante ressaltar que apesar desse dado não estar presente no corpo dos métodos do artigo (uma vez que as revistas limitam o tamanho de</p>	

caracteres no artigo), tais dados estão disponíveis no suplemento on-line do manuscrito assim como o protocolo do estudo é disponibilizado em domínio público. 4) O documento reforça a falta de eficácia do ivacaftor no grupo de pacientes entre 6 e 12 anos por não apresentar benefício na qualidade de vida e número de exacerbações. Devemos levar em consideração o conceito de intervenção precoce uma vez que o maior objetivo do tratamento é evitar que o paciente tenha progressão de sua doença e apresente complicações irreversíveis. Os pacientes com idade entre 6 e 12 anos são pacientes sabidamente com melhora capacidade pulmonar e menor risco de exacerbações por apresentarem, ainda, doença mais leve. Entretanto, é válido ressaltar que o intuito do tratamento é exatamente manter os pacientes com esta mesma qualidade de saúde ao longo dos anos futuros. Por apresentarem uma doença mais leve, o poder do estudo para detecção de diferenças na qualidade de vida e exacerbações pulmonares é mais baixo. Isso não significa que o paciente não apresente benefício clínico. Pelo contrário, esse é o paciente que mais se beneficia clinicamente de uma intervenção precoce porque está evitando a progressão de sua doença. Além disso, conforme já discutido anteriormente, esse grupo de pacientes mais jovens apresentaram benefícios clínicos incontestáveis no ganho funcional pulmonar, melhora nutricional e redução dos níveis de cloreto no suor. 5) Gostaríamos de salientar que os dados apresentados no documento da CONITEC, especificamente no seu item 8 (RECOMENDAÇÕES DE OUTRAS AGÊNCIAS DE ATS), encontra-se desatualizado. O medicamento está disponível e é reembolsado por agências governamentais nos seguintes países: EUA, Irlanda, Nova Zelândia, França, Dinamarca, Países Baixos, Inglaterra, Israel, Irlanda do Norte, Gales, Espanha, Escócia, Áustria, Austrália, Bélgica, Itália, Luxemburgo, Eslovênia, Alemanha, República Checa e Suíça. Diante de todos dados acima expostos, é incontestável que o ivacaftor possui eficácia clínica comprovada para pacientes com mutações de gating (G551D assim como as demais incluídas em bula brasileira). Além disso, os benefícios clínicos já foram comprovados e testados por períodos muito mais longos do que 48 semanas. Soma-se a isso, o fato de ser uma droga altamente segura, inclusive relacionada a uma redução no número de eventos adversos.

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 ivacaftor. Além disso, deve-se levar em consideração que o preço sugerido de R\$ 67.000,00 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 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 preciso reforçar que o

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>atendimento da fibrose cística é um dos modelos mais bem estruturados de cuidado a uma doença crônica no país. O manejo desses pacientes inclui a presença de centros de referência em todas regiões do Brasil. Além disso, dispomos de um Registro de pacientes que possui dados confiáveis e anualmente publicados, permitindo uma 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. O ivacaftor (um dos 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. A não incorporação desse medicamento seria um prejuízo incomensurável para os pacientes. Diante disso, sugerimos abaixo algumas indicações adicionais e modelo de acompanhamento dos pacientes, assim como critérios de descontinuação da droga quando apropriado. Indicações adicionais para prescrição da droga (necessário atender aos 3 requisitos):</p> <p>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.</p> <p>B. Ter manifestações da doença respiratória ou comprometimento nutricional (qualquer um dos itens);</p> <ul style="list-style-type: none"> • VEF1 (volume expiratório forçado no primeiro segundo) < 90% do predito OU • Sinais de impactação mucoide/bronquiectasias na tomografia de tórax OU • Exacerbações pulmonares frequentes com necessidade de admissão hospitalar (>2x/ano) OU • Sinusopatia crônica com repercussão clínica (dor facial crônica/recorrente, descarga nasossinusal persistente, polipose nasal ou mucocelos) OU • Desnutrição ou percentil do IMC < 15 OU • Infecção respiratória crônica por bactéria típica da FC (Pseudomonas aeruginosa, Complexo Burkholderia cepacia e/ou Staphylococcus aureus resistente à oxacilina - MRSA). <p>Justificativa: Os efeitos de ivacaftor são de tamanha magnitude que seu uso pode potencialmente evitar o desenvolvimento da doença pulmonar da FC. Desse modo, não se justifica uma indicação mais tardia – ele deveria ser indicado em pacientes com qualquer sinal relevante de doença pulmonar ou sistêmica da FC.</p> <p>C. Ter boa adesão ao tratamento: retirada regular e frequente de medicação no Centro de Atendimento, comparecimento regular às consultas ambulatoriais e de fisioterapia.</p> <p>D. NÃO ter sido submetido a transplante Justificativa: O objetivo do tratamento com os moduladores da CFTR é evitar a progressão da doença. Além disso, existe interação medicamentosa entre o uso dos imunossupressores e os moduladores da CFTR.</p> <p>Avaliação prévia à prescrição: antropometria, avaliação oftalmológica, espirometria, cultura de secreção respiratória, avaliação da função hepática e novo teste do suor (cloridômetro).</p> <p>Avaliação da resposta à medicação:</p> <ul style="list-style-type: none"> • 30 dias: espirometria, antropometria • 3 meses: teste do suor (cloridômetro), espirometria, antropometria, avaliação da função hepática <p>OBS: Caso o</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>paciente apresente uma exacerbação pulmonar infecciosa nos primeiros 3 meses de tratamento, a reavaliação será postergada por 30 dias, mantendo o uso da medicação. Critérios de resposta satisfatória à medicação para continuidade do tratamento (qualquer um dos itens):</p> <ul style="list-style-type: none"> • Redução de pelo menos 30 mmol/L na dosagem de cloretos no suor (cloridrômetro). • Aumento do VEF1 igual ou superior a 5% do valor prévio. <p>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> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>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.</p> <p>2ª - Sim, Rápida melhora no quadro clínico (aumento da função pulmonar, e ganho de peso); qualidade de vida</p> <p>3ª - Sim, Nenhuma vida tem preço, todos tem direito ao acesso as medicações.</p> <p>4ª - Sim, Nenhuma vida tem preço, todos tem direito ao acesso as medicações.</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Apesar de ser medicamento de alto custo, o benefício clínico para os poucos pacientes que são elegíveis para uso de IVACAFTOR é comprovadamente magnífico. Trata-se de doença que está na triagem neonatal, onde esses pacientes não podem ter suprimido o acesso a medicação tão importante.</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	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 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. De acordo com a literatura o uso destas drogas melhoram a função pulmonar e pancreática, o estado nutricional, diminuem o número de exacerbações, internações e a indicação de transplante pulmonar. Desta forma melhoram a qualidade de vida e sobrevida destes pacientes. Cabe ressaltar que 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>2ª - Sim, Segundo a literatura: Estudo randomizado multicêntrico de fase 3 de 161 indivíduos com 12 anos de idade ou mais com uma mutação G551D, o ivacaftor por 24 semanas melhorou o percentual médio previsto do volume expiratório forçado previsto em um segundo (VEF1) em 10,4%, comparado com um declínio de 0,2% nos indivíduos recebendo um placebo (p <0,001) O Ivacaftor também diminuiu os valores de cloreto de suor em 48,1 mmol / L em comparação com o grupo placebo (p <0,001), elevando o valor médio no grupo ivacaftor para 51,7 mmol / L, abaixo do ponto de corte de 60 mmol / L O tratamento com ivacaftor reduziu a frequência de exacerbações pulmonares (redução de 55% no risco), melhorou os sintomas pulmonares e resultou em um ganho de peso significativo de 2,7 kg após 48 semanas de tratamento. A frequência de eventos adversos graves foi menor no grupo ivacaftor do que nos pacientes tratados com placebo.(1) . Outro estudo randomizado, cego, controlado por placebo, de 52 indivíduos com idades entre 6 e 11 anos e com pelo menos uma mutação G551D CFTR encontrou melhoras semelhantes na função pulmonar.(2) Os efeitos benéficos foram observados por pelo menos por três anos de tratamento com ivacaftor (3) Após 36 meses de tratamento, a mudança absoluta no VEF1 foi de aproximadamente 10 pontos percentuais em comparação com a linha de base, e os pacientes também apresentaram melhora no peso corporal e uma taxa reduzida de exacerbações pulmonares. Além disso, o declínio da função pulmonar ao longo dos três anos de tratamento foi 50% mais lento do que em um grupo de comparação de pacientes com mutações homozigotas F508del que não foram tratadas com ivacaftor (4) Outro estudo, coletou dados clínicos e laboratoriais prospectivamente de 151 indivíduos antes e depois de um, três e seis meses após o início do tratamento com o ivacaftor Observou-se rápidas melhoras no VEF1 e no ganho de peso, inclusive entre indivíduos com doença relativamente leve no início do estudo. Comparando os períodos de seis meses antes e após o início do ivacaftor, a frequência de hospitalizações diminuiu 19,1% e a porcentagem de indivíduos com pelo menos uma cultura positiva de Pseudomonas aeruginosa diminuiu 18,8%. Além disso, o tratamento com ivacaftor melhorou a depuração mucociliar e da tosse. Finalmente, o pH duodenal aumentou dentro de um mês após o tratamento com ivacaftor, evidenciando a melhora do CFTR no canal de bicarbonato (5,6) .Rowe SM, et al observaram os efeitos a longo prazo do ivacaftor usando dados de registro dos Estados Unidos e do Reino Unido, comparando com um grupo controle. Aqueles nos Estados Unidos em uso de ivacaftor apresentaram menores riscos de morte (0,6 versus 1,6%), hospitalizações (27,5 versus 43,1%) e transplantes (0,2 versus 1,1%), e resultados semelhantes foram observados no Registro do Reino Unido.(7) Outro estudo de registro do Reino Unido relatou menor prevalência de P. aeruginosa entre pacientes tratados com ivacaftor, com menores taxas de aquisição e maiores taxas de depuração(8) Em 2017, a lista de mutações foi ampliada pela FDA adicionando 28 mutações com função residual, baseadas principalmente em testes in vitro de resposta ao ivacaftor (9) As mutações adicionadas incluem algumas que permitem a função residual da CFTR e estão associadas a um fenótipo mais suave da FC, por exemplo, suficiência pancreática. Aproximadamente 10% dos</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>pacientes no registro de pacientes da Fundação CF têm pelo menos uma das mutações agora aprovadas pelo FDA para ivacaftor. Crianças pequenas - Como o dano pulmonar na FC geralmente começa na primeira infância, foram realizados estudos para determinar se o ivacaftor é seguro para crianças pequenas. Um estudo aberto de 24 semanas de ivacaftor administrado a 34 crianças de 2 a 6 anos descobriu que ele tinha um perfil de segurança semelhante ao de grupos etários mais velhos. Os eventos adversos mais comuns foram tosse (56 por cento) e vômito (29 por cento). Cinco pacientes (15 por cento) tiveram elevações nas enzimas hepáticas para > 8 vezes o limite superior do normal, necessitando de interrupção do tratamento com ivacaftor. Cada um desses pacientes tinha um histórico de elevações semelhantes antes do ivacaftor, e o tratamento foi retomado com sucesso em quatro dos cinco pacientes. Embora o estudo não tenha sido projetado para medir a eficácia da doença pulmonar por FC, houve uma diminuição significativa no cloreto de suor (-46,9 mmol / L) e aumentos no peso corporal.(10) Outro estudo subsequente com 19 crianças de 12 a 24 meses que receberam ivacaftor por 24 semanas relatou que o cloreto de suor diminuiu de 104,1 para 33,8 mmol / L (11). Em 2019, o FDA reduziu a idade mínima de aprovação do ivacaftor para seis meses em pacientes com qualquer uma das 10 mutações gating, com base nos resultados de um ensaio clínico de 24 semanas com 11 participantes com idade entre 6 meses e 1 ano (NCT02725567) (tabela 2B) . Em um relatório preliminar, o perfil de segurança foi considerado semelhante ao observado em crianças mais velhas . O cloreto de suor dos seis participantes também diminuiu em 24 semanas (12)</p> <p>3ª - Sim, Cabe ressaltar que o custo com essas novas drogas são compensados com a diminuição do custo hospitalar e desoneração do gasto público a partir dos benefícios gerados por elas.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo. Estou apostando que esse tratamento vai regularizar mais minha doença .</p> <p>2ª - Sim, 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>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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Melhorar as condições de vida para o filho de minha e de todas as 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. Tenho dois primos com fibrose cística, um usa o medicamento e apresenta melhorias notáveis, o outro não uso e continua tendo tremendas dificuldades no tratamento. precisamos de um novo tratamento rápido!</p> <p>2ª - Sim, Tenho dois primos com fibrose cística, um usa o medicamento e apresenta melhorias notáveis, o outro não uso e continua tendo tremendas dificuldades no tratamento. precisamos de um novo tratamento rápido!</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>	

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	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 beneficiá-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 genotipagem realizada 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 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 por unidade não ter profissional de Fisioterapia. Ambulatórios de fisioterapia em nosso estado é escasso, 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. Todos que não tiveram a chance de uma nova medicação. Tive uma paciente de 47 anos, que acompanhei durante 5 anos e que fez em uso dessa medicação após ter participado de uma pesquisa clínica realizada em Israel. Antes do uso sua função pulmonar estava em 42%, realiza 2 internações por ano e já estava sem qualidade de vida, pois não conseguia mais se locomover com facilidade pelo cansaço respiratório, deixando sua vida social. Era bastante secretiva e mesmo com todo tratamento não conseguia parar a progressão da doença. Após o primeiro mês de uso do Kalydeco, sua função subiu para 48%, o aspecto da secreção ficou mais fluida e quase ausente, ganhou peso corporal. Suas atividades diárias começaram a serem restabelecidas aos poucos. Essa medicação normaliza o funcionamento celular e diminui os sintomas da doença. Melhora função pulmonar e promove mais qualidade de vida. Está a 2 anos sem realizar internações. 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</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>dessas medicações, uma vez que já é comprovada sua efetividade. Alguns pacientes já não respondem aos antibióticos realizados na internação e onível de infecção é bem alto. A pesquisa bibliografica realiza pela empresa está coerente e ampla em todos seus aspectos. Quando se aborda a questão do tratamento proposto hoje pelo SUS, gostaria de reinterar que a Fisioterapia Respiratória não é ofertada no serviço público. Assim como também há falta constante das medicações e suplementos considerados essenciais, A 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 a família. 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.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, É meu dever enquanto profissional da saúde lutar para que esses pacientes tenham tratamento digno e contribuir para sua qualidade de vida.</p>	
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 substancial melhora na qualidade de vida, ganhou peso e já apresenta melhora na capacidade pulmonar. Por outro lado, a irmã vem sofrendo cada vez mais maiores complicações, enquanto aguarda o medicamento.</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 as comprovações e estimativas de melhoria da qualidade de vida e aumento da sobrevida dos referidos pacientes com a administração de ivacaftor associado ao tratamento padrão; considerando a ausência, até o presente, de tratamentos que visem a cura da doença; considerando a plena condição neurológica, cognitiva, capacidade produtiva e alta taxa de adesão aos tratamentos observada entre os pacientes com Fibrose Cística; clama-se pela incorporação desta medida inovadora como oportunidade de vida com qualidade para centenas de pessoas.</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. Sou pai e desde que nasceu minha filha nasceu toma inúmeros medicamentos ao longo do dia, faz muitas inalações para manter o pulmão limpo e sem bactérias, vemos os efeitos colaterais que isso causa no organismo do paciente, tem também a falta do convívio social que por estarem o tempo todo voltado ao tratamento a vida acaba sendo mais curta. Precisamos dessa medicação para que nossos filhos possam sentir o que “ é ser normal “. São muitas internações ao longo do ano, perdendo aulas e até o ano muitas vezes, trazendo consigo depressão, ansiedade e junto com tudo isso o tratamento psicológico. Isso tudo gera um desgaste físico e mental, sofremos com financeiro, pois precisamos estar disponíveis para ajudá-los nos momentos de uma internação longa e também precisamos trabalhar para mantermos nossa casa em ordem. No geral não temos apenas um paciente doente e sim uma família doente, visto que entramos em varias questões quando alguém adoece, falamos do físico, material, sentimental, financeiro. Precisamos de uma inovação, precisamos de uma qualidade de vida melhor para nossas crianças, como seria viver a vida vegetando enquanto temos medicamentos que promete mudar o quadro geral</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	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 Unidos pela Vida representa, elaboramos o documento anexó à pergunta 10 e 19, fundamentando com veemência nossa DISCORDÂNCIA do parecer preliminar desfavorável à incorporação do medicamento IVACAFITOR para pacientes acima de seis anos que apresentem uma das mutações gating (classe III) descritas. Nossa argumentação no documento visa problematizar exaustivamente 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.</p> <p>2ª - Sim, Conforme apresentamos detalhadamente no documento anexo à pergunta 10, desde o registro do Ivacaftor junto ao FDA, inúmeros trabalhos científicos vêm destacando a eficácia e segurança desse medicamento que trouxe mudanças significativas na vida dos pacientes elegíveis e de seus familiares. Lopes-Pacheco em artigo de revisão afirma: “Ivacaftor está no mercado por mais de sete anos já, transformando a vida de pacientes com benefícios que se sustentam no tempo”. Dentro deste documento fazemos uma lista desses benefícios, além de outros importantes destaques científicos e de relatos de vida real. Estudos relatados no trabalho de Lopes-Pacheco nessa ampla revisão apontam que os benefícios associados ao uso do IVACAFITOR, se apresentam também naqueles pacientes com doenças de base mais graves e também em outras gating mutations para além da G551D.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Além de trazer no documento anexo à pergunta 19 questões relativas à evidências clínicas e contestar pontos apresentados no relatório de recomendação preliminar, apresentamos também dados que objetivam 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.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

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> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo. Tenho uma neta com Fibrose Cística e esse remédio disponível no SUS seria de grande valia para o tratamento dos nossos ente querido</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 - Concordo. Minha neta é portadora de Fibrose Cística e esse remédio seria mais uma ajuda para o tratamento dessa doença;</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	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. O tratamento com Ivacaftor leva à redução das exacerbações pulmonares, melhora da curva pondero-estatural, melhora do VEF1. Os estudos STRIVE e ENVISION deixam claro os benefícios do tratamento.</p> <p>2ª - Sim, Stalvey em análise post-hoc, apesar de não haver grupo controle, evidencia a melhora pondero-estatural com o tratamento com Ivacaftor. Como o estado nutricional tem impacto direto na sobrevida, é provável o incremento na sobrevida com Ivacaftor.</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	Interessado no tema	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 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
31/08/2020	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Pacientes precisam ter a chance de um tratamento digno para que possam viver bem sem exacerbações, internações e com qualidade de vida pq ninguém nasce nessa vida querendo ter doença nenhuma, mas se podemos ter o mínimo então que assim seja feito. 2ª - Sim, Há evidências comprovadas que esses medicamentos melhoram é muito a vida dos pacientes, precisamos urgente disponibilizarmos aos pacientes pra que eles possam seguir suas vidas normalmente, como qualquer ser humano. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Paciente	<p>1ª - Discordo. Com acesso ao novo medicamento teremos mais qualidade de vida, redução das exacerbações pulmonares e maior controle da evolução da doença pulmonar com redução das internações. Consequentemente teremos mais qualidade de vida, melhor prognóstico e expectativa de vida.</p> <p>2ª - Sim, Os pacientes que tiveram acesso ao medicamento em outros países vem evoluindo com maior controle dos sintomas, menos exacerbações pulmonares com menores índices de indicação clínica de internações e antibiótico oral. Consequentemente melhor prognóstico e maior expectativa de vida.</p> <p>3ª - Sim, Embora o medicamento seja de auto Custo, os pacientes que fazem uso em outros países têm tido melhor controle da evolução da doença pulmonar com redução das internações e de uso de antibioticoterapia oral. Assim haverá menos gastos com internações, antibióticos e medicamentos que tratam os sintomas da doença. Resultando em uma economia final aos cofres públicos.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Estudos robustos mostraram evidência significativa de pacientes em tratamento há mais de 1 ano, onde observou-se que, os pacientes tiveram ganho de função pulmonar, ganho de IMC, menores valores de cloreto no suor, menor risco de morte, transplante pulmonar, hospitalização e exacerbação pulmonar em relação aos que não utilizavam Ivacaftor.</p> <p>2ª - Sim, Estudos robustos mostrando o grande impacto na melhoria de sobrevida e esperança de vida, além de melhor qualidade de vida. Essas variáveis com certeza impactam na diminuição de gastos governamentais.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</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>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Todos os medicamentos que são usados até então são paliativos para a doença. Esta seria uma chance de estabilizar a mesma fazendo o tratamento direto no defeito genético de cada paciente. O uso desse medicamento poderia com o tempo suspender todos os demais remédios usados, havendo uma melhora do quadro, o que já é comprovado em estudos.</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, Vários estudos já demonstraram que o uso do Ivacaftor em portadores da mutação G551D , R117H e outras mutações da classe III mostra efeitos relevantes na redução dos níveis de cloro no suor, ganho ponderal, melhora significativa na função pulmonar, com aumento no VEF1 em média de 10% além da redução do número de exacerbações e melhora na qualidade de vida dos pacientes. Acredito que, com critérios objetivos definidos pelas sociedades e pelo grupo brasileiro de estudos em FC, tal medicamento poderá ser utilizado de forma consciente, de forma a ser avaliado com cautela quanto aos resultados de forma individualizada, sendo considerados de forma clara a avaliação quanto ao benefício de se manter ou descontinuar o tratamento quando indicado.</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. Precisamos urgente dessas medicações para que nossos filhos e pacientes sejam beneficiados de maior qualidade de vida que sua doença seja estabilizada e que diminuam ou até fiquem nulas as exacerbações e com isso possam ter suas vidas restabelecidas, e vivam normalmente e felizes. Por que todos merecemos viver com dignidade.</p> <p>2ª - Sim, Melhora indiscutível na qualidade de vida, diminuição ou até anulação das exacerbações ganho de peso entre outros.</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 - Discordo 2ª - Não 3ª - Sim, 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 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	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. A medicação estabiliza a função pulmonar, melhora a qualidade de vida para a realização das atividades de vida diária 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	Profissional de saúde	1ª - Discordo. A medicação deve sim ser incorporada pois é a única medicação que é capaz de tratar a causa da Fibrose Cística que é a deficiência da proteína CFTR. 2ª - Sim, Em anexo. Já existe a incorporação em outros países desde 2012, a medicação é aprovada pela ANVISA, e apresenta excelentes resultados clínicos nos pacientes elegíveis para o uso da medicação. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	Clique aqui

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 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. 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 que o Ivacaftor tem alta eficiência com melhora substancial na qualidade de vida, capacidade respiratória, queda significativa na ocorrência de exacerbações pulmonares, melhora no ganho de peso e redução do cloro no suor a níveis de normalidade. Resultando numa drástica redução da mortalidade dos pacientes, o que poderia agregar 32 anos de vida aos pacientes. Os estudos observacionais trazem análise de longo prazo e grande população, tirando qualquer dúvida científica e metodológica sobre a eficiência e segurança do medicamento, com desfechos clínicos EXTRAORDINÁRIOS. O medicamento atende uma gama de pacientes de Fibrose Cística que não podem ter os anos e a qualidade de vida desejada apenas com o Tratamento Padrão disponível hoje no SUS, assim a incorporação do Ivacaftor é de suma importância tendo em vista todos os benefícios listados neste trabalho. Com a adequação da sobrevida média prevista com o Tratamento Padrão, o cálculo do QALY incremental com a intervenção do 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 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 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 de outros países, constata-se que o sistema público de saúde destes países invariavelmente incorporaram o 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 como a Fibrose Cística, ter sua evolução interrompida pelo uso do medicamento Ivacaftor é uma necessidade urgente. Muitos pacientes em uso do Ivacaftor em outros países apresentam recuperação de condições de saúde que já haviam perdido. NÃO incorporar o IVACFTOR ao tratamento dos pacientes elegíveis é NEGAR seu direito à vida e à saúde garantidos na Constituição Brasileira. Temos a necessidade e direito ao tratamento 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 Adolescente, Lei Federal 8069/90, onde se encaixam a grande maioria dos pacientes, em seu Art 3o Parágrafo Único "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, deficiência..." e no Art 4o "...</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>da sociedade em geral e do poder público assegurar, com absoluta prioridade, a efetivação dos 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.” NEGAR o 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. 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 no capítulo 7 do documento anexo.</p> <p>3ª - Sim, A avaliação econômica está no capítulo 8 do documento anexo.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, As demais contribuições estão nos capítulos 1 ao 6 e do 9 ao 12 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	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. Precisamos salvar vidas!!!</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	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O 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	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</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. Não há nenhuma medicação parecida que faz tanta diferença na vida dos portadores de 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
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, Os pacientes tratados com ivacaftor apresentaram: função pulmonar mais bem preservada, melhora do estado nutricional, frequências significativamente mais baixas de exacerbações e hospitalizações, tendências favoráveis na prevalência de Diabetes relacionadas a FC e controle na colonização por P. Aeruginosa. Em anexo, segue o estudo que apresentou esses resultados.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</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. O tratamento disponibilizado pelo SUS (enzimas pancreáticas, mucolítico - dornase alfa, antibióticos orais/inalatórios/endovenosos, anti-inflamatórios, fisioterapia) é essencial para mudança de história natural e sobrevida dos pacientes, porém é INSUFICIENTE para evitar ou desacelerar de forma significativa a progressão da doença e mudar seu prognóstico no nosso País, tal como já aconteceu em outros países em virtude da utilização dos moduladores: redução de complicações (exacerbações, desnutrição, perda funcional pulmonar), melhora na qualidade de vida e sobrevida, com impacto direto em mortalidade.</p> <p>2ª - Sim, Desde o registro do Ivacaftor junto ao FDA, inúmeros trabalhos científicos vêm destacando a eficácia e segurança desse medicamento que trouxe mudanças significativas na vida dos pacientes elegíveis e de seus familiares. Lopes-Pacheco em artigo de revisão afirma: "Ivacaftor está no mercado por mais de sete anos já, transformando a vida de pacientes com benefícios que se sustentam no tempo". Abaixo fazemos uma lista desses benefícios. Estudos relatados no trabalho de Lopes-Pacheco nessa ampla revisão apontam que os benefícios associados ao uso do IVACAFITOR, se apresentam também naqueles pacientes com doenças de base mais graves e também em outras gating mutations para além da G551D:- Significativa redução de cloreto de sódio no suor, para alguns atingindo o que é considerado nível normal (ou seja: chega até a normalização do funcionamento do canal CFTR in vivo)- Significativo aumento na função pulmonar- Redução do número de exacerbações pulmonares- Redução na detecção de infecção por Pseudomonas aeruginosa- Redução da esperada e progressiva perda de função pulmonar ao longo do tempo- Melhora no índice de massa muscular- Melhora no índice de desempenho em exercícios e nos testes de bem-estar e qualidade de vida- Melhora no clearance mucociliar- Melhora na função pancreática- Redução no nível de biomarcadores inflamatórios no sangue.</p> <p>3ª - Sim, Essencial calcular quanto é gasto para tratar cada complicação que ocorre com o paciente pela evolução e agravamento da doença (exacerbação, desnutrição, comorbidades ósseas/endocrinológicas/hepáticas/gastrointestinais/psicológicas e psiquiátricas). Apenas na questão exacerbação, quando necessário internamento:- Média de 14-21 dias de internamento: qual o valor da diária hospitalar?- 14-21 dias de antibiótico endovenoso: qual o valor acumulado?- Atendimento diário de equipe multidisciplinar (médico, enfermagem, nutrição, fisioterapia e por vezes até psicologia)- Exames laboratoriais, de imagem e função pulmonar durante o internamento Enfim, com todas as evidências de benefícios já citados (inclusive no tópico acima sobre "evidências clínicas"), qual o valor que deixaria de ser gasto a longo prazo considerando tudo que seria gasto com complicações que serão evitadas?</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</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 medicação já usada pelos pacientes, n estão curando os mesmo, pós só ajudam com o tratamento e ameniza os sintomas da doença! A maioria dos pacientes não podem pagar pelo medicamento e com a ajuda do governo seria melhor para todos! Além de salvar as vidas de milhares de pacientes!</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	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>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O Ivacaftor é comprovadamente eficaz e impacta sobre a função pulmonar, nutrição e qualidade de vida de pacientes portadores da mutações citadas. O próprio relatório reconhece que o Ivacaftor apresenta eficácia no tratamento da mutação G551D. O parecer desfavorável parece ter sido influenciado apenas pela avaliação econômica, porém, como também consta no relatório, trata-se de doença rara e, as mutações citadas, mais raras ainda, o que limita muito o impacto orçamentário.</p> <p>2ª - Sim, Os resultados do uso de ivacaftor em pacientes com a variante G551D foram extremamente positivos, com incrementos de função pulmonar (VEF1) na faixa de 10%, redução dos valores de cloretos no suor ao redor de 50mmol/L, ganho ponderal e redução significativa das exacerbações pulmonares, quando comparados ao grupo que recebeu placebo (1-3). Estudos de extensão do uso de ivacaftor para pacientes com variantes dessas classes (não G551D), incluindo G178R, S549N, S549R, G551S, G970R, G1244E, S1251N, S1255P ou G1349D mostraram resultados muito semelhantes, mesmo em indivíduos com apenas um alelo dessas variantes, em associação a outras variantes de função mínima como a F508del 12. Os resultados de segurança foram bastante positivos, sendo a toxicidade hepática o principal aspecto a monitorizar (1-4).</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.</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. A SPDF apoia as recomendações e critérios para a indicação e para descontinuidade do uso do Ivacaftor, proposta pelo GBEFC: O pedido de incorporação à CONITEC do medicamento Ivacaftor inclui os seguintes requisitos: Pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos Peso superior a 25</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>kg,Perlo menos uma cópia de uma das seguintes variantes: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R. 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 (volume expiratório forçado no primeiro segundo) < 90% do predito OUSinais de impactação mucoide/bronquiectasias na tomografia de tórax OUExacerbações pulmonares frequentes com necessidade de admissão hospitalar (>2x/ano) OUSinusopatia crônica com repercussão clínica (dor facial crônica/recorrente, descarga nasossinusal persistente, polipose nasal ou mucocelos) OUDesnutrição ou percentil IMC < 15 OUIncidência de infecção respiratória crônica por bactéria típica da FC (Pseudomonas aeruginosa, Complexo Burkholderia cepacia e/ou Staphylococcus aureus resistente à oxacilina - MRSA).Justificativa: Os efeitos de ivacaftor são de tamanha magnitude que seu uso pode potencialmente evitar o desenvolvimento da doença pulmonar da FC. Desse modo, não se justifica uma indicação mais tardia – ele deveria ser indicado em pacientes com qualquer sinal relevante de doença pulmonar ou sistêmica da FC. 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: Comprimido revestido contendo Ivacaftor, na apresentação de 150 mg.Posologia: 1 comprimido de 150 mg tomado por via oral, em intervalos de 12 horas (dose diária total de 300 mg), com alimentos que contenham gordura.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 30 dias, mantendo o uso da medicação. Critérios de resposta satisfatória à medicação para continuidade do tratamento (qualquer um dos itens):Redução de pelo menos 30 mmol/L na dosagem de cloretos no suor (cloridrômetro).Aumento do VEF1 igual ou superior a 5% do valor prévio.Adesão ao uso dos medicamentos e fisioterapia respiratória.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>	
	5ª - Não		

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	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Nossa experiencia com os novos medicamentos em fase inicial de comercialização no exterior para tratamento da Fibrose cística (FC) é acadêmica, tem sido como pesquisador, não temos pacientes em nosso Centro especializado de Referencia em FC fazendo uso de produtos comerciais. Temos dois estudos experimentais (tese de doutorado e outro dissertação de Mestrado) com sais básicos dos produtos em consulta um concluído e publicado outro em andamento que será anexado nesta consulta pública. Ambos estudos "in-Vitro" o primeiro utilizando culturas em 2D de células epiteliais brônquicas, obtidas de pulmões explantados de pacientes com FC submetidos a TX de pulmões e Células epiteliais Nasais também de pacientes com FC acompanhados em nosso Centro. Outro trabalho de cultura em 3D com "Organóides Intestinais de pacientes com FC acompanhados em nosso centro. Ambos estudos subsidiados por órgãos de fomento (FAPESP e FAEPEX). Ambos trabalhos apontam ganhos de função da proteína em condições específicas relacionadas a tipo do defeito básico</p> <p>2ª - Sim, O ganho de função da proteína ausente ou com déficit de função, obtido com o uso dos medicamentos propostos e acompanhado por melhora das manifestações clinicas, deverá ser o indicativo para manutenção ou não do tratamento instituído e supervisionados por centros especializados de referencia.</p> <p>3ª - Sim, O Custo de medicamentos bem indicados, com controle de evolução em centros de referencia credenciados será menor a longo prazo que o custo doença lentamente progressiva não controlada.</p> <p>4ª - Sim, Hoje no Brasil temos um Grupo de Estudos de Fibrose Cística (GBEFC), com Um Registro de Pacientes desde 2009, com dados importantes que permitiria estabelecer uma previsão orçamentária anual otimizando recursos. Acredito que o problema da distribuição de medicamentos de alto custo, não reside no custo e sim nos critérios para o uso, manutenção quando associado a bons resultados ou suspensão quando associado a não benefício.</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</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	Outra	<p>1ª - Discordo 2ª - Sim, 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. . Não há, no Brasil, nenhuma tecnologia que trate o defeito básico associado a Fibrose Cística. Tudo o que há disponível visa, apenas, tratar as consequências da doença, o que agrega melhora limitada para o paciente, que persiste com mortalidade precoce. As evidências do Ivacaftor são inegáveis, devendo o medicamento ser prescrito a todos os pacientes que apresentem mutações consideradas responsivas.</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, 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 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 mal absorção de gorduras, desnutrição, dificuldade de ganho de peso e déficit pôndero-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, 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 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</p>	

permanecer em casa, fora do hospital. Em março deste ano, perdemos um paciente de 22 anos, 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, melhorar de forma significativa a função pulmonar, 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 Ivacaftor, foi aprovado pelo FDA, em 2012, nos Estados Unidos. Ele foi o primeiro modulador da proteína CFTR lançado, destinado a corrigir defeitos da proteína CFTR do tipo “gating”, causadas por alguns tipos de mutações, como G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N OU S549R. Esta medicação, já em uso há 8 anos nos EUA, é capaz de corrigir a consequência do erro genético destas mutações, restaurando a função da proteína CFTR e, dessa forma, revertendo a alteração celular relacionada a doença. Foi a primeira vez que um medicamento se mostrou efetivo no tratamento da causa e não, apenas, das consequências fisiopatológicas da Fibrose Cística. Nestes 8 anos após seu registro nos EUA, diversos trabalhos destacaram a eficácia e segurança deste medicamento, com mudança significativa na vida tanto de pacientes quanto de suas famílias. Estes benefícios mantêm-se no decorrer do tempo e foram relatados por pacientes de diferentes gravidades de doença. A maior prova de sua eficácia é a capacidade de normalizar os valores do cloreto no suor, que se encontram aumentados no paciente com Fibrose Cística (o teste do suor é o exame diagnóstico padrão-ouro para avaliar a função da proteína CFTR). Além disso, na população que se enquadra na indicação do ivacaftor, houve não só estabilização, mas aumento significativo de função pulmonar, redução de exacerbações, melhora do peso e da massa muscular, assim como da capacidade física e da qualidade de vida. Além disso, houve descrição de melhora de função pancreática, de marcadores inflamatórios e redução da colonização por *Pseudomonas aeruginosa*. O Ivacaftor é indicado para as mutações G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N OU S549R. Aqui cabe pontuar que a Fibrose Cística é uma doença genética complexa, causada por mais de 2000 mutações, em diferentes combinações. As variantes tratadas pelo Ivacaftor correspondem a um número muito pequeno de pacientes no mundo, de forma que se torna impossível a realização de ensaios clínicos randomizados e estudos duplo-cego com número muito grande de pacientes. A aprovação do ivacaftor foi baseada nos resultados de dois ensaios clínicos, randomizados e com grupos de controle, em pacientes com G551D. Mais adiante, houve a aprovação para pacientes com qualquer uma das nove mutações investigadas, também baseada em dados de ensaios clínicos. Isso aconteceu porque nessas subpopulações, para além daquela das pessoas com G551D, existia uma quantidade de pacientes suficiente, em cada uma delas, para a realização de um ensaio clínico, mesmo com muitos desafios. Contudo, organizar ensaios clínicos naquelas mutações raras de subpopulações com poucos indivíduos, torna-se inviável. Assim, não se pode restringir o uso do Ivacaftor a uma só mutação, quais seja G551D, que no Brasil é apresentada por apenas 11 pacientes,

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>com o argumento de não haver embasamento científico suficiente. O Ivacaftor é usado há 8 anos nos EUA e, também, em outros países, como Canadá, Austrália, Espanha, Dinamarca, Alemanha, Escócia, Reino Unido, França, com resultados reais e impacto jamais visto na vida e na sobrevivência de um paciente com Fibrose Cística. 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 ivacaftor são suficientes para justificar sua aprovação de uso pela CONITEC, mediante indicação correta, feita por centros de referência em tratamento, baseada em genotipagem e com acompanhamento periódico dos resultados e comprovação de aderência do paciente ao tratamento. Consideramos seu uso indispensável para os pacientes portadores de mutações responsivas, constituindo falha no adequado tratamento do paciente sua não prescrição, diante dos efeitos clínicos absolutamente irrefutáveis.</p> <p>Referências</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Athanazio RA, Filho LVRFS, Vergara AA, Ribeiro AF, Riedi CA, Procianny 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://portalgbefc.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. Paranjape SM, Mogayzel PJ. Cystic fibrosis in the era of precision medicine. Paediatric Respiratory Reviews 25 (2018) 64-72. 5. Hebestreit H, Sauer-Heilborn A, Fischer R, Käding M, Mainz J. Effects of ivacaftor on severely ill patients with cystic fibrosis carrying a G551D mutation. Journal of Cystic Fibrosis; 2013, 12599–603. 6. Boeck KDe, Munck A, Walker S, Faro A, Hiatt P, Gilmartin G, Higgins M. Efficacy and safety of ivacaftor in patients with cystic fibrosis and a non-G551D gating mutation. 7. Durmowicz AG, Lim R, Rogers H, Rosebraugh CJ, BA. The U.S. Food and Drug Administration's Experience with Ivacaftor in Cystic Fibrosis Establishing Efficacy Using In Vitro Data in Lieu of a Clinical Trial. 8. Filho LVRFS, Athanazio RA et al., Extensive. CFTR sequencing through NGS in Brazilian individuals with cystic fibrosis: unravelling regional discrepancies in the country, Journal of Cystic Fibrosis; 2020, August, 17. DOI:https://doi.org/10.1016/j.jcf.2020.08.007 <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Todas as pessoas têm direito à vida e à saúde. É um direito garantido pela Constituição Federal. Esse medicamento é o único no mundo, por enquanto que estaciona a doença que é crônica e leva o portador à morte.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Sim, Neste estudo de dados de registro de FC do mundo rea realizado na Irlanda com 36 meses de observação, os resultados clínicos melhoraram e a utilização de recursos de saúde diminuiu após o início do ivacaftor.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	<p>Clique aqui</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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Esse medicamento é muito promissor para o tratamento de quem sofre com a doença, dito isso, seria ótimo tê-los em mãos para tratar de quem realmente necessita.</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. A FC é uma doença genética com acometimento de diversos órgãos e sistemas devido a alteração de uma proteína de membrana, a CFTR, que funciona como um canal de sódio e cloro. Leva a insuficiência pancreática exócrina, má absorção de nutrientes, doença pulmonar crônica progressiva, além de outras complicações que levam a uma redução importante da expectativa de vida. Atualmente não existe medicação no Brasil para a correção dessa proteína, sendo feito tratamento para as manifestações com reposição de enzimas pancreáticas, inaladores com mucolíticos, reposição de nutrientes por suplementos nutricionais e vitaminas, antibióticos, orais, inalatórios e endovenosos para as infecções pulmonares que são comuns, além de fisioterapia respiratória diária. O tratamento é intensivo e exaustivo mas ainda assim não impede a evolução da doença que é progressiva muitas vezes levando o paciente a um transplante pulmonar ou morte precoce. O Ivacaftor é um tratamento muito promissor, tendo demonstrado ótimos resultados em diversos estudos com melhora da função pulmonar, redução do cloro no suor, melhora do ganho ponderal e redução das exacerbações pulmonares. Como médica, faço parte de um Centro de Referência de FC e vejo como a evolução da doença é dura e cruel com os pacientes. Muitos ainda muito jovens apresentam manifestações de doença pulmonar importante o que leva a um prognóstico muito ruim. Acredito que o ivacaftor pode apresentar uma chance para esses pacientes de ter uma vida com melhor qualidade e perspectivas.</p> <p>2ª - Sim, Os resultados iniciais do uso de ivacaftor em pacientes com a variante G551D foram extremamente positivos, com incrementos de função pulmonar (VEF1) na faixa de 10%, redução dos valores de cloreto no suor ao redor de 50mmol/L, ganho ponderal e redução significativa das exacerbações pulmonares, quando comparados ao grupo que recebeu placebo. Estudos de extensão do uso de ivacaftor para pacientes com variantes dessas classes (não G551D), incluindo G178R, S549N, S549R, G551S, G970R, G1244E, S1251N, S1255P ou G1349D mostraram resultados muito semelhantes, mesmo em indivíduos com apenas um alelo dessas variantes, em associação a outras variantes de função mínima como a F508del. Os resultados de segurança foram bastante positivos, sendo a toxicidade hepática o principal aspecto a monitorizar. Ivacaftor está em uso por pacientes com variantes elegíveis em diversos países da Europa e América do Norte, além da Austrália. Já estão disponíveis estudos de vida real com o uso continuado dessa droga, demonstrando seu enorme impacto na saúde dos pacientes</p> <p>3ª - Sim, Apesar do valor da medicação ser elevado, deve-se levar em consideração a redução de gastos com internações e tratamentos para as exacerbações e complicações. As internações são muito frequentes e prolongadas gerando também um alto custo para o sistema de saúde, que poderia ser poupado com uma medicação que freasse a evolução da doença</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Sim, Um ponto importante é pensar na melhora da qualidade de vida desses pacientes e também de suas famílias. Uma chance para que essas pessoas possam ter uma vida longa e com qualidade, podendo ter esperanças de um futuro feliz. Já existem estudos de vida real, de pacientes em uso dessa medicação, mostrando o impacto positivo na saúde e vida desses pacientes.</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O IVACAFTOR mudou dramaticamente o curso clínico da FC naqueles que têm a sorte de ter acesso a eles, essas evidências estão descritas nos relatos de vida real. Em nosso serviço, temos 3 pacientes em uso já descritos no relato institucional da UERJ, com resultados transformadores. São pacientes adultos com melhor expressiva da função respiratória, em um deles o curso do diabetes relacionado a Fibrose Cística apresentou diminuição significativa da necessidade de insulina e de reposição das enzimas pancreáticas. Nos 3 pacientes houve recuperação nutricional, que diretamente impacta na função respiratória. Todos os 3 pacientes conseguiram retornar as suas atividades laborais.</p> <p>2ª - Sim, A relação entre o declínio da função respiratória associada ao Diabetes Relacionada a Fibrose Cística (DRFC) é há muito conhecida. Em torno de 10% dos adolescentes e 40% dos adultos desenvolvem essa condição. Lewis e colaboradores (2015) demonstraram a influência direta na mortalidade em pacientes com DRFC de diferentes categorias de genótipos. Essa relação está bem estabelecida desde a publicação de Costa e colaboradores (2005), mostrando a repercussão pulmonar em pacientes com DRFC sem tratamento adequado . Bellin e colaboradores (2013) apresentam a relação entre a função do CFTR e a secreção de insulina, e nessa mesma publicação levantam o impacto que teria o uso precoce do IVACAFTOR em crianças, impedindo ou retardando o aparecimento do DRFC. Desde então, relatos de casos como o de Crhistian e colaboradores (2019) e os artigos de revisão de Barrio e colaboradores (2015), relacionam o uso do IVACAFTOR com o aumento da secreção de insulina sendo necessário, em alguns casos, a suspensão da suplementação da mesma. No nosso ambulatório de adultos com FC da UERJ, um dos pacientes que faz uso do IVACAFTOR, um homem de 39 anos com diagnóstico de FC feito aos 13 nos de idade e genótipo F508del/G551D, apresentou episódios de hipoglicemia após o início da medicação. Nesse caso, o mesmo aconteceu com a terapia de reposição enzimática, sendo necessário a redução do uso de enzimas, mostrando uma recuperação da função pancreática. O controle da insuficiência pancreática endócrina e exócrina são evidências da transformação na vida dos pacientes após o início do tratamento com IVACAFTOR.</p> <p>3ª - Sim, O retardo em utilizar o 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 - Sim, A relação entre o declínio da função respiratória associada ao Diabetes Relacionada a Fibrose Cística (DRFC) é há muito conhecida. Em torno de 10% dos adolescentes e 40% dos adultos desenvolvem essa condição. Lewis e colaboradores (2015) demonstraram a influência direta na mortalidade em pacientes com DRFC de diferentes categorias de genótipos. Essa relação está bem estabelecida desde a publicação de Costa</p>	<p>Clique aqui</p> <p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		<p>e colaboradores (2005), mostrando a repercussão pulmonar em pacientes com DRFC sem tratamento adequado . Bellin e colaboradores (2013) apresentam a relação entre a função do CFTR e a secreção de insulina, e nessa mesma publicação levantam o impacto que teria o uso precoce do IVACAFTOR em crianças, impedindo ou retardando o aparecimento do DRFC. Desde então, relatos de casos como o de Crhistian e colaboradores (2019) e os artigos de revisão de Barrio e colaboradores (2015), relacionam o uso do IVACAFTOR com o aumento da secreção de insulina sendo necessário, em alguns casos, a suspensão da suplementação da mesma. No nosso ambulatório de adultos com FC da UERJ, um dos pacientes que faz uso do IVACAFTOR, um homem de 39 anos com diagnóstico de FC feito aos 13 nos de idade e genótipo F508del/G551D, apresentou episódios de hipoglicemia após o início da medicação. Nesse caso, o mesmo aconteceu com a terapia de reposição enzimática, sendo necessário a redução do uso de enzimas, mostrando uma recuperação da função pancreática. O controle da insuficiência pancreática endócrina e exócrina são evidências da transformação na vida dos pacientes após o início do tratamento com IVACAFTOR.</p>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 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 doença crônica, mesmo que você faça a fisioterapia e o tratamento com medicação - enzimas - e inalação diárias, estadedicação 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	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	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Precisa incorporar ao SUS. Minha filha precisa ter um tratamento e 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	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O Ivacaftor apresentou melhora significativa comparado com placebo em pacientes portadores da mutação de indicação, quando foi utilizado índice de depuração LCI portanto benefício clínico em paciente FC com função pulmonar reduzida</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	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sim, Temos um registro bem organizado de todos os pacientes com fibrose cística acompanhados nos centros de referência brasileiros. Esses dados conseguem evidenciar a quantidade aproximada de pacientes com indicação de receber as novas moléculas, como o IVACAFTOR no nosso país. Além disso, concordo com o posicionamento do Grupo Brasileiro de Estudo em Fibrose Cística (GBEFC), direciona, de forma bastante racional e precisa, como os médicos dos centros de referência devem prescrever e também descontinuar a medicação, a saber:</p> <p>I. Indicações gerais: Pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos &#8232;Peso superior a 25 kg, &#8232;Pelo menos uma cópia de uma das seguintes variantes: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R. &#8232;Pacientes com fibrose cística com 18 anos de idade ou mais, que apresentem pelo &#8232;menos uma cópia da variante R117H. &#8232;II. Indicações adicionais para prescrição da droga (necessário atender aos 3 requisitos): A. Estar vinculado a um Centro de Atendimento Especializado à FC;&#8232;B. Ter manifestações da doença respiratória ou comprometimento nutricional (qualquer item): FEV1 < 90% do predito ou perda funcional >5% ao ano por 3 anos consecutivos; Sinais de impactação mucoide/bronquiectasias na tomografia de tórax; Exacerbações pulmonares frequentes com necessidade de admissão hospitalar (>2x/ano); Sinusopatia crônica com repercussão clínica (dor facial crônica/recorrente, descarga nasossinusal persistente, polipose nasal ou mucocelos); Desnutrição ou percentil IMC < 15; ou Infecção respiratória crônica por bactéria típica da FC (Pseudomonas aeruginosa, Complexo Burkholderia cepacia e/ou Staphylococcus aureus resistente à oxacilina - MRSA). 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 III. Avaliação da resposta à medicação: &#8232;30 dias: espirometria, antropometria, novo teste do suor &#8232;3 a 6 meses: verificar número de exacerbações respiratórias, espirometria, antropometria. IV. Critérios de resposta satisfatória à medicação:&#8232;Redução de pelo menos 30 mmol/L na dosagem de cloretos no suor (cloridrômetro). Aumento do VEF1 igual ou superior a 5% do valor prévio. Ganho ponderal / melhora do IMC. Adesão ao uso dos medicamentos e fisioterapia respiratória. &#8232;V. Conduta frente à resposta insatisfatória à medicação: &#8232;Revisão do tratamento global do paciente, reunião com paciente/responsáveis para expor os resultados e problemas com o tratamento. &#8232;Readequação do tratamento se necessário – 3 meses adicionais de tentativa. &#8232;Descontinuação do tratamento caso siga sem resposta OU por desejo do &#8232;paciente/responsáveis. &#8232;De acordo com publicação do GBEFC (anexa), há, no Brasil, menos de 60 pacientes com as mutações elegíveis* para o uso do Ivacaftor, ainda carecendo avaliar a idade e condições conforme os critérios citados acima. A grande vantagem, então, é que o Estado consegue contemplar esses pacientes, regulamentando as indicações e critérios de descontinuação do uso, já com uma estimativa segura de gastos, e evitando judicializações desnecessárias ou infundadas.* G551D (11 alelos); G1244E (2 alelos); G1349D (0); G178R (0); S1251N (0); S1255P (0); S549N (3); S549R (43); R117H (2).</p>	<p>Clique aqui</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Referência
		5ª - Não	Clique aqui
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. Não pois é uma medicação muito importante para os pacientes.</p> <p>2ª - Sim, Todos os medicamentos são de suma importância nos tratamentos e este não é diferente, por ele deve sim ser aprovado, pois muitos pacientes podem estar precisando ou precisarão um dia.</p> <p>3ª - Sim, Muitos pacientes precisam, porém muitos não tem acesso e ou condições para comprarem esre medicamentos, por isto solicitamos a aprovação do mesmo.</p> <p>4ª - Sim, Há uma carência muito grande dos pacientes, por esti solicitamos esta liberação, por falta de condições dos pacientes e por ser uma medicação de altíssima importância para eles e para nós.</p> <p>5ª - Sim,</p>	Clique aqui
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Pode beneficiar muitas crianças com fibrose cística</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. Pior coisa é ver seu filho comer e saber que está perdendo nutrientes. Como se fosse um saco furado. A Conitec precisa ser solidária a dor do meu filho e de todos os outros.</p> <p>2ª - Sim,</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	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. As crianças que possuem essa doença se beneficiariam com esse tratamento.</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. A fibrose cística não tem cura. O tratamento é essencial para garantir saúde (direito garantido na Constituição) 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. 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>	
31/08/2020	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Diversos estudos clínicos bem desenhados e conduzidos, além de estudos de vida real demonstram diversos benefícios com o uso do ivacaftor.</p> <p>2ª - Sim, Coloco em anexo diversos estudos publicados em revistas internacionais de alto padrão evidenciando os benefícios do uso do ivacaftor nos pacientes portadores de fibrose cística.</p> <p>3ª - Sim,</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
31/08/2020	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Todos devem ter o direito de receber esse medicamento pelo sus. Vidas importam! 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	