

Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Alfa- α -glucosidase como terapia de reposição enzimática na doença de Pompe de início tardio - Conitec

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
01/04/2021	Interessado no tema	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
01/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
01/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. A medicação não pode ser dispensada para pacientes acima de 12 meses. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
01/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. O uso de Myozyme em pacientes com doença de Pompe de início tardio pode ser benéfico para retardar a dependência de cadeira de rodas e a piora de sintomas respiratórios, por exemplo. Somente saberemos se pudermos utilizar o medicamento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
01/04/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. Acredito que os pacientes acometidos com a doença de Pompe, sejam eles com diagnóstico precoce ou tardio, merecem ter acesso igual a este tratamento. Myosyme está aprovado mundialmente para ambos perfis e tem sua eficácia e segurança comprovados tanto para o tratamento precoce como tardio. Os benefícios da terapia devem estar ao alcance de todos pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
01/04/2021	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
01/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. "Discordo integralmente da decisão preliminar desta Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias em saúde (CONITEC). A minha contribuição a esta consulta pública se dá na perspectiva de que regulamentos em vigor não validam os atos produzidos pela Conitec (relatórios, deliberações, consulta pública, etc..) na avaliação da tecnologia do medicamento Alfa- alglucosidase como terapia de reposição enzimática na Doença de Pompe. Atos desta Comissão excluíram os pacientes acima de 12 meses, crianças, adolescentes e adultos da terapia regular através do SUS em 2019, limitando as chances de sobrevivência dos mesmos. E em 2021, os membros desta Comissão entenderam que "apesar dos benefícios do tratamento, há grande fragilidade nas evidências a um custo alto de tratamento". Os aspectos relacionados a regulação de medicamentos, avaliações da tecnologia, transparência pública e participação social, e principalmente a discrepância de decisões entre plenário e relatórios que culminaram com a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Doença de Pompe em 2020, excluindo 70% do público alvo, são os itens de minha contribuição Encaminho minha contribuição com meus comentários e contribuição em anexo"</p> <p>2ª - "Além do que está descrito em minha contribuição anexa,É um paradoxo esperar que sejam apresentadas evidências científicas robustas como condição para incorporar um medicamento órfão, de alto custo para uma doença rara. E ainda que os mesmos critérios padronizados de avaliação de medicamentos essenciais sejam utilizados na avaliação desses medicamentos únicos. Nesta lógica a avaliação de medicamentos órfãos sempre tenderá a apresentar a "fragilidade nas evidências". Na dificuldade científica de se obter evidências de alto nível e até que haja um consenso mundial das avaliações de tecnologia em saúde para doenças raras, porque não seguir a própria diretriz da Conitec e fazer uso do melhor conhecimento técnico-científico disponível na universalidade e integralidade das ações de saúde no âmbito do SUS (Decreto nº7.646, de 21 dez 2011, art.3º inc. I). Estes estudos foram apresentados tanto no relatório da Conitec como também no dossiê apresentado pela Empresa Sanofi.</p> <p>Outra sugestão aplicar a Lei 8.080/1990, art. 19-Q, 2º, inciso I,§ 2o e considerar no relatório as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, acatadas pela ANVISA ."</p> <p>3ª - Esta descrita na minha contribuição anexa</p> <p>4ª - Esta descrita no anexo</p> <p>5ª - "EXPERIENCIAS INTERNACIONAIS: Comparar o Brasil a países que não possuem um sistema de saúde similar não é coerente. Mas mesmo assim podem-se acrescentar experiências positivas de custeio governamental do tratamento com Doença de Pompe de início tardio. •Australiã, inclui pacientes com DP de início tardio desde 2018 . Disponível em < https://www.health.gov.au/sites/default/files/documents/2020/11/life-saving-drugs-program-pompe-disease-guidelines.pdf>. Acesso em 22 mar 2021•Ontário – Canadá, desde 2009, inclui pacientes com DP de início tardio. Disponível em < Ontario Public Drug Programs Exceptional Access Program Myozyme (alglucosidase-alfa) – Adult/Late Onset Pompe Disease Reimbursement Guidelines (gov.on.ca)>. Acesso em 22 mar 2021"</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
01/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
01/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. E teatamento, melhora a qualidade de vida 2ª - Nao 3ª - Naosei que 4ª - Sei que o custo è alto, mas pensoque ocuato para manter o doente limitado é maior Longo prazonao 5ª - Nao
01/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
01/04/2021	Interessado no tema	1ª - Concordo. Visto que o tratamento é ofertado para crianças de até 1 ano é importante e interessante que o tratamento se estenda também às crianças acima de 1 ano. 2ª - Não. 3ª - Não. 4ª - Não. 5ª - Monetariamente no momento não.

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
01/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A doença de Pompe é uma das poucas miopatias hereditárias com tratamento disponível, sendo absurdo negarmos o tratamento ao paciente com diagnóstico. Eu tenho alguns pacientes com o diagnóstico estabelecido, que obtiveram melhora expressiva da força muscular, incluindo função respiratória e de deglutição, e que tiveram piora expressiva após interrupção do uso regular da medicação.</p> <p>2ª - Já existem vários estudos clínicos com nível de evidência robusta que apoiam e recomendam o uso da terapia de reposição enzimática para pacientes com Doença de Pompe de início tardio, não havendo portanto dúvida em relação ao benefício da mesma no tratamento regular dos pacientes.</p> <p>3ª - O custo para tratamento de suporte para os pacientes não tratados regularmente e que terão progressão da doença é muito maior a longo prazo do que o custo da terapia de reposição enzimática. Os pacientes sem terapia de reposição enzimática evoluem com dependência de terceiros para locomoção, alimentação e autocuidado, têm maior risco de pneumonia e consequente necessidade de internação hospitalar, têm maior risco de infecções diversas, sem contar na piora do perfil de mortalidade e de qualidade de vida dos pacientes.</p> <p>4ª - Se o PCDT for bem construído, com inclusão e direito ao tratamento apenas de pacientes que, comprovadamente têm diagnóstico formado de Doença de Pompe, o impacto orçamentário da oferta de tratamento regular com a terapia de reposição enzimática será menor que o impacto dos tratamentos de suporte que terão de ser oferecidos para o resto da vida dos pacientes.</p> <p>5ª - Reitero que nós, médicos especialistas que acompanhamos pacientes adultos (muitas vezes jovens) com a doença de Pompe, temos evidências da prática clínica em relação à melhora sustentada que esses pacientes exibem com tratamento regular, e presenciamos a piora clínica com a interrupção do tratamento. Não privemos nossos pacientes de um tratamento que está disponível para ser usado, com vários dados bem estabelecidos de eficácia.</p>
01/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Compreendo que é uma doença rara e alguns pacientes evoluem gravemente. A medicação é muito cara e demonstrou eficácia moderada podendo beneficiar alguns pacientes. Os casos mais graves (cerca de 1/3) e de início precoce já recebem a medicação. Há necessidade de se estabelecer critérios de seleção de pacientes com doença de início tardio que podem realmente se beneficiar com a medicação como foi sugerido na Argentina e na Austrália por ex. Estes critérios deveriam ser revisados e analisados a cada 6 meses para se decidir se a terapia deveria ser continuada. Isso ajudaria a reduzir os custos.</p> <p>2ª - Doenças graves e genéticas como DP ainda não têm uma medicação altamente eficaz. Estudos duplo cego randomizados são difíceis. A única opção no momento seria a alfa-glicosidase e isso é uma esperança para os pacientes que padecem da doença. Uma avaliação periódica que avalie e quantifique a resposta terapêutica poderia ajudar na decisão de manter a terapia e não prescreve-la indefinidamente. É preciso estabelecer critérios de melhora.</p> <p>3ª - "Ouvi em congressos que alguns países que produzem biológicos para outras doenças (ex. Índia) conseguem fazer biosimilares com custo bem inferior (20% do custo).Haveria possibilidade de reduzir substancialmente o custo da alfa-glicosidase para o Brasil?"</p> <p>4ª - Não.</p> <p>5ª - Quando me coloco na posição do paciente posso sentir o quanto é desejável ter a possibilidade de tentar uma terapia promissora que pode mudar a qualidade de vida e aumentar a sobrevida. O direito de ter uma experiência com a droga - dentro dos limites pré-estabelecidos - deve ser aberta a todos pois pode haver resposta muito favorável nos aspectos bio-psico-sociais.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
01/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A negativa se baseia em fatores economicos e nao propriamente em fatores de efetividade, eficacia e segurança da medicação. Fatores economicos são negociaveis para a incorporação de um medicamento. Ha de se considerar a elegibilidade dos pacientes e avaliação caso a caso, com criterios de interrupção da medicação. Tais criterios tambem contribuirão para diminuição do n de pacientes elegiveis.</p> <p>2ª - Sim. Não vi citados os trabalhos que mostram que a taxa de mortalidade é maior nos pacientes nao tratados (Gunjor et al, 2011, que avaliou 258 pacientes. Anderson LJ et al, 2014 mostrou tambem aspectos de efetividade do tratamento. A inclusao dos pacientes como bem descrito no artigo de Harlaar L et al, deva ser avaliada caso a caso. Mesmo dada a variabilidade dos achados, mostrou que afetou positivamente o curso da doença ou diminuiu o declínio.</p> <p>3ª - Fatores economicos são negociaveis para a incorporação de um medicamento. Ha de se considerar a elegibilidade dos pacientes e avaliação caso a caso, com criterios de interrupção da medicação. Tais criterios tambem contribuirão para diminuição do n de pacientes elegiveis.</p> <p>4ª - O orçamento para a saúde vem gradativamente sendo diminuindo e isso tem impactado negativamente nas politicas publicas inclusive no acesso aos medicamentos orfaos, que merecem tratamento diferenciado,numa ética que tambem contemple as minorias; com negociação adequada, criando-se criterios de elegibilidade, de interrupção com uso em centros cadastrados. O n de pacientes com Pompe tardio no pais é pequeno.</p> <p>5ª - Tive a oportunidade de tratar dois pacientes com Pompe tardio e vi a diferença efetivamente na vida desses individuos ao longo dos anos, utilizando-se os parametros tecnicos, onde se inclui o de qualidade de vida.</p>
02/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
02/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
02/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
02/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
02/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
02/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
02/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
02/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
02/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
02/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
02/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Todos temos direito a vida e a tratar sua saúde 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
02/04/2021	Interessado no tema	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
02/04/2021	Interessado no tema	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
02/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Os pacientes podem se beneficiar com a reposição enzimática. Alguma melhora na qualidade de vida já tem um grande impacto de percepção para o pacientes . 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
03/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
03/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Discordo totalmente a recomendacao da conirec 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
03/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
03/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
03/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo. Para ajudar amiga 2ª - No momento não nao 3ª - Nao 4ª - Não 5ª - Não
03/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Acho justo que os pacientes tenham direito a medicação 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
03/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
03/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Todos os seres humanos independente de idade,raça, etnia e diagnóstico tem direito ao tratamento quando for acometido por alguma doença ou deficiência...Não existe segundo a Constituição Federal uma idade que vc pode ter direito ao tratamento ao Não. Saúde é um direito de todos!!!</p> <p>2ª - Todo tratamento mesmo que experimental é necessário quando se falamos em doenças raras</p> <p>3ª - Todos os tratamentos e custo de um portador de doença rara é caríssimo, e o SUS tem o dever de bancar o tratamento de todos os Brasileiros independentemente de sua idade.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
03/04/2021	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
03/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. "A DP de início tardio tem um amplo espectro de apresentações clínicas uma vez que compreende pacientes a partir de 12 meses de vida até adultos. A experiência clínica tem demonstrado que as complicações respiratórias na DP tardia são as principais causas de morbimortalidade. A terapia de reposição enzimática, aprovada em 2006 pelo FDA, vem modificando a história natural da DP. Crianças com a forma infantil estão sobrevivendo além da primeira infância, alguns estão atingindo a capacidade de deambular de forma independente e atingindo níveis funcionais que nunca foram possíveis até então. Os pacientes com a forma tardia da doença estão apresentando melhora das questões motoras e respiratórias ou ainda estabilização com redução da progressão da evolução da doença. Definitivamente o cenário da DP mudou. Privar pacientes a partir de 13 meses de vida ao acesso terapêutico, por exemplo, é condená-los a uma vida sem qualidade e perspectivas com uma evolução relativamente previsível e custos crescentes diante as novas tecnologias em saúde disponíveis em nosso mercado."</p> <p>2ª - Dificilmente as doenças raras vão ter evidências clínicas que se encaixem no conceito atual de uma evidência robusta tanto pelo reduzido número de pacientes como pela variabilidade clínica que a maioria dessas doenças apresenta.</p> <p>3ª - "A avaliação econômica está utilizando valores de suporte ventilatório que não estão de acordo com a complexidade e os custos que um paciente com evolução desfavorável e progressão da insuficiência respiratória com DP tardio apresentam. O tratamento de excelência do ponto de vista de suporte ventilatório, demanda equipamentos que não estão contemplados na portaria de ventilação domiciliar que foi utilizada no documento elaborado pela Conitec, o valor correspondente ao acompanhamento dos profissionais da saúde (médico, enfermeira, fisioterapeuta e demais profissionais) também não corresponde ao praticado. As novas tecnologias para mobilização de secreção das vias aéreas, que também foram incorporadas ao manejo padrão destes pacientes também não foi considerada na estimativa econômica. As hospitalizações decorrentes de complicações, muitas vezes com longo tempo em unidade de terapia intensiva ou o uso frequente do sistema de saúde em função de insuficiência ventilatória crônica não diagnosticada também precisam ser considerados. A instalação da insuficiência ventilatória crônica na DP de início tardio é diretamente proporcional ao tempo de evolução da doença. A judicialização acaba incluindo não somente a medicação mas todos os cuidados associados à doença de Pompe e este custo também não foi explorado ou considerado na avaliação econômica"</p> <p>4ª - Sugiro que o impacto orçamentário leve em conta que um indivíduo com DP de início tardio pode ser muito produtivo para a sociedade e que em função da sua doença além de não contribuir para a matriz financeira ainda gera custos diretos e indiretos. O impacto da doença na vida dos demais membros da família também deve ser considerado</p> <p>5ª - Sou pneumopediatra com especialização em Medicina do Sono e Suporte ventilatório e tenho trabalhado com doenças raras há mais de 25 anos. Atuo num hospital terciário e vejo uma crescente judicialização das novas terapias com prejuízo para os pacientes (longo tempo de espera para a obtenção do tratamento, perda funcional significativa enquanto espera o resultado do pleito, envolvimento com questões que sobrecarregam ainda mais os cuidadores, etc) e para o erário com custos crescentes.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
04/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
04/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
04/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não Concordo e Não Discordo. Tenho interesse em aprender e estar por dentro dos assuntos dos pomposos. 2ª - Não. 3ª - Não. 4ª - Não. 5ª - Não.
04/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
04/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. PERCEBO E TESTEMUNHO A EFICÁCIA E PRESERVAÇÃO DAS CONDIÇÕES CLÍNICA E QUALIDADE DE VIDA DO PORTADOR COM A TERAPIA DA MEDICAÇÃO 2ª - Tempo prolongado da estimativa de vida com preservação de tônus acima do prognóstico médico 3ª - Não tem valor a vida de um ser produtivo ,intelecto preservado na contribuição da sociedade e família 4ª - Com certeza bem menos que os gastos das mordomias parlamentares 5ª - Está assegurado na constituição brasileira o direito a saúde

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
04/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O efeito terapêutico da medicação é conhecido e o resultado observa-se na melhora da qualidade de vida dos pacientes com doença de Pompe. O Estado brasileiro ao propor Centros/Serviços para assistência a Pessoas com Doenças Raras não criou orçamento para que a assistência seja feita, levando a CONITEC e reconhecer a efetividade desta e de outras medicações, mas com parecer final desfavorável ao custo. Outra questão é o valor agregado o qual diminui com mais uso da medicação.</p> <p>2ª - Nossas observações no ambulatório de doenças neuromusculares do Hospital Universitário da UFJF revelam melhoras funcionais, incluindo marcha e deambulação em todos os pacientes, os quais pioram quando a medicação deixa de ser fornecida. Em mais de 7 anos de tratamento, ainda que o fornecimento de medicação seja irregular, apenas um paciente utiliza BiPaP. Mais recentemente, foi publicado artigo de estudo em cobaias indicando a reversão da cascata patogênica com a terapia de reposição enzimática (https://doi.org/10.1016/j.omtm.2020.05.026).</p> <p>3ª - A questão econômica carece de maior avaliação, pois um indivíduo que mantém sua capacidade laboral é um indivíduo que deixa de ser beneficiário do Estado e passa a ser contribuinte, deixa de ser dependente (não carece de que outra pessoa deixe de trabalhar para assistí-lo), necessita de menos recurso para sua assistência, interna menos ou não interna por conta de sua doença, entre outras coisas.</p> <p>4ª - Mais uma vez, não existe hoje impacto orçamentário, pois não existe orçamento para a assistência de tratamento ao indivíduo com doença, incluindo a doença de Pompe. É necessário haver orçamento previsto, anualmente pelo Estado brasileiro e, para isto, se faz necessário que se conheça, através de levantamento epidemiológico o número de pessoas já diagnosticadas, quantos são elegíveis ao tratamento para que se conheça o orçamento médio anula necessário. Vale observar que a judicialização da aquisição de medicação se refere a uma falha do Estado na assistência à saúde.</p> <p>5ª - "1. https://doi.org/10.1016/j.omtm.2020.05.0262. Kishnani PS, Beckemeyer AA. New therapeutic approaches for Pompe disease: enzyme replacement therapy and beyond. <i>Pediatr Endocrinol Rev.</i> 2014 Sep;12 Suppl 1:114-24. PMID: 25345093.3. https://doi.org/10.1002/jimd.120274. https://doi.org/10.1080/21678707.2018.14719825. CASTRO- JARAMILLO, Héctor E. The cost-effectiveness of enzyme replacement therapy (ERT) for the infantile form of Pompe disease: comparing a high-income country's approach (England) to that of a middle-income one (Colombia). <i>Rev. salud pública, Bogotá</i> , v. 14, n. 1, p. 143-155, Feb. 2012 . Available from <http://www.scielo.org.co/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0124-00642012000100012&lng=en&nrm=iso>6. Stockton, D.W., Kishnani, P., van der Ploeg, A. et al. Respiratory function during enzyme replacement therapy in late-onset Pompe disease: longitudinal course, prognostic factors, and the impact of time from diagnosis to treatment start. <i>J Neurol</i> 267, 3038–3053 (2020). https://doi.org/10.1007/s00415-020-09936-8"</p>
04/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo. Iniciativa excelente</p> <p>2ª - no momento não</p> <p>3ª - não</p> <p>4ª - não</p> <p>5ª - No momento não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
05/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Não Concordo e Não Discordo. Evidência de benefício clínico x contexto atual 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
05/04/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo. Discordo completamente,pois todas as doenças merecem seus devidos respeito. 2ª - N 3ª - N 4ª - N 5ª - N

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
05/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. "A eficácia e segurança do tratamento com Myozyme ficou mais do que bem estabelecida no estudo de fase 3 (van der Ploeg AT, Clemens PR, Corzo D, et al. A randomized study of alglucosidase alfa in late-onset Pompe's disease. N Engl J Med 2010;362:1396-1406.) no qual foram avaliados mais de 90 pacientes que corresponde a um número expressivo para pacientes com uma doença ultra-rara e no qual os desfechos do uso do medicamento em preservar a função pulmonar e melhorar a capacidade da marcha foram estatisticamente superiores em relação ao grupo placebo. Do ponto de vista ético, a realização de novos estudos randomizados numa população onde já se sabe os benefícios de uma terapia seria no mínimo inconveniente.</p> <p>Como comentários adicionais já foram demonstrados por vários estudos os benefícios do uso de TRE em preservar a função ventilatória, em melhorar a capacidade motora e aumentar a sobrevida em pacientes com Doença de Pompe de início tardio. O tratamento com alglucosidase alfa está associado com uma melhora na distância caminhada e na função pulmonar de pacientes com Doença de Pompe forma do adulto em contraste ao declínio funcional observado no grupo placebo e nos estudos de história natural da doença. Estudos mostram o benefício do uso de alglucosidase alfa em relação a sobrevida dos pacientes adultos com a doença de Pompe com resultado final que os pacientes tratados com TRE tem um risco 59% menor de virem a óbito em relação aos pacientes sem tratamento e que em média a cada 8 anos do uso de TRE há um ganho de 1 ano de sobrevida e que os efeitos da TRE em relação à sobrevida são maiores quanto mais precoce for o tratamento e quanto menos grave for o comprometimento clínico do paciente. Estudos apontam que mais de 90% dos pacientes com Doença de Pompe de início tardio apresentam benefício com o tratamento com alglucosidase alfa durante aproximadamente 3-5 anos e depois desse período mais de 50% dos pacientes experimentam um declínio secundário na capacidade de deambular, força muscular ou da função ventilatória⁷. Em relação a função ventilatória, o estudo reforça que o uso de TRE por longo prazo está associado níveis maiores de CVF em comparação aos pacientes não tratados acompanhados em estudos de história natural da doença. Estudo de uma grande meta-análise indica que o tratamento com alglucosidase alfa está associado a benefícios clínicos em pacientes com Doença de Pompe de início tardio como demonstrado pelo aumento de sobrevida e melhora da capacidade de deambular bem como pela prevenção da deterioração da função respiratória. Referências¹.¹van der Ploeg AT, Clemens PR, Corzo D, et al. A randomized study of alglucosidase alfa in late-onset Pompe's disease. N Engl J Med 2010;362:1396-1406.²van der Ploeg AT, Reuser AJ. Pompe's disease. Lancet 2008; 372(9646):1342-53.³Rosciano A, Rodolico C, Masumeci O. Multisystem late onset Pompe disease (LOPD): an update on clinical aspects. Ann Transl Med 2019;7(13):284.⁴Rishnani PS, Corzo D, Nicolino M, et al. Recombinant human acid [alpha]-glucosidase: major clinical benefits in infantile-onset Pompe disease. Neurology 2007;68:99-109. ⁵Büngör D, Kruijshaar ME, Plug I, et al. Impact of enzyme replacement therapy on survival in adults with Pompe disease: results from a prospective international observational study. Orphanet J Rar Dis 2013;8:49.⁶Bungor D, de Vries JM, Hop WC, et al. Survival and associated factors in 268 adults with Pompe disease prior to treatment with enzyme replacement therapy. Orphanet J Rar Dis 2011;6:34.⁷Barlaar L, Hogrel JY, Perniconi B, et al. Large variation in effects during 10 years of enzyme therapy in adults with Pompe disease. Neurology 2019;93(19):e1756-1767.⁸Schoser B, Stewart A, Kanters S, et al. Survival and long-term outcomes in late-onset Pompe disease following alglucosidase alfa treatment: a systematic review and meta-analysis. J Neurol 2017;264(4):621-630."</p> <p>2ª - Sim. Em acompanhamento no meu serviço há 18 pacientes com Doença de Pompe de início tardio dos quais, 8 realizam terapia de reposição enzimática e apresentaram melhora importante da função ventilatória (2 pacientes eram traqueostomizados e hoje estão livres de ventilação mecânica) e melhora da função motora com 3 pacientes que eram cadeirantes e readquiriram a capacidade de marcha sem eventos adversos graves ou óbitos. Em relação aos 10 pacientes não tratados, 3 morreram em</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
		<p>decorrência de complicações da Doença de Pompe, 3 pacientes são traqueostomizados e dependentes de ventilação mecânica e os outros 4 apresentam piora progressiva das funções ventilatória e motora.</p> <p>3ª - Não.</p> <p>4ª - O impacto orçamentário não pode ser o único fator limitante para o tratamento de pacientes com doenças raras, temos que levar em consideração o custo que esses pacientes não tratados representam aos serviços públicos e privados de saúde e o impacto que a judicialização apresenta no orçamento público.</p> <p>5ª - Não</p>
05/04/2021	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo. "Discordo da conitec, quando valoriza custo !Se como uma vida tivesse valor mínimo ou máximo ."</p> <p>2ª - Incorporação da Alfa- glicosidase ácida ajuda os pacientes de Pompe a ter uma qualidade de vida melhor .</p> <p>3ª - "Não se economiza em ter vidas, já que são elas que sustentam o país !Valorizem mais."</p> <p>4ª - "Orçamento X vida Vale mesmo ?Pois essas vidas tbem pagam impostos ."</p> <p>5ª - Quando o Brasil resolver olhar mais para o povo e não para o custo, aí sim teremos um país melhor.</p>
05/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
05/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
05/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo. A vida acima de tudo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
05/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Estudos presentes no próprio relatório mostram a eficácia do medicamento no aumento da expectativa de vida do paciente portador de Doença de Pompe</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - O custo elevado seria apenas enquanto a patente estiver vigente. Após quebra da patente, os custos diminuiriam e assim outros pacientes poderiam se beneficiar futuramente.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
05/04/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
05/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
05/04/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. O Sistema sus não pode abandonar o paciente a sua sorte, precisa atender as necessidades do mesmo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
05/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. É de suma importância que o tratamento de reposição enzimática com a GAA esteja disponível não apenas para as formas precoces da doença como também para as formas de diagnóstico tardio. A melhora funcional e da qualidade de vida dos pacientes impactam diretamente na sobrevida dos mesmos.</p> <p>2ª - "- Pacientes tratados estabilizam em muitos casos a função pulmonar- Aumento da sobrevida- Melhora capacidade funcional"</p> <p>3ª - Apesar de ser um tratamento com um custo elevado, se pensarmos no longo prazo os custos de uma aquisição contínua da medicação gera uma facilidade de negociação e melhora nos custos de aquisição. E também podemos considerar custos indiretos ao sistema de saúde como um todo, uma vez que um paciente reabilitado e funcionalmente estável gera menos custos que pacientes crônicos cada vez mais incapacitados.</p> <p>4ª - Vide questão 19.</p> <p>5ª - Não.</p>
05/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Pessoas com poucas condições precisam muito desta medicação pelo sus</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
05/04/2021	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
05/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. "Sou totalmente desfavorável ao parecer técnico da CONITEC que se manifestou contrário à incorporação da Alfa-<i>alglicosidase</i> (Myozyme®) como terapia de reposição enzimática na Doença de Pompe de início tardio, em virtude do exposto abaixo: A Doença de Pompe (CID 10: E74.0, OMIM 232300) pertence ao grupo das doenças de depósito lisossômico é uma classificada como doença de depósito de glicogênio (glicogenose II) causada pela deficiência da enzima Alfa 1, 4-glicosidase ácida (maltase ácida) que participa da degradação do glicogênio liberando para os tecidos. É codificada pelo gene GAA (OMIM 606800, locus 17q25.3), cujas mutações em homozigose ou heterozigose composta determinam a Doença de Pompe. A atividade enzimática residual correlaciona-se com a idade de início e a progressão da doença. Na Doença de Pompe de início tardio, o quadro clínico pode iniciar em quaisquer idades a partir de 1 ano a 6ª década e a progressão é mais lenta que na forma de início precoce. Caracteriza-se por fraqueza muscular proximal, a musculatura paravertebral e dos membros inferiores são as primeiramente afetadas, determinando prejuízo motor e dificuldade para as atividades diárias, escoliose, cifose ou lordose. O acometimento do diafragma e musculatura acessória causa falência respiratória crônica com dispneia, retenção de CO₂, insuficiência respiratória e apneia do sono, pneumonia por aspirações repetitiva. Além de macroglossia, ptose palpebral, aneurisma cerebral, hiporreflexia e osteopenia. Também pode ocorrer disfagia para sólidos por fraqueza da musculatura faríngea envolvida no reflexo de deglutição (Llerena et al., 2009)█</p> <p>2ª - "Através da análise de dados de 268 pacientes com Doença de Pompe não tratados coletados de uma observação internacional prospectiva entre 2002 a 2009 no momento do diagnóstico e desde o início do estudo Deniz Güngör et al. (2011) verificaram uma maior mortalidade que a população geral e que seus níveis de deficiência e incapacidades são os principais fatores associados à mortalidade. O Consenso Brasileiro para o Manejo da Doença de Pompe (Llerena et al., 2009) recomenda a Terapia de Reposição Enzimática (TRE) para adultos e crianças com confirmação diagnóstica associada a fraqueza muscular com ou sem insuficiência respiratória, que comprometa a qualidade de vida. Os autores descrevem que todos os 18 pacientes com Doença de Pompe de início tardio que começaram a TRE com média de idade de 23 anos (4 a 55 anos) apresentaram melhora clínica na execução de atividades diárias, melhora no desempenho sexual (exceto 1), bem como aumento no número de horas sem suporte ventilatório e alguns necessitando apenas durante o sono. Os autores destacam que os pacientes com Doença de Pompe de início tardio apresentam atividade enzimática residual, baixos níveis de anticorpos contra a alfa <i>alglicosidase</i> e consequentemente menos efeitos adversos, de modo que a TRE reduz a cardiomegalia, melhora a função cardíaca independente da época do seu início, porém a melhora a função muscular associa-se ao início precoce da TRE antes da instalação do dano muscular. L. J. Anderson et al. (2014) relataram uma associação estatisticamente significativa entre o tempo de TRE (mais de 2 anos) e o aumento da distância percorrida no Teste da Caminhada de Seis Minutos (6MWT) bem como nos scores de força muscular. Através de um estudo populacional prospectivo, Deniz Güngör et al. (2013) demonstraram o efeito positivo da TRE na sobrevivência de adultos com Doença de Pompe, ou seja: o impacto benéfico da TRE em pacientes adultos. Para avaliar o efeito de 10 anos de TRE em adultos com Doença de Pompe, Laurike Harlaar et al. (2019) realizaram um estudo coorte prospectivo, multicêntrico em 30 pacientes da Holanda e França, observando que a maioria dos pacientes com Doença de Pompe se beneficiaram da TRE por longo prazo na Capacidade Vital Forçada e 6MWT comparadas aos resultados anteriores à TRE. █David W. Stockton et al. (2020) avaliaram a função da musculatura respiratória em 396 pacientes com Doença de Pompe de início tardio (início dos sintomas após 12 meses ou antes dos 12 meses sem miocardiopatia) durante TRE com alfa <i>alglicosidase</i>. Foi observada a estabilidade da CVF por mais de 5 anos sugerindo que a função respiratória é preservada pela TRE a longo prazo, bem como que o início precoce da TRE se associou com preservação da função respiratória em pacientes com Doença de Pompe de início tardio com melhor função respiratória no início da TRE. Juan C. Llerena Jr et al. The Brazilian Consensus on the Management of Pompe</p>

Disease. The Journal of Pediatrics (2009): vol 155. No 5, Suppl 2. Deniz Güngöret al. Survival and associated factors in 268 adults with Pompe disease prior to treatment with enzyme replacement therapy. Orphanet Journal of Rare Diseases 2011, 6:34. <http://www.ojrd.com/content/6/1/34> L. J. Anderson et al, Effectiveness of enzyme replacement therapy in adults with late-onset Pompe disease: results from the NCS-LSD cohort study. J Inher Metab Dis (2014) 37:945–952. DOI 10.1007/s10545-014-9728-1 Laurike Harlaar et al. Large variation in effects during 10 years of enzyme therapy in adults with Pompe disease. Neurology® 2019;93:e1756-e1767. doi:10.1212/WNL.0000000000008441 David W. Stockton et al. Respiratory function during enzyme replacement therapy in late-onset Pompe disease: longitudinal course, prognostic factors, and the impact of time from diagnosis to treatment start. J. of Neurology. Jun 2020. <https://doi.org/10.1007/s00415-020-09936-8>"

3ª - "Não sou economista. Porém, sempre exerci a Medicina ao nível público em prol das camadas mais pobres da população brasileira. Sou médica graduada no ano de 1980 pela Faculdade de Medicina da Universidade Federal do Espírito Santo, inscrita no Conselho Regional de Medicina do Espírito Santo sob o número 2366. No período de 1981 a 1982, fiz Residência Médica em Pediatria no Hospital Infantil Nossa Senhora da Glória do então Instituto de Saúde Pública do Espírito Santo e Residência Médica em Medicina Geral e Comunitária pela Universidade Federal do Espírito Santo no período de 1983 a 1984. Aprovada no concurso do então Instituto Nacional de Assistência Médica e Previdência Social (INAMPS) futuramente incorporado ao Ministério da Saúde, exerci o cargo de pediatra no período de 1984 a 1988. No ano de 1999, fui cedida pelo gestor municipal de Caratinga – MG ao Instituto Fernandes Figueira da Fundação Oswaldo Cruz – IFF/FIOCRUZ – RJ-RJ onde me especializei em Genética Médica. Tenho Título de Especialista em Genética Médica junto à Sociedade Brasileira de Genética Médica e Associação Médica Brasileira, registrado no Conselho Regional de Medicina do Espírito Santo. Também sou Mestre em Medicina pelo Programa de Pós-Graduação em Ciências Médicas da Faculdade de Ciências Médicas da Universidade do Estado do Rio de Janeiro, cuja dissertação versou em uma malformação do Sistema Nervoso Central (esquizencefalia). Aprovada em primeiro lugar para o cargo de Médica Geneticista do Hospital Universitário Cassiano Antonio Moraes da Universidade Federal do Espírito Santo (HUCAM/UFES) no concurso da Empresa Brasileira de Recursos Hospitalares (EBSERH) no dia 25/04/2014 e convocada em 01/10/2015, solicitei a aposentadoria no Ministério de Saúde. Desta forma, exerço atividades como médica geneticista no HUCAM/UFES/EBSERH. Tais informações podem ser confirmadas no site Plataforma Lattes do CNPq (<http://lattes.cnpq.br/6438981250094401>) a nossa Constituição Federal de 1988, em seu Art. 196 afirma que 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. "

4ª - "Constituição Federal de 1988: Art. 198. As ações e serviços públicos de saúde integram uma rede regionalizada e hierarquizada e constituem um sistema único, organizado de acordo com as seguintes diretrizes: I - descentralização, com direção única em cada esfera de governo; II - atendimento integral, com prioridade para as atividades preventivas, sem prejuízo dos serviços assistenciais; III - participação da comunidade. § 1º. O sistema único de saúde será financiado, nos termos do art. 195, com recursos do orçamento da seguridade social, da União, dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios, além de outras fontes. (Parágrafo único renumerado para § 1º pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000) § 2º A União, os Estados, o Distrito Federal e os Municípios aplicarão, anualmente, em ações e serviços públicos de saúde recursos mínimos derivados da aplicação de percentuais calculados sobre: (Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000) I - no caso da União, na forma definida nos termos da lei complementar prevista no § 3º; (Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000) II - no caso dos Estados e do Distrito Federal, o produto da arrecadação dos impostos a que se refere o art. 155 e dos recursos de que tratam os arts. 157 e

159, inciso I, alínea a, e inciso II, deduzidas as parcelas que forem transferidas aos respectivos Municípios; (Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)III - no caso dos Municípios e do Distrito Federal, o produto da arrecadação dos impostos a que se refere o art. 156 e dos recursos de que tratam os arts. 158 e 159, inciso I, alínea b e § 3º.(Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)§ 3º Lei complementar, que será reavaliada pelo menos a cada cinco anos, estabelecerá:(Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000) Regulamentol - os percentuais de que trata o § 2º; (Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)II - os critérios de rateio dos recursos da União vinculados à saúde destinados aos Estados, ao Distrito Federal e aos Municípios, e dos Estados destinados a seus respectivos Municípios, objetivando a progressiva redução das disparidades regionais; (Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)III - as normas de fiscalização, avaliação e controle das despesas com saúde nas esferas federal, estadual, distrital e municipal; (Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)IV - as normas de cálculo do montante a ser aplicado pela União.(Incluído pela Emenda Constitucional nº 29, de 2000)§ 4º Os gestores locais do sistema único de saúde poderão admitir agentes comunitários de saúde e agentes de combate às endemias por meio de processo seletivo público, de acordo com a natureza e complexidade de suas atribuições e requisitos específicos para sua atuação. . (Incluído pela Emenda Constitucional nº 51, de 2006)§ 5º Lei federal disporá sobre o regime jurídico e a regulamentação das atividades de agente comunitário de saúde e agente de combate às endemias. (Incluído pela Emenda Constitucional nº 51, de 2006) (Vide Medida provisória nº 297. de 2006)§ 5º Lei federal disporá sobre o regime jurídico, o piso salarial profissional nacional, as diretrizes para os Planos de Carreira e a regulamentação das atividades de agente comunitário de saúde e agente de combate às endemias, competindo à União, nos termos da lei, prestar assistência financeira complementar aos Estados, ao Distrito Federal e aos Municípios, para o cumprimento do referido piso salarial. (Redação dada pela Emenda Constitucional nº 63, de 2010) Regulamento§ 6º Além das hipóteses previstas no § 1º do art. 41 e no § 4º do art. 169 da Constituição Federal, o servidor que exerça funções equivalentes às de agente comunitário de saúde ou de agente de combate às endemias poderá perder o cargo em caso de descumprimento dos requisitos específicos, fixados em lei, para o seu exercício. (Incluído pela Emenda Constitucional nº 51, de 2006)"

5ª - "A necessidade de judicialização para o fornecimento de Galsufase aos pacientes devidamente diagnosticados com MPS VI determina atraso no início do seu tratamento, com agravação do seu quadro clínico e suas comorbidades, aumento das internações hospitalares onerando o erário público e determinando piora da qualidade de vida para os pacientes e familiares, absenteísmo escolar e nas atividades laborais também dos seus familiares além de desgaste das instituições públicas e acúmulo de Ações Judiciais para o já bastante sobrecarregado Poder Judiciário.Sendo saúde direito de todos e dever do Estado (Constituição Federal de 1988 Art. 196), confio que esta COMISSÃO NACIONAL DE INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS NO SUS aprove com máxima celeridade a incorporação da Alfa alglucosidase (Myozyme®) no rol de medicamentos do SUS. "

05/04/2021 Familiar, amigo ou cuidador de paciente

1ª - Discordo

2ª - Não

3ª - Não

4ª - Não

5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
05/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
05/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
05/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
05/04/2021	Interessado no tema	1ª - Não Concordo e Não Discordo. O pessoal que tem doença rara o governo deveria investir mais em ajudar a todos a saúde pública hoje em descaso 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
05/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
05/04/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
05/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
05/04/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo. Esse medicamento deve ser sim fornecido pelo SUS devido ao seu alto custo e dificuldades da maioria das famílias brasileiras em adquirir, penso que se o cidadão comprovar situação de não ter condição de comprar, deve sim receber pelo SUS que é um recurso público. 2ª - Não 3ª - Penso que o paciente deve comprovar que não tem condições de pagar pelo medicamento ... Somente assim deve receber pelo SUS. 4ª - Não haverá impacto orçamentário para a União visto ser doença rara e assim serão fornecidos poucos pelo Sistema Único de Saúde ... Tomando cuidado contra golpes contra a UNIÃO. 5ª - Não
05/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
05/04/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
05/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Aberração! Esta afirmação foi defendida por um membro da 95ª Reunião Virtual, às 3 horas 01min 43seg do vídeo no site da Conitec, se referindo à judicialização na oferta de medicamentos pelo SUS. Aberração, na realidade é paciente com a Doença de Pompe ter que recorrer à justiça para conseguir tratamento com o único medicamento disponível para eles sobreviverem. A Avaliação de tecnologias na saúde se presta a avaliar entre diversas opções a que é melhor com menor custo e NÃO para tirar a chance de sobrevivência de brasileiros doentes. A decisão desfavorável pelo fato das evidências serem classificadas como fracas, não se sustenta porque os senhores reconhecem os benefícios, às 2 horas 54 minutos e 36 segundos da reunião, na redução da mortalidade e, além disso, a regra básica da epidemiologia em doenças raras encontra uma barreira natural: os poucos pacientes. Não se admite que os membros da Conitec, economistas, médicos e ainda conselheiros contratados, desconhecem a epidemiologia das doenças raras. Aberração são estes mesmos membros, que negam a incorporação do medicamento alfa-<i>glucosidase</i> (“MYOZYME”) com argumentos inconsistentes e inconstitucionais, sentença quem pode sobreviver neste país. Os pacientes com a Doença de Pompe merecem ter seus direitos constitucionais garantidos e direito a sobreviver, apesar da Conitec. A dor do sofrimento físico e falta de ar progressiva podem se manifestar até os 70 anos. Principalmente após esta comissão, aprovar o uso do medicamento em tratamento precoce. Seria esta decisão, pelo menor custo, porque não possuem chances de sobrevivência? Os pacientes de DPIT são profissionais que já deram sua contribuição a sociedade, pagaram seus impostos e constituíram família. A doutora da Comissão na 95ª reunião faz afirmações descabidas: “A judicialização não pode ser aceita de forma passiva”, “Em minha opinião esta tudo errado”, “Sim (aprovo) com redução de preço”. Observo que apesar de esta Comissão ser presidida por uma economista, que somente de proventos, fez jus a aproximadamente R\$ 462.068,10 (Salário+13º), sem os habituais auxílios de viagem, os quais nos últimos anos, teve o privilégio de visitar: Genebra, Bogotá, Frankfurt, Buenos Aires, Barcelona, Boston, Califórnia, Pensilvânia, Washington, Vancouver, Montevidéu, Cidade do Panamá, Lima, San Salvador, Santiago, Oslo, e ainda, os estados RS, SP, BA, RJ e MT (fonte: transparência Brasil), NÃO levou em considerações os estudos e relatos dos benefícios do MYOZYME. Com certeza as viagens NÃO auxiliaram a CONITEC entender melhor o flagelo dos PACIENTES POMPOSOS, sem a incorporação do medicamento no SUS. A conclusão sugerida inicialmente pela presidente “Negativo, tendo em vista o impacto orçamentário e vê o que vem”, complementada pelos dizeres da Dra. “Em que país nós vivemos!”, reflete bem como esta Comissão trata os Cidadãos Brasileiros, neste caso os pacientes com Doença de Pompe.</p> <p>2ª - Sim. As mesmas observadas pela ANVISA por ocasião do registro do medicamento MYOSYME.</p> <p>3ª - Sim. Cumprir a Constituição Federal.</p> <p>4ª - Não.</p> <p>5ª - Não.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
05/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo. Doação 2ª - Sim 3ª - Sim 4ª - Sim 5ª - Sim
05/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Nada a comentar. 2ª - Não. 3ª - Não. 4ª - Não. 5ª - Não
05/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
06/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Acho discriminatório privar pacientes com uma doença rara progressiva e incapacitante da única terapia específica disponível para a sua condição</p> <p>2ª - Minha impressão ao ler o documento é que os técnicos da Conitec não levaram em consideração as evidências mais recentes disponíveis, que me parecem bastante favoráveis ao tratamento com alfa-<i>glucosidase</i>.</p> <p>3ª - Esta é uma doença que demanda muitos cuidados ao longo da vida, incluindo inúmeras hospitalizações, os quais são sensivelmente reduzidos nos pacientes em tratamento, gerando uma economia para o sistema de saúde, não só em termos financeiros mas como em relação à redução da sobrecarga do sistema.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Faço um apelo à CONITEC, como um médico que tem mais de 40 anos de experiência com doenças lisossômicas e teve a possibilidade de acompanhar pacientes com doença de Pompe de início tardio antes da TRE e também depois da TRE, tendo tido a oportunidade de vivenciar a mudança para melhor na qualidade de vida dos pacientes submetidos à TRE.</p>
06/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Nao</p> <p>3ª - Nao</p> <p>4ª - Nao</p> <p>5ª - Nao</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/04/2021	Paciente	<p>1ª - Discordo. A Alfa-glicosidase ácida já está devidamente registrada desde 2007 pela Anvisa e autorizado para tratamento de todos os pacientes de doença de Pompe. Assim como em todo o mundo. Este processo não deveria mais existir.</p> <p>2ª - Eu sou prova viva da evidência clínica da alfa-glicosidase ácida. Tenho 66 anos e faço de modo irregular a medicação por ser judicializado. Os pacientes em TRE apresentam incontestável evidência clínica da eficácia do tratamento. Algo já comentado em todos os PTC já produzidos.</p> <p>3ª - Vale um estudo econômico sério em todo processo de avaliação de custo-efetividade da medicação em questão. Algumas medicações tão cara quanto a alfa-glicosidase são utilizadas. Insisto no tempo de registro no país e o uso em todo o mundo, além do ganho de qualidade de vida, da longevidade já que existe 5 vezes menos mortes entre os tratados quando comparados aos não tratados. Esses pacientes quando não tratados apresentam internações prolongadas e de altíssimo custo. Além disso, a avaliação de preço não foi levada até o fim pela Conitec, faltou avaliar outra proposta encaminhada pelo laboratório.</p> <p>4ª - "Sim. Rever toda máquina envolvida com a incorporação de um medicamento órfão e de alto custo. Acho um desperdício de dinheiro que deveria ser utilizado na compra do medicamento e não com burocracia evidente para se discutir o que já está feito no país e no mundo afora. É crucial novo modelo de negociação para medicamentos de alto custo. Tenho certeza que diminuiria bastante o déficit orçamentário. Deve-se discutir que a vida com qualidade não tem preço. Acredito é que norteia uma boa Política Pública de Saúde no país."</p> <p>5ª - Seguir os procedimentos adotados pelas grandes economias. Gastar bem. Em saúde as demandas sempre serão infinitamente maiores que a disponibilidade existente nos cofres públicos. O que não tem mais cabimento é negar a medicação com efetividade comprovada, a única possibilidade de tratamento desses pacientes</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	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
06/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo. Uma vida não tem preço, vale apenas ver a recuperação do paciente com essa medição 2ª - A melhor de paciente depois que iniciou o uso dessa medicação, sua expectativa é qualidade de vida melhor significativamente. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
06/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
06/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Não Concordo e Não Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
06/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
06/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. COMO MUITOS TRABALHOS JA DEMONSTRARAM BENEFICIOS DO USO DA MEDICAÇÃO, COM EVENTOS ADVERSOS EM SUA MAIORIA LEVES, SOU FAVORAVEL A INCORPORAÇÃO DA MEDICAÇÃO.</p> <p>2ª - OS TRABALHOS DEMONSTRAM MELHORA SIGNIFICATIVA NA QUALIDADE DE VIDA DO PACIENTE, NO TESTE DA CAMINHADA, NA CAPACIDADE VITAL FORÇADA E TAMBÉM NA SOBREVIDA DOS PACIENTES.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. "Trata-se de um tratamento com reposição enzimática que mostrou benefício tanto nas provas respiratórias quanto na força muscular, com melhora da sobrevida em paciente em uso da medicação.Trata-se de uma doença rara, onde o ""N"" de pacientes é menor. Várias publicações na literatura ja comprovam sua eficácia e melhora subjetiva e objetiva"</p> <p>2ª - "Acompanhamos 2 familiares com uso do Myozyme no Serviço de Neurologia no HGF (HOSPITAL GERAL DE FORTALEZA).Um dos familiares faz uso regular da medicação, com consultas assíduas e boa resposta ao tratamento. O irmão da mesma familiar abandonou tratamento por questões de dependência química. Atualmente o irmão encontra-se cadeirante e dependente de familiares para atividades de vida diária"</p> <p>3ª - -</p> <p>4ª - -</p> <p>5ª - Várias artigos evidenciam melhora - deixarei em anexo</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Discordo. A alfa-glicosidase ácida está registrada no Brasil desde 2007 para uso em todos os pacientes de doença de Pompe não restringindo a idade do paciente. A Conitec não leva em consideração os laudos técnicos, científicos e econômicos exaustivamente publicados nos últimos anos.</p> <p>2ª - Sim. Trabalhos publicados em todo mundo e pelos Centros de Referências em Doença Rara e Centros Universitários do Brasil contribuem com vasta produção científica, apesar de uma amostragem pequena, não são levados em consideração pela Conitec. Os próprios PTC já identificam as evidências clínicas positivas dos pacientes tratados e a efetividade da alfa-glicosidase ácida no tratamento da DP qualquer idade.</p> <p>3ª - Algumas outras medicações para doença rara já são utilizadas pelo SUS, apesar de custo mais elevado e em pacientes potencialmente mais graves. É necessário uma avaliação criteriosa do gasto brasileiro com uma burocracia cada vez mais difusa. Sabe-se que as demandas em saúde são muito maiores do que a disponibilidade de recursos. Portanto insistir no bloqueio da incorporação da alfa-glicosidase somente aumenta o gasto com a saúde, pois esses pacientes evoluem com mais comprometimento clínico, internações prolongadas e uma morte precoce.</p> <p>4ª - Gastar bem. Negociar exaustivamente com as indústrias o melhor preço, novas modalidades de negociação, compensar impostos ou reduzi-los quanto ao medicamento, melhor análise de custo x benefício diante de todas as comorbidades do paciente de Pompe não tratado para o SUS, além de evitar ao máximo os gastos inerentes a uma judicialização da questão por todos os pacientes, com a incorporação do tratamento inclusive para pacientes de início tardio, em cumprimento da Constituição e Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Além de reduzir o custo de distribuição em um país tão grande. Saber onde esses pacientes estão e fazer chegar a medicação o mais rápido e com melhor preço.</p> <p>5ª - Corrigir toda a máquina institucional envolvida com a incorporação da alfa-glicosidase ácida. A Anvisa já aprovou e registrou o medicamento desde 2007 e ainda discutimos em reuniões enfadonhas a efetividade de uma medicação utilizada comprovada. Basta perguntar aos médicos e profissionais de saúde envolvidos na condução desses doentes.</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. "A terapia de reposição enzimática com alfa glicosidase também deve estar disponível para os pacientes com as formas juvenil e adulta. A TRE é a única terapia específica para a doença de base. Os estudos para a forma adulta relatam melhora da força muscular , função respiratória, qualidade de vida e sobrevida. "</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/04/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. "Existe comprovação da eficácia em relação a cardiopatia, e desenvolvimento neuropsicomotor. Não há estudos suficientes de longo tempo, porém há uma desaceleração na progressão da fraqueza. "</p> <p>2ª - Acompanho um pacientes de início precoce, com mais de uma ano em tratamento, com leve atraso do DNPM. Acompanho outro paciente adulto, evoluindo de forma lenta em relação a fraqueza muscular, em anos de tratamento, mantém marcha.</p> <p>3ª - Não.</p> <p>4ª - Não tenho custos, mas o indivíduo adulto sem o tratamento deixa de ser produtivo e termina necessitando de suporte respiratório, mais precocemente.</p> <p>5ª - Não.</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O SUS tem por obrigação garantir o tratamento, sendo a TRE, a única opção de manter q qualidade de vida e garantir sobrevida ao paciente independente da fase de início da manifestação da Pompe.</p> <p>2ª - A administração e reposição da Enzima, se torna a única e efetiva forma de garantir a piora clínica do paciente além de protelar o declínio funcional muscular e consequentemente respiratório.</p> <p>3ª - O custo com internamento hospitalar tanto de rede privada quanto pública com as complicações decorrentes da evolução da Doença é maior que a dispensa da medicação, tendo em vista que o número de leitos clínicos e de TI, são escassos.</p> <p>4ª - Já é previsto dentro do orçamento destinado ao financiamento do SUS a despesa com medicamento de alto custo. Tendo em vista que uma doença com incidência rara, com ocorrência muito menor em relação a outras existentes.</p> <p>5ª - O MS, em parceria com laboratórios nacionais, mediante transferência de tecnologia, poderiam produzir medicamentos de alto custo de forma a diminuir o custo total do tratamento desses pacientes.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. "Fui introduzido à doença de Pompe em 2007. Sou pesquisador titular da Fundação Osvaldo Cruz, coordenando o Centro de Genética Médica, Centro de Referência para Doenças Raras e Centro de Referência para Osteogênese Imperfeita. Sou médico-geneticista há mais de 30 anos. Fui responsável em agregar os profissionais e autor principal na elaboração dos Consensos Brasileiro da Doença de Pompe de 2009 (7 crianças Infantil e 18 de instalação tardia); e, 2016 voltado para as formas juvenil e adulta. Introduzi temáticas que até então não eram discutidas, como critérios para interrupção do medicamento, classificação da doença pela CIF (Classificação Internacional de Funcionalidade), entre outros temas, assim como gestantes com doença de Pompe. O consenso de 2016 foi incluído como dos 04 consensos mundiais que permitem responder à todos os cenários de Pompe, desde o assintomático identificados pelo screening familiar ao paciente mais grave, especialmente de instalação tardia. Convivi na prática clínica com os pacientes CRIM negativos sem imunomodulação, Crim negativos com imunomodulação, anticorpos anti-rhGAA altos, persistentes e neutralizantes no pacientes de instalação tardia; necrópsias de bebês CRIM negativos, coortes de pacientes com Pompe de instalação tardia para as provas de função respiratória antes e depois de serem medicadas com rhGAA ; conduzi estudo nacional para Pompe infantil quanto à dependência tecnológica dos pacientes tratados; publiquei trabalhos internacionais juntamente com o grupo do Registro Internacional de Pompe, tanto para a avaliação da eficácia do medicamento junto a capacidade vital forçada; como, o estudo das novas variantes genômicas descritas no Registro visando auxiliar os clínicos na predição do CRIM. Convivo com pacientes da ABRAPOMPE, Associação dos Pacientes com Doença de Pompe, tanto em reuniões científicas como consultor técnico. Respondi à consulta pública anterior quando da aprovação para a forma infantil. O critério de aprovação utilizado foi urgência e mortalidade/sobrevivência. Contudo, introduziram ao sistema de saúde pacientes com um cenário muito grave da história natural, inúmeras comorbidades, dependência tecnológica e baixíssima qualidade de vida; muitos perdem a capacidade de deambulação adquirida; há lesões do SNC, uma vez que o medicamento não atravessa a barreira hemato-encefálica; além de emergir complicações clínicas pela maior sobrevivência (surdez, déficit intelectual). Pompe de instalação tardia, por sua vez, é o inverso; são pacientes na maioria bastante comprometidos na sua capacidade motora (subir escadas, atividades físicas e/ou esportivas) com perda da deambulação diante do atraso no diagnóstico da doença; e, o cenário futuro de uma cadeira de rodas é inevitável; assim como, incapacidade respiratória com qualidade de sono muito ruim (falência diafragmática e hipercapnia) levando invariavelmente a dependência do respirador. E a experiência dos pacientes tratados modificam o panorama geral da sua doença demonstrado pelas revisões sistemáticas, metanálises, série de casos, evidências do especialista, entre outras formas de evidência (como os ensaios clínicos pivotais) minimizando o impacto da carga de doença tanto em qualidade de vida quanto morbi-mortalidade. Estes dados são incontestáveis. O preceito de prescrever a um paciente um medicamento que mostra benefícios incontestáveis comparado a outros disponíveis torna-se um preceito bioético. É o caso do medicamento em discussão. Há indicação para tratar Pompe tardio com rhGAA. Por fim, as novas modalidades terapêuticas para Pompe, principalmente terapia gênica, tornarão este período de uso com o tradicional medicamento rhGAA coisa do passado. Vida curta no cenário brasileiro e mundial; até a próxima judicialização que irá continuar impactando o sistema e custeio ao SUS, caso mantém-se os critérios clínicos e ratamento com rhGAA fora das prioridades de decisão."</p> <p>2ª - Basta fazer uma simples revisão bibliográfica.</p> <p>3ª - Não tenho conhecimento para tal. Sinto muito</p> <p>4ª - Não tenho conhecimento para tal. Sinto muito</p> <p>5ª - As evidências clínicas sobre o tema (Doença de Pompe) sobrepõem qualquer discussão relacionada ao impacto financeiro/econômico, especialmente no novo cenário das inúmeras medicações e doenças raras já inclusas na dispensação do</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
		SUS.
06/04/2021	Paciente	<p>1ª - Concordo. Pois ajudam a muitos a conseguir a sua cura e melhora da saúde</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O uso da Alfa-glicosidase ácida em pacientes com início tardio é fundamental para melhorar a qualidade de vida da maioria dos pacientes com Doença de Pompe, já que a maioria tem o diagnóstico tardio e apesar disso, o medicamento pode sim melhorar o prognóstico e a qualidade de vida dos pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - "O custo de um paciente sem medicação, entre internamentos, medicamentos, afastamento de trabalho e aposentadoria e óbito precoce é muito maior a longo prazo que o tratamento em si. Isso sem contar com todos os processos judicializados que causam um grande prejuízo para o Estado. Investir no tratamento e estender o tratamento para todos os pacientes pomposos é projetar economia para o Estado. "</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Nenhum paciente com doença rara pode ser responsabilizado pela sua doença e muito menos pela consequência dela. Projetarmos a ausência de tratamento e todo o sofrimento que a doença causa é muito importante na decisão final, pois tenho certeza que oferecer qualidade e de vida e uma chance de sobrevida numa doença rara como essa, supera qualquer orçamento.</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	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
06/04/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A doença de Pompe é uma doença que traz muitas consequências na vida do paciente e de seus familiares e, felizmente, atualmente é possível um tratamento. Por isso é importante que o tratamento dessa doença seja incorporado às políticas do governo.</p> <p>2ª - Casos tratados desde cedo apresentam boa evolução e qualidade de vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo. A vida em primeiro lugar. Precisamos pensar nas pessoas que precisam de medicamentos e tem muitos que sofre com enfermidade. É necessário que repensem a forma que solicita os medicamentos necessário a saúde das pessoas. O tratamento é necessário e o remédio também. Precisamos ter em mente que precisamos cuidar de toda forma de enfermidade ou doença.</p> <p>2ª - Se pesquisarem bem há pessoas que sofrem dessa enfermidade e muitas vezes deixamos de lado e não nos preocupamos e nem ligamos por estes.</p> <p>3ª - Sim. Usar corretamente o valor designado para saúde. E fiscalizar o governo e prefeituras quanto ao verdadeiro uso do dinheiro e também dos medicamentos. Não fazer como fizeram com os remédios enviados pelo governo federal para o covid. Todos que estão aí sabem disso.</p> <p>4ª - Todos sabem como fazer e economizar. Não super faturar e ver o melhor para todos.</p> <p>5ª - Sou voluntário.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Pacientes necessitam do tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. "Sendo a doença rara, a chance do diagnóstico ser tardio é alta.As evidências de boa qualidade tendem a ser mais escassas nas doenças raras, pelo baixo nSugiro que novos estudos sejam realizados com a incorporação do tratamento (e conseqüentemente aumento da base de estudos) e medidas exclusão sejam tomadas apenas depois desses estudos, não o contrário."</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - "Não.A realização disponibilizada no estudo técnico já me parece justificar a liberação do tratamento."</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Acredito que já existem evidências favoráveis ao uso da medicação em benefício dos pacientes.</p> <p>2ª - Evidências de melhora ou estabilização em pacientes sintomáticos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Discordo devido ao fato do tratamento ainda não estar disponível para pacientes adultos. Considerando morbimortalidade da doença sem tratamento e uso via judicial , o custo torna-se maior sem a liberação</p> <p>2ª - Também Existe evidência nos pacientes de início tardio</p> <p>3ª - Considerando morbimortalidade da doença sem tratamento e uso via judicial , o custo torna-se maior sem a liberação</p> <p>4ª - Ndn</p> <p>5ª - Ndn</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Se as evidências sugerem que o uso da TRE com alfa-alglicosidase reduz a mortalidade na doença de Pompe de início tardio em 59% e pode ter algum efeito na qualidade de vida dos pacientes. Melhora a capacidade funcional dos pacientes, pois o tratamento com alfa-alglicosidase aumenta a distância percorrida no teste de caminhada de 6 minutos e estabiliza a capacidade vital forçada. Portanto necessita a incorporação do medicamento para uma sobrevida aumentada e melhora de qualidade de vida destes pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Todos os Pacientes com doença de Pompe tem o direito de acesso ao tratamento tanto da forma precoce como da apresentação tardia, pois quando tratados apresentam melhora do quadro e indiscutivelmente uma melhora da qualidade de vida.</p> <p>2ª - Não.</p> <p>3ª - O valor de uma vida não tem preço e com certeza o governo consegue absorver este compromisso com a saúde de sua população.</p> <p>4ª - Pacientes de Pompe quando tratados podem precisar menos de serviços de suporte como fisioterapias e internações hospitalares.</p> <p>5ª - Cabe comentar que 70 % dos pacientes acometidos por Pompe são da forma tardia, em se tratando de uma doença rara, vale considerar este percentual de indivíduos que são excluídos caso esta não recomendação seja efetivada.</p>
06/04/2021	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
--------------	-----------------	---------------------------

06/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo. Esta medicação tem impacto importante na sobrevivência e qualidade de vida dos pacientes com Pompe 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
------------	-----------------------	---

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/04/2021	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Discordo. "Prezada CONITEC, A Sanofi Medley Farmacêutica Ltda. respeitosamente vem por meio desta apresentar nossas considerações a respeito do relatório de recomendação "Alfa-α-glicosidase como terapia de reposição enzimática (TRE) na Doença de Pompe de início tardio", assim como fornecer análises econômicas complementares considerando a nova proposta de preço protocolada junto ao Ministério da Saúde e reiterar nossa total disposição em colaborar com a CONITEC na ampliação do acesso à alfa-α-glicosidase para os pacientes com Doença de Pompe."</p> <p>2ª - "1. Impacto da Doença de Pompe de Início Tardio e o benefício da terapia de reposição enzimática Como relatado pela CONITEC, a Doença de Pompe de Início Tardio (DPIT) é uma doença rara de caráter crônico, rara, cujos principais sintomas são fraqueza muscular progressiva, dificuldades respiratórias e alimentares e comprometimento da capacidade motora. Devido a frequência do acometimento respiratório, a insuficiência respiratória e complicações associadas são as causas mais comuns de morte. (CONITEC, 2021) Os pacientes com DPIT manifestam uma ampla variedade de sintomas, incluindo declínio progressivo da função musculoesquelética (incluindo respiratória), bem como manifestações gastrointestinais, cardíacas, neurológicas e vasculares (Chan, et al., 2017). Como os sintomas podem se apresentar a qualquer momento desde a infância até a idade adulta, se não for tratada, leva à incapacidade progressiva, incluindo o comprometimento da deambulação e dependência de uma cadeira de rodas e/ou ventilador (Hagemans, et al., 2005) (Chan, et al., 2017). Cada ano de não tratamento após o diagnóstico adiciona a chance de uso de cadeira de rodas em 13% e de suporte respiratório em 8% ($P < 0,001$) (Hagemans, et al., 2005). O risco de morte na DPIT sem acompanhamento terapêutico é 3 vezes maior do que a população em geral e ocorre com uma idade média de 45 anos (Winkel, et al., 2005) (Güngör, et al., 2011). Os pacientes com DPIT não tratados apresentam menores níveis de qualidade de vida, especialmente no domínio do funcionamento físico, que é 3 vezes inferior à população geral (Hagemans, et al., 2004) (Yuan, et al., 2020). As maiores restrições às atividades diárias, medidas na Escala de Deficiência de Roterdão (RHS), são a necessidade de apoio respiratório e a necessidade de utilização de cadeira de rodas (Hagemans, et al., 2007). A função respiratória também demonstrou ser um fator importante na qualidade de vida dos pacientes (Berger, et al., 2019). A deficiência associada à DPIT provoca absenteísmo e redução de jornada laboral tanto para o paciente como para o cuidador, impactando a renda familiar (Kanters, et al., 2011) (Schoser, et al., 2019). Os pacientes com DPIT não tratados com TRE precisam de vários cuidados associados a um alto custo médico direto (ex. cuidado hospitalar, ambulatorial, domiciliar, alimentício, medicamentoso, procedimentos, suporte respiratório e motriz e dispositivos médicos) (Kanters, et al., 2011). A alfa-α-glicosidase é a primeira e única terapia de reposição enzimática (TRE) atualmente autorizada no Brasil para o tratamento da Doença de Pompe. O tratamento melhora a função respiratória e a função motora nos pacientes com Doença de Pompe (Bembi, et al., 2008) (Schoser, et al., 2017) (Junior, et al., 2015) (Stockton, et al., 2020), e também melhora a qualidade de vida nos pacientes com DPIT (Kishnani, et al., 2007) (Nicolino, et al., 2009) (Güngör, et al., 2016) (Hahn, et al., 2018) (Ploeg, et al., 2010). Ao analisar os estudos que trataram da eficácia e segurança da alfa-α-glicosidase, a CONITEC identificou que seu uso reduziu em 59% a mortalidade conforme o observado no estudo de Güngör e colaboradores (Güngör, et al., 2011) (CONITEC, 2021). Digno de nota, outros estudos apresentam resultados ainda mais animadores; metanálise realizada por Schoser e colaboradores apresentou redução de mortalidade ainda maior, da ordem de 79%, e com maior precisão de resultados (HR 0,21; IC95% 0,11 a 0,41) (Schoser, et al., 2017). "</p> <p>3ª - "2. Novo preço proposto e consequências na estimativa de impacto orçamentário A Sanofi protocolou uma nova proposta de preço para a ampliação de uso que é 21,71% menor ao preço praticado em compras públicas conforme o Painel de Preços em Saúde. Consideramos que esse novo preço (R\$ 1.075,02) viabiliza a ampliação de uso para os pacientes com DPIT, não apenas por ampliar a redução de custos já observada na análise de impacto orçamentário, mas também amparando a sustentabilidade</p>

financeira do SUS."

4ª - "Na análise de impacto orçamentário, consideramos critérios específicos de elegibilidade para início, manutenção e interrupção do tratamento. Adicionalmente, se considerarmos o modelo atual de compras, tanto realizado pelo Ministério da Saúde como Secretarias Estaduais, observou-se economia de recursos com a ampliação de uso da alfa-*glucosidase* no PCDT devido à padronização de critérios de uso da terapia de reposição enzimática. (CONITEC, 2021) Levando-se em conta que, conforme o descrito na página 30 das Diretrizes Metodológicas de Análise de Impacto Orçamentário do Ministério da Saúde, "o custo da judicialização pode ser considerado quando se prevê uma demanda significativa da intervenção por meio de ordem judicial" (Ministério da Saúde, 2014), acreditamos estar seguindo as melhores práticas atualmente disponíveis e recomendadas por esta respeitada instituição. Um ponto levantado na avaliação do impacto orçamentário foi a dependência do preço proposto a uma isenção tributária. A Sanofi protocolou uma nova proposta de preço para a ampliação de uso que é 21,71% menor ao preço praticado em compras públicas e que não depende da isenção tributária. Isto é, na hipótese do produto não vir a ser incluído no Convênio 87/02, que garante a desoneração do ICMS, o novo preço para a ampliação de uso do produto será mantido. Considerando a nova proposta, recalculamos os resultados da análise de impacto orçamentário. Para estimar o custo anual médio do tratamento de um paciente com DPIT no cenário sem ampliação de uso usou-se o preço unitário praticado em compras públicas (R\$1.373,10), enquanto o cenário com ampliação de uso considerou o preço proposto para ampliação de uso (R\$ 1.075,02). Como é possível observar na Tabela 1, a nova proposta de preço gera uma economia significativa para o SUS. Um segundo ponto levantado na avaliação da análise de impacto orçamentário foi a projeção do custo da demanda judicial no cenário sem ampliação de uso. Considerando a nova proposta, as conclusões da análise de impacto orçamentário são altamente robustas a alterações nessa projeção. A seguir apresentamos os resultados da análise de sensibilidade apresentada no inciso 5.3.2 do dossiê, a qual considera uma projeção mais conservadora do custo da demanda judicial. Como é possível conferir na Tabela 2, o custo do atendimento via judicial no primeiro ano da análise coincide com a soma dos valores de 38 e 38,5 milhões de reais apresentados pelo Ministério da Saúde e pelo CONASS, respectivamente, correspondentes a aquisições em 2019. Como é possível observar na tabela acima, a nova proposta de preço gera uma economia significativa para o SUS, mesmo considerando uma projeção mais conservadora do custo do atendimento pela via judicial se não houver ampliação de uso. Conclui-se que a ampliação de uso da *alfa-*glucosidase** gera economias para o SUS. A *alfa-*glucosidase** já está incorporada no SUS para o tratamento da Doença de Pompe de Início Precoce (DPIP). No caso de aceite da nova proposta, contemplando a incorporação do medicamento para toda população afetada, o novo preço também seria aplicado ao custo de tratamento dos pacientes de início precoce, reduzindo as despesas correntes de tratamento. Isto é, há economia ao SUS adicional ao valor estimado acima. Reconhecemos que há particularidades em relação às diferentes doenças raras, tanto em linha de evidência quando de necessidades não atendidas atualmente nos PCDT. Apesar de não serem diretamente comparáveis, entendemos que uma possível incorporação para Doença de Pompe não destoaria de decisões recentes da plenária, como no caso de MPS VII e Fibrose Cística. (CONITEC, 2020)"

5ª - "Novamente, considerando os motivos já reconhecidos pela CONITEC assim como os motivos adicionais aqui expostos, concluímos que a ampliação de uso da *alfa-*glucosidase** no SUS para o tratamento de pacientes com Doença de Pompe de Início Tardio representa uma oportunidade de beneficiar mais de 100 pacientes com esta doença rara, letal, de caráter crônico. Adicionalmente, tem potencial de gerar economias para o SUS além de reduzir o custo do tratamento dos pacientes com Doença de Pompe de Início Precoce, hoje já considerados no PCDT. A *alfa-*glucosidase** é um tratamento atualmente disponível no SUS

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
		para os pacientes com doença de Pompe de início precoce e é efetiva e segura no tratamento da doença de Pompe de início tardio. A judicialização do tratamento representa uma carga importante para os pacientes e o SUS. A ampliação de uso da alfa-glicosidase dentro de um PCDT que considera o uso de critérios de início e interrupção para os pacientes com doença de Pompe de início tardio ajudaria a que o paciente obtenha acesso oportuno ao tratamento e controlar a carga orçamentária ao SUS. O uso de critérios de início de interrupção do tratamento pode potencialmente gerar uma economia ao sistema conciliando o aparente conflito entre o acesso e a sustentabilidade do sistema.Referencias no documento em anexo. "
06/04/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
06/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
06/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. "Atualmente acompanho uma paciente adolescente com a forma atenuada (de início tardio) da doença de Pompe e observo o quanto ela vem melhorando em força muscular e em qualidade de vida após iniciar o tratamento da reposição enzimática há cerca de 1 ano. Há cerca de 10 anos tive a oportunidade de acompanhar uma outra criança de 08 anos, filha de casal consanguíneo, que parou de andar aos 7 anos e no momento da minha primeira avaliação/diagnóstico de Doença de Pompe se encontrava hospitalizada há cerca de 7 meses em um hospital público. Traqueostomizada e dependente de ventilação mecânica para respirar, durante esse período longo de internação, contraiu ainda tuberculose pulmonar. Após o diagnóstico de Doença de Pompe, iniciou TRE com alglucosidase alfa e após seis meses saiu de alta com traqueostomia fechada e deambulando sozinha... voltou até a andar de bicicleta na rua. e brincar com outras crianças..Vou encaminhar as fotos em documento anexo do antes e depois da TRE, pois este caso não foi publicado."</p> <p>2ª - Além da minha experiência pessoal, existem revisões sistemáticas publicadas sobre o tema, dentre elas, destaco: Toscano, A., Schoser, B. Enzyme replacement therapy in late-onset Pompe disease: a systematic literature review. J Neurol 260, 951–959 (2013). https://doi.org/10.1007/s00415-012-6636-x que concluiu que dois terços dos pacientes com a forma tardia estabilizaram ou apresentaram melhora clínica após iniciar a TRE com alglucosidase alfa (esta revisão avaliou 21 estudos contendo dados de 368 pacientes com a forma tardia da doença de Pompe)</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/04/2021	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
06/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. O tratamento para Pompe modifica intensamente para melhor a qualidade de vida do paciente. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
06/04/2021	Paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
06/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Já existem estudos clínicos mostrando eficácia da terapia de reposição enzimática para doença de Pompe de início adulto 2ª - Existem ensaios clínicos que demonstram eficácia 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
06/04/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
06/04/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo. O SUS precisa muito de medicamento, porque e muito caro, A maioria da população não tem condições nenhuma para adquirir esse medicamento, por isso o Governo tem que bancar, porque e dever do governo , muitas pessoas sofrem Desa doença, e precisa desse medicamento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
18/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Medicação única disponível no mercado</p> <p>2ª - Já está evidente a mudança de prognóstico com a medicação em destaque</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
18/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Sou favorável à incorporação do medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - A judicialização tende a despender mais tempo e dinheiro e no final o paciente conseguirá o direito ao medicamento. Sou favorável a simplificar e universalizar o acesso ao tratamento.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Ainda que resultados dos estudos sejam tímidos para os pacientes e seus familiares uma pequena melhora na mortalidade tem valor inestimável.</p>
18/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Uma vez que o cidadão contribuinte se depara com uma doença de difícil diagnóstico porém com tratamento eficaz comprovado, esse não pode deixar de receber tal tratamento, sendo desumano e indo contra os preceitos do SUS não garantir a integralidade da cobertura à saúde.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
18/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
18/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
18/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
18/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Inviável o tratamento para pessoa com nível financeiro mediano ou até mesmo alto 2ª - Todos têm direito ao tratamento adequado 3ª - Inviável uma pessoa arcar individualmente com o tratamento 4ª - Não 5ª - Não
18/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
18/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
18/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
18/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
19/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
19/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
19/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
20/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
21/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo. . 2ª - . 3ª - . 4ª - . 5ª - .
21/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Se a única saída para os portadores da doença de pompe que ela seja oportunizada para todos. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
22/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. É uma medicação de extrema relevância para pacientes portadores da Pompe obterem uma maior funcionalidade e qualidade de vida. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
22/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo. A doença de Pompe de início tardio é altamente incapacitante e a terapia de reposição enzimática é necessária para a limpeza do substrato nos músculos e fígado. Sem a remoção do substrato há perda celular e os sintomas se agravam progressivamente</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
22/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Que essa medicação cheguei logo no SUS, pois é uma dificuldade pra conseguir todo mês...e quem tem essa doença não dá pra ficar esperando a boa vontade de alguém pra conseguir essa medicação...</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Nao</p> <p>5ª - Não</p>
22/03/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
22/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. É fundamental o tratamento precoce para evitar maiores complicações, onde atualmente é necessário judicializar com maiores danos pro sistêmica de saúde e para o paciente. Destaco a evidência sólida do tratamento de reposição.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
22/03/2021	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>
22/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo. Quero conhecer essa doença</p> <p>2ª - Por enquanto não</p> <p>3ª - Por enquanto não</p> <p>4ª - Por enquanto não</p> <p>5ª - Por enquanto não</p>
22/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
23/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A recomendação inicial da Conitec se baseou somente no critério econômico, sem levar em consideração o critério técnico/clínico</p> <p>2ª - "As evidências mostram que o tratamento é eficaz em pacientes com a forma tardia da Doença de Pompe, justificando seu uso nesses pacientes. Em se tratados de doenças raras, estudos clínicos com número reduzido de pacientes é o que é possível de ser feito. Nesse cenário, estudo observacionais são habitualmente feitos e cientificamente aceitos. Outra questão é que quando uma droga nova se mostra eficaz num estudo clínico inicial quando comparada ao placebo, os estudos subsequentes com placebo não são eticamente aceitos já que existe uma droga eficaz para aquela doença. Assim estudos droga X placebo deixam de ser conduzidos e passa-se a fazer estudos observacionais sempre utilizando aquela droga que já se mostrou eficaz. "</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - A incorporação do tratamento da Doença de Pompe não acarretará em aumento do número de casos/diagnósticos que serão feitos. A doença é rara e continuará sendo rara</p> <p>5ª - A não incorporação acarretará na manutenção das judicializações para que os pacientes obtenham tratamento para suas condições</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
23/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Acredito que todos os pacientes, em todas as faixas etárias com doença de Pompe, devem ser contemplados com o tratamento.</p> <p>2ª - A doença de Pompe é uma doença neuromuscular de evolução progressiva, com curso de piora clínica ao longo do tempo, o que significa perda de força muscular esquelética e cardíaca, isto é, perda da capacidade de deambulação e insuficiência cardíaca. Tais manifestações se revestem de morbidade, perda da capacidade laborativa e mortalidade ao longo do tempo.</p> <p>3ª - Levando-se em consideração a incidência da doença relatada na literatura científica (1:100.000), e o número de habitantes no Brasil (aproximadamente 200.000.000), teríamos algo em torno de 2.000 pacientes com Pompe. Em termos de programação orçamentária, fica mais favorável a inclusão da medicação no rol de terapias de alto custo financiadas regularmente pelo governo federal, que a aquisição individual dos mesmos por via judicial. A negociação e a precificação da medicação entre governo federal e indústria traria uma nova perspectiva de vida para destes pacientes que possuem esta doença intratável.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
23/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A doença de Pompe é progressiva e degenerativa, o tratamento com a reposição enzimática (único disponível) é imprescindível. Além do impacto na história natural da doença, modificando o prognóstico, há uma enorme mudança na qualidade de vida das pessoas acometidas.</p> <p>2ª - Não. Está disponível em qualquer site de busca</p> <p>3ª - Não. A vida de um ser humano não pode ser medida desta forma.</p> <p>4ª - Não.</p> <p>5ª - Não.</p>
23/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A Conitec não embasa sua decisão em criterios tecnicos e sim economicos. Importante salientar que a propria agencia considera que ha beneficios com o tratamento.</p> <p>2ª - Trata-se de doença rara onde foram evidenciados beneficios nos estudos iniciais caso-controle com placebo. Nesse sentido, torna-se anti-etico manter estudos controlados. Em doenças raras os estudos de seguimento dos pacientes tratados é bastante usual, e utiliza-se como controle os estudos de historia natural. É uma estrategia valida e aceita para situações de doenças raras.</p> <p>3ª - Avaliação economica é fundamental, mas os criterios tecnicos precisam ser considerados.</p> <p>4ª - A incorporação não irá elevar o numero de diagnosticos. O tratamento é caro mas a doença segue sendo rara.</p> <p>5ª - A não incoporação de tratamentos eficazes é contraria a constituição. A questao precisa ser equacionada dentro das esferas de governo ou a carta magna revista. A disponibilidade de protocolos de tratamento potencialmente reduz a judicialização na saude.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
23/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
23/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Acompanho pacientes que tem melhora clínica e laboratorial ao receberam medicação, sou contra o posicionamento inicial. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
23/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
23/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
23/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. A medicação tem papel importante para pacientes com a doença 2ª - "Seriam tantasBasta buscar em um banco de dados de uma instituição sériaNão é coincidência" 3ª - "Acredito que para otimizar uma vida o custo econômico é secundárioE com o maior uso Mais demanda e preços ficariam secundários" 4ª - Necessário! 5ª - "Importância do usoPacientes tem doença e precisam tratar"

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
24/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo. É importante que o governo conceda medicamentos para pacientes que necessitam.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
24/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
24/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo. O tratamento pode estabilizar a doença e impedir acúmulo de sequelas motoras e perda da funcionalidade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
24/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
24/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
25/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
25/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. O medicamento dará direto a vida.</p> <p>2ª - Sim pois tenho um amigo que utiliza o medicamento e é eficaz</p> <p>3ª - É necessário pois o custo onera o orçamento da família.</p> <p>4ª - "A contribuição do SUS será muito importante na vida do que necessitam."</p> <p>5ª - Será um passo muito importante para o direito a vida dos que passam por esse transtorno.</p>
25/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O paciente adulto de Pompe merece o tratamento adequado, independe da sua idade. Vários pacientes adulto já apresentaram melhora clínica com o uso do produto.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - O paciente de doenças raras, em especial Doença de Pompe, com o tratamento adequado pode ter a chance ser reinserido do contexto sócio econômico.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
25/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
25/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
25/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Tenho paciente com doença de Pompe de início tardio que sofreu impactos na saúde emocional e com piora associada do quadro clínico em decorrência de incertezas no recebimento da medicação</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Uma vez que reforço sempre a judicialização e a causa é via de regra ganha, a incorporação precoce levaria a um melhor esquema e a menos gastos com judiciário, menos gastos com tratamentos de suporte necessários quando o paciente atinge estágios mais avançados, menor impacto psicológico.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
25/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
25/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Discordo totalmente, os pacientes com doenças raras precisam ser em vistas com maior dignidade e para que tenham melhor qualidade de vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
25/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo. Sem comentários. 2ª - Não. 3ª - Não. 4ª - Não. 5ª - Não.
25/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
25/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
25/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo. Necessário e urgente 2ª - Nao 3ª - Nao 4ª - Sim 5ª - Sim
26/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo. Importante o tratamento precoce 2ª - Agora nao 3ª - Nao 4ª - Nao 5ª - A princípio nao

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
26/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
26/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
26/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Os pacientes com a forma tardia da doença de POMPE também tem prejuízos na qualidade de vida e merecem tratamento específico 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
26/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Muitos doentes não tem condições financeiras para manter o tratamento 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
26/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Os pacientes adultos tem muito mais benefícios com o tratamento com a referida medicação, uma vez que, se diagnosticado mais precocemente possível, se consegue manter o paciente ativo por um tempo muito maior, pois geralmente quando jovens tem pouco ou quase não tem sintomas. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
26/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Doscoeso totalmente 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
26/03/2021	Interessado no tema	1ª - Não Concordo e Não Discordo. Até ter mais esclarecimentos. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
26/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Todos os pacientes têm direto ao tratamento 2ª - Mostra eficácia 3ª - No polo de pacientes o valor fica menor. 4ª - Não 5ª - Não
26/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
26/03/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
26/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
26/03/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
26/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Acho que deveria ser incorporado ao SUS. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
27/03/2021	Paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
27/03/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
28/03/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
28/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
28/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo. Estou de acordo com a proposta 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
28/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Pacientes com doença de pompe tem importante limitação não apenas laboral mas relacionado a atividades de vida diária...o tratamento melhora qualidade de vida, reduz internamento hospitalar, aumenta tempo de vida. 2ª - A mudança de vida do paciente em tratamento é impressionante... fornecer a oportunidade de o paciente manter boa respiração, boa deambulacao e redução de queixas de dores, por exemplo é compreender o valor da vida humana. 3ª - Nao 4ª - Nao 5ª - Nao
29/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Acho que pctes com patologias diferenciadas devem ter apoio do governo nos seus tratamentos 2ª - Nao 3ª - Nao 4ª - Nao 5ª - Todos merecem ter uma vida digna

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
29/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Medicação essencial para pacientes jovens que irão apresentar sequelas e déficits no início da vida com importantes complicações é possível evolução fatal</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Perda de força de trabalho em pacientes jovens e aposentadoria precoce caso não seja oferecida a medicação, além do custo de vida não mensurável</p> <p>5ª - Não</p>
29/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
29/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. a recomendação inicial da conitec se baseou apenas em critérios econômicos, sem considerar fatores técnicos e clínicos</p> <p>2ª - "as evidências mostram que o tratamento é eficaz em pacientes com a forma tardia da Doença de Pompe, justificando seu uso nesses pacientes. Tratando-se de doenças raras, estudos clínicos com número reduzido de pacientes é o que é possível ser feito. Nesse cenário, estudos observacionais são habitualmente feitos e cientificamente aceitos.Outra questão é que quando uma droga nova se mostra eficaz num estudo clínico inicial quando se comparada ao placebo, os estudos subsequentes com placebo não são eticamente aceitos já que existe uma opção de tratamento eficaz para aquela doença. assim, estudos droga x placebo deixam de ser conduzidos e passa-se a fazer estudos observacionais sempre utilizando aquela droga que já se mostrou eficaz."</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - a incorporação do tratamento de doença de Pompe não acarretara em aumento do número de casos/diagnóstico que serão feitos. a doença continuará sendo rara.</p> <p>5ª - a não incorporação acarretará na manutenção das judicializações para que os pacientes obtenham tratamento para suas condições</p>
29/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Casos de adultos jovens se beneficiam com o uso da enzima</p> <p>2ª - Vários casos de literatura</p> <p>3ª - O problema é que a medicação é muito cara</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
29/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Como coordenadora médica de um centro de referência de doenças raras, tenho pacientes com diagnóstico de Pompe, e sei de todos os benefícios da terapia de reposição enzimática para o paciente, de qualquer idade!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
29/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
29/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
29/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Estatisticamente 70% dos pacientes com doença de Pompe são de início tardio. Quando tentamos arduamente dar um diagnóstico etiológico em miopatias, sobretudo as genéticas, o paciente percorreu um longo caminho. Eis que Pompe é uma das poucas de tais doenças que são tratáveis. De tal forma, o direito do paciente em receber o tratamento deveria ser garantido 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
29/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Tratamento modifica curso natural da doença favoravelmente, melhora da qualidade de vida e diminuição da mortalidade. O Estado economizaria inclusive com outros gastos com essa população acometida por Pompe, que somados, são mais dispendiosos em custos de hospitalizações por infecções respiratórias de repetição, necessidade de gastrostomia, traqueostomia e uso de CPAP, além de equipe multiprofissional em serviço de atendimento domiciliar e hospitalar.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
29/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - As evidências clínicas são claras em relação a qualidade de vida do paciente.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - O impacto orçamentário pode ser pesado porém a vida dos pacientes não pode ser medida somente por isso.</p> <p>5ª - Não</p>
29/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Não</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Interesse de conhecer</p>
29/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O uso do Myozime traz benefícios que impactam de sobremaneira não apenas na clínica como na qualidade de vida dos pacientes com doença de Pompe. O aumento da sobrevida e uma sobrevida com menor impacto da progressão já justificam o emprego da medicação, especialmente no tocante ao comprometimento respiratório.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
30/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Entendo que o tratamento para pompe tardio é de extrema importância devido a melhora na evolução clínica e retardo de complicações relacionadas à doença.</p> <p>2ª - Recomendação de tratamento em outros protocolos clínicos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
30/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo. A doença de Pompe é uma doença hereditária que durante muitos anos foi considerada doença fora de possibilidade terapêutica. A terapia de reposição enzimática com a alfa-<i>glucosidase</i> mudou a história natural da doença.</p> <p>2ª - Como neurologista de adultos, acompanho dois pacientes no serviço de doenças neuromusculares do Hospital Universitário Pedro Ernesto em tratamento com a alfa-<i>glucosidase</i>. E inquestionável a resposta terapêutica após o seu uso Nestes pacientes. Entendo que é difícil contabilizar está melhora cientificamente uma vez que as margens de melhora com os parâmetros utilizados pelos ensaios clínicos são muito pequenas. Além disso trata-se de doença rara, seria preciso um número maior de indivíduos analisados para obtermos uma resposta significativa.</p> <p>3ª - Como funcionária pública entendo as dificuldades financeiras em relação a esta incorporação, sob o ponto de vista de saúde coletiva. Entretanto como dito acima, acompanho dois pacientes que podem estar vivos apenas por estarem recebendo a reposição enzimática. Como trabalhar apenas com a saúde coletiva? Como não avaliar a saúde individual? Neste caso a sobrevivência? Além disso trata-se de doença rara.</p> <p>4ª - Como dito acima é uma doença rara, entendo que haverá um impacto orçamentário. Entretanto a manutenção dos pacientes em condições de vida minimamente produtivas poderá também ter um impacto orçamentário positivo. Irão menos ao serviço de saúde, poderão manter alguma independência funcional e talvez até produtiva.</p> <p>5ª - Não</p>
31/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Embora concorde que precisamos discutir o custo da incorporação de novos tratamentos, considerando a raridade dessa morbidade e os benefícios apresentados na sobrevida e melhora da qualidade de vida, entendo que deveríamos incorporar o tratamento para pacientes com diagnóstico tardio baseado: 1 - no fato da extrema dificuldade e ainda desigualdade de acesso que torna muitos desses diagnósticos tardios e 2 - estudos de fato demonstram melhora de sobrevida e qualidade de vida.</p> <p>2ª - Em estudo publicado em 2017 aumentos substanciais na sobrevida foram estimados - anos de vida incrementais descontados de TRE variaram de 1,9 anos a 5,4 anos nos cenários sem e com extrapolação de ganhos de sobrevida além do período observado. A qualidade de vida também foi significativamente melhor para os pacientes que receberam TRE.(doi: 10.1186/s13023-017-0731-0)</p> <p>3ª - Acredito que deveríamos ter uma política de redução dos custos com possibilidade de negociação com o (os) fabricantes, mediante um estudo prévio da demanda esperada com a incorporação.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
31/03/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
31/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Todos tem direito a um tratamento a qualquer momento. Devido a dificuldade de diagnóstico e de acesso a um serviço de saúde adequado esse pode acontecer na grande maioria das vezes após os 12 meses. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
31/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. A terapia com reposição enzimática demonstrou resultados positivos em. Várias pacientes de início tardio 2ª - Alguns pacientes adultos tratados com a reposição enzimática apresentaram benefícios com melhora. Da. Força e função rea 3ª - O tratamento com reposição enzimática proporciona o retorno desses pacientes para uma vida laboral e produtiva 4ª - Mesmo com o alto custo do tratamento com reposição enzimática, ainda é menor que o custo desse paciente para a sociedade 5ª - Não
31/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. Discordo especialmente devido ao princípio da isonomia e universalidade do SUS. Há evidências científicas há muitos anos que demonstram que a alfa-amilase estabiliza a progressão da doença em pacientes adultos, melhorando a qualidade de vida, reduzindo morbidade e mortalidade associadas a doença. Os tratamentos de diversas outras doenças com evolução clínica semelhante, amiotrofia espinhal, esclerose múltipla por exemplo foram incluídos, porque então os pacientes com doença de Pompe serão excluídos?? 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
31/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
31/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - O preço do remédio judicializado é muito mais caro. 5ª - Não
31/03/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
31/03/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. "Algumas ponderações para discordar da decisão*:-doença é rara- poucos pacientes acometidos no País (adultos no máximo 200 pacientes)-o tratamento é único- não temos outras opções no momento-o tratamento, sem dúvida nenhuma, é eficaz-estabiliza e ou melhora uma doença com curso progressivo, que, em algum momento, se acelera e se torna irreversível-pacientes que param o tratamento têm piora importante no quadro evolutivo-pode inclusive levar a fraqueza respiratória grave com necessidade de suporte ventilatório e óbito-custo da medicação é relativamente baixo quando comparada com medicações de outras doenças neuromusculares cujo potencial de ajuda na evolução é mais limitado -pouquíssimos efeitos adversos-valor da infusão após desjudicialização pode ser negociado com a empresa produtora e ser consideravelmente reduzido*opinião vinda de um médico que trabalha diretamente com a doença há 8 anos e tem pacientes tomando a medicação no nosso serviço de doenças Neuromusculares do Hospital Geral de Fortaleza-CE"</p> <p>2ª - "Evidências clínicas:1) Estudo com 438 pacientes acompanhados por 45 meses em média J Neurol . 2017 Apr;264(4):621-630. doi: 10.1007/s00415-016-8219-8. Epub 2016 Jul 2.Survival and long-term outcomes in late-onset Pompe disease following alglucosidase alfa treatment: a systematic review and meta-analysis Conclusion: Alglucosidase alfa has a beneficial effect in LOPD patients as demonstrated by improvements in survival and ambulation maintained over time, as well as prevention of deterioration in respiratory function.2) Estudo com 12 pacientes na Pandemia que tiveram falha na regularidade de tratamento J Neurol . 2021 Feb 24;1-8. doi: 10.1007/s00415-021-10475-z. Online ahead of print.The impact of interrupting enzyme replacement therapy in late-onset Pompe disease Conclusion: Interruption of ERT was associated with a deterioration in the core clinical outcome measures. Therefore, an interruption of ERT should be kept as short as possible."</p> <p>3ª - "Curr Pharm Biotechnol . 2020; 21 (6): 467-479. doi: 10.2174 / 1389201021666200217113049.Estudo de viabilidade para a produção de ácido humano alfa-glucosidase à beira do leito: considerações técnicas e financeira"</p> <p>4ª - Acho que pelo N de pacientes em potencial benefício limitado pela raridade da doença, desjudicialização e com uma boa negociação com a Sanofi Genzyme, o custo orçamentário tende a cair bastante.</p> <p>5ª - "Trato pacientes com forma adulta de Pompe há 8 anos. Coincidentemente, tenho 2 irmãos com mesma mutação.Uma paciente inicialmente mais grave recebendo tratamento desde o início e o outro irmão menos afetado, porém que não fez tratamento adequado por questões pessoais e sociais. A 1a hoje encontra-se estável da doença após 8 anos embora com tratamento irregular devido às remessas irregulares vindas do MS; já o irmão, mais novo inclusive, hoje se encontra em cadeira de rodas. Parâmetros clínicos usados mostram estabilidade na paciente 1 mais velha e sob tratamento com alfa-glucosidase e piora clínica do irmão que não foi submetido a nenhum tratamento específico"</p>