

Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Migalastate para pacientes com Doença de Fabry com mutações suscetíveis e idade igual ou superior 16 anos - Conitec

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
03/05/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Concordo. A possibilidade do paciente se tratar com uma medicação VO lhe trará maior qualidade de vida e condição de efetuar suas atividades laborativas, sem comprometimento</p> <p>2ª - Como médico acredito que a melhora clínica e a autoestima será um ganho para qualidade de vida do paciente</p> <p>3ª - A medicação oral não compromete a vida profissional do paciente, gerando assim maior segurança a ele e seu empregador</p> <p>4ª - Com a medicação indicada aos pacientes suscetíveis teremos menor sintomatologia, redução de intercorrências clínicas, proteção de órgãos alvos e maior vida produtiva do paciente</p> <p>5ª - A medicação será uma evolução no tratamento, gerando ao paciente e sua família maior qualidade de vida</p>
04/05/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Concordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
13/05/2021	Paciente	<p>1ª - Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
13/05/2021	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>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/05/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/05/2021	Profissional de saúde	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não Não 4ª - Não 5ª - Não
13/05/2021	Paciente	1ª - Discordo. Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/05/2021	Paciente	1ª - Discordo. Discordo pelo motivo no qual esse medicamento deve sim ser incluído na lista de medicamentos do SUS, pois há pessoas que morrem por falta deste medicamento. 2ª - Sim 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/05/2021	Paciente	1ª - Não Concordo e Não Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/05/2021	Paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. O medicamento é necessário para portadores da doença de Fabry. Vai facilitar muito o tratamento da doença. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Medicamento é direito de todos! 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Medicamentos salvam vidas! Quanto vale uma vida? E se fosse com um familiar teu? Ou com quem vc ama, como seria? 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
14/05/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Paciente	1ª - Discordo. Por que a medicação e necessário para nós que temos fabry e nessesario para poder leva uma vida melhor 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. A medicação é nessesaria para quem tem doença da fabry 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo. Sou a favor do medicamento ser distribuído no SUS para quem tem fibra 2ª - No momento não 3ª - No momento não 4ª - No momento não 5ª - No momento não
14/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
14/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Paciente	1ª - Discordo. Todos os cidadãos merexem medicamento gratuito!, 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo. Simplesmente discordo 2ª - Não. 3ª - Não. 4ª - Não. 5ª - Não.

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
14/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo. Preenchi incorretamente o último formulário. Eu discordo! As pessoas precisam do medicamento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Discordo pelo motivo que este medicamento deve ser incluído na lista de medicamentos do SUS. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
14/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Discordo pelo motivo no qual este medicamento deve sim ser incluído na lista de medicamentos do SUS. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
15/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
15/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
15/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Esse medicamento e fundamental ser inserido no sus 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
15/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Na minha opinião a doença de fabry deveria ser incluída no sus 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
15/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
15/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo. Algo preciso para a vida.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
15/05/2021	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>
15/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo. Tenho uma amiga que precisa muito desse medicamento para sobreviver.</p> <p>2ª - Nao</p> <p>3ª - Nao</p> <p>4ª - Nao</p> <p>5ª - Nao</p>
15/05/2021	Paciente	<p>1ª - Discordo. Todo o ser humano tem direito a viver sem dor??</p> <p>2ª - Após o uso da medicação estou tendo dias melhores...sem dor...e com melhor resultado em exames!!!</p> <p>3ª - Todos temos direito de viver não importa o Qt custa!!!</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
15/05/2021	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>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
15/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. É dever do Estado Brasileiro garantir a vida a todos os brasileiros. Bem como a lei que criou o SUS deve ser cumprida fielmente. Porém de fato o SUS deixa muito a desejar.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - As nossas contribuições econômicas são exorbitantes. No entanto o sistema não nos devolve de forma justa. Enquanto que os que pertencem aos três poderes da Nação, recebem contracheques e penduricalhos que não estão de acordo com a realidade econômica do País!</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Nao</p>
15/05/2021	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>
15/05/2021	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>
15/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. Não</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
15/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. discordo 2ª - nao 3ª - não 4ª - não não 5ª - não
15/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
15/05/2021	Interessado no tema	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
16/05/2021	Paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
16/05/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo. O MIGALASTATE deve ser introduzido no rol dos medicamentos distribuídos pelo SUS. 2ª - Resultados eficazes do medicamento MIGALASTATE no tratamento da DOENÇA DE FABRY 3ª - Conforme a constituição brasileira é dever do governo federal fornecer a Saúde e boas condições de vida a todos os brasileiros 4ª - Uma dieta especial, uma vida diferenciada, dentre outros custos com medicações. 5ª - Incorporar no SUS o medicamento MIGALASTATE para o tratamento da DOENÇA DE FABRY

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
16/05/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O medicamento deve ser fornecido pelo SUS, todo cidadão deve ter suas necessidades atendidas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
16/05/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Não Concordo e Não Discordo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
16/05/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A medicação em questão é comprovadamente eficaz para o tratamento da doença da Fabry, usado na grande maioria dos países, com ótimos resultados clínicos.</p> <p>2ª - Migalastate nos principais estudos conduzidos até o momento demonstrou eficácia e segurança durante mais de 30 meses (a partir dos estudos clínicos ATTRACT e FACETS) de tratamento. O tratamento atingiu estabilização da função renal (FACETS) e redução sustentada e significativa na massa cardíaca (ATTRACT).,</p> <p>3ª - Toda avaliação econômica no âmbito das doenças raras tem que se levar em conta todos os aspectos associados à ausência do tratamento, tais como evolução para doença renal crônica terminal (diálise), evolução com acidente vascular cerebral, improdutividade profissional, entre outros. Os custos de uma má evolução muitas vezes superam os custos demonstrados a partir da incorporação do medicamento.</p> <p>4ª - O impacto orçamentário sempre deve ser feito contabilizando sempre os custos prováveis advindos da ausência do tratamento.</p> <p>5ª - não.</p>
16/05/2021	Paciente	<p>1ª - Discordo. Quero ajudar meu tio</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. O medicamento é necessário para que as pessoas tenham uma vida digna sem tanto sofrimento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
17/05/2021	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Discordo. Discordamos com a recomendação inicial da Conitec de não incorporação da tecnologia Migalastate para o tratamento da Doença de Fabry,</p> <p>2ª - Sim, no documento anexo apresentamos respostas para as dúvidas da Conitec relacionadas às evidências clínicas.</p> <p>3ª - Sim, no documento anexo apresentamos respostas para as duvidas da Conitec à avaliação econômica</p> <p>4ª - Sim, no documento anexo apresentamos respostas as dúvidas da Conitec ao impacto orçamentário.</p> <p>5ª - Todas as contribuições da empresa Pint Pharma encontram-se no documento anexo.</p>
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo. Concordo plenamente com tudo isso.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
17/05/2021	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>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Legal 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Paciente	1ª - Não Concordo e Não Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. A medicação é necessária para que as pessoas tenham uma vida digna e com menos sofrimento! 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	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>
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. A medicação é necessária para que as pessoas tenham uma vida digna e com menos sofrimento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Concordo. Precisamos ajudar pacientes que precisam do medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
17/05/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. A terapia oral tem sido considerada uma opção viável para os pacientes portadores de mutações susceptíveis. Tanto como substituição a TRE quanto como primeira linha de tratamento da Doença de Fabry.</p> <p>2ª - A distribuição da chaperona nos tecidos é superior a enzima. Considerando as alterações clássicas da Doença de Fabry no SNC é uma esperança de evitar lesões vasculares e de depósito de GB3 no cérebro. Objetivo que não pode ser alcançado pela TRE. , Atualmente tenho 11 pacientes, todos tem alterações vasculares cerebrais. Nessa perspectiva já prescrevi Migalastat para os 11 e, 5 já estão em tratamento com Galafold há cerca de 4 meses. Referem boa tolerância e nenhum efeito adverso. Faremos novos exames com semestralmente para avaliar os efeitos., Estudos multicentricos europeus recentes demonstram bons resultados e segurança (arquivos anexados).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Eles lutam pela vida.... precisam da medicação cada dia vivido é uma batalha 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Profissional de saúde	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Interessado no tema	1ª - Concordo. . 2ª - . 3ª - . 4ª - . 5ª - .
17/05/2021	Paciente	1ª - Discordo. Nenhum 2ª - Nenhuma 3ª - Nenhuma 4ª - Nenhuma 5ª - Não
17/05/2021	Paciente	1ª - Não Concordo e Não Discordo. Gostaria muito que nossa doença fosse reconhecida pelo SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Sou contra 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Desumano 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. A medicação é necessária para que as pessoas tenham uma vida digna e com menos sofrimento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Paciente	1ª - Discordo. Todos tem direito a uma vida saudável, livre de dores. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não Concordo e Não Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Deve ser um direito 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo. Para cura dele é seria muito importante recebe eles 2ª - Não 3ª - Não na 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. Discordo da posição do CONITEC de não incorporação do produto. A doença de Fabry é uma doença lisossomal rara caracterizada por atividade β-galactosidase A deficiente ou ausente, resultante de mutações no gene GLA. Migalastat (Galafold™), uma chaperona farmacológica, estabiliza e facilita o tráfego de produtos, formas mutantes da enzima β-galactosidase A do retículo endoplasmático para os lisossomas e aumenta sua atividade lisossomal. Migalastate é o primeiro medicamento oral aprovado pelas principais agências do mundo inclusive pela ANVISA que proporciona mais liberdade e qualidade de vida para o paciente de Fabry, já que pode ser tomado em casa ou em qq lugar do mundo (paciente pode viajar e ter a sua vida profissional e social sem se preocupar com as infusões). Os pacientes e profissionais de saúde tem direito a escolha do melhor tratamento para o pacientes.</p> <p>2ª - Programa de ensaios clínicos GALAFOLD, O ensaio clínico FACETS foi avaliado em três publicações; a publicação original de Germain et al., 2016, e duas subanálises de Schiffmann et al., 2018 e Germain et al., 2019., O ensaio clínico FACETS é um estudo duplo-cego, randomizado, controlado por placebo com acompanhamento por seis meses. Durante o estudo, o subgrupo de fenótipo clássico tratado com GALAFOLD® (migalastate) mostrou uma melhora na pontuação da Escala de Classificação de Sintomas Gastrointestinais no domínio da diarreia, enquanto os pacientes tratados com placebo tiveram uma pequena piora ($-0,3 \pm 0,77$; 95% IC: $-1,0$; $0,4$, $n = 7$ vs. $+0,2 \pm 0,46$; IC 95%: $-0,2$; $0,7$, $n = 7$, respectivamente). O número médio de inclusões capilares renais peritubulares de GL-3 diminuiu no grupo GALAFOLD® (migalastate) em pacientes com fenótipo clássico, enquanto no grupo placebo houve aumento durante os seis meses de tratamento ($-0,8 \pm -0,78$; 95 % CI: $-1,8$; $0,1$, $n = 5$ vs. $+0,3 \pm 0,94$; IC 95%: $-0,6$; $1,2$, $n = 7$, respectivamente). Em pacientes com fenótipo clássico, o grupo GALAFOLD® (migalastate) apresentou aumento da atividade residual da célula mononuclear alfa-GAL periférica em relação ao grupo placebo ($2,2 \pm 3,0$ 4MU / h / mg (IC 95%: $-0,5$; $5,0$); $n = 7$ vs. $0,1 \pm 0,1$ 4MU / h / mg; (IC 95%: $0,0$; $0,2$); $n = 7$). Os pesquisadores concluíram que GALAFOLD® (migalastat) forneceu benefício clínico para pacientes com doença de Fabry e variantes amenizáveis, independentemente da gravidade da doença., O ensaio clínico ATTRACT compreendeu duas fases: Hughes et al. (2017) 4, a primeira fase com duração de 18 meses com um comparador ativo, e Narita I. et al. (2019) 5 estudo de extensão, com tempo de seguimento superior a 12 meses, no qual todos os pacientes que completaram a primeira fase foram elegíveis para receber GALAFOLD® (migalastate) para a fase de extensão. Os resultados obtidos no ensaio clínico ATTRACT na primeira fase mostraram que o tratamento com GALAFOLD® (migalastate) ou TRE tiveram efeitos comparáveis na função renal em pacientes com doença de Fabry, pois tem o potencial de estabilizar ou retardar o declínio da função renal, que é um objetivo importante no tratamento da doença de Fabry. O índice de massa ventricular esquerda (iMVE) diminuiu significativamente desde o início até 18 meses em pacientes com mutações susceptíveis trocados de TRE para migalastate, o que contribui para uma redução nas complicações cardíacas. GALAFOLD® (migalastate) manteve o nível de plasma Lyso-GB3 nos mesmos níveis baixos do tratamento com ERT em pacientes com mutação GLA. No entanto, em pacientes com mutações não passíveis de tratamento com GALAFOLD® (migalastate), o nível de plasma Lyso-GB3 aumentou naqueles pacientes que mudaram do tratamento com TRE para GALAFOLD® (migalastate). Estima-se que 35-50% dos pacientes com doença de Fabry tenham a mutação GLA passível de tratamento com GALAFOLD® (migalastate) 6–8. Assim, GALAFOLD® (migalastate) pode ser uma alternativa oral de primeira linha à TRE para pacientes do sexo masculino e feminino com doença de Fabry com mutação GLA amenizável.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - A inclusão do GALAFOLD® (migalastate) no SUS terá um impacto orçamentário quando comparada aos cuidados das complicações da doença de Fabry, mas estamos falando de um tratamento em uma população de pacientes adultos e adolescentes com idade \geq 16 anos com doença de Fabry, que apresentam mutações suscetíveis, que além de ser uma população</p>

perfeitamente definida e controlável (incluindo o apoio de uma rede internacional apoiada pela AMICUS Therapeutics sem custo para o SUS ou pacientes) traz resultados significativos na melhora das complicações renais e neurológicas nesses pacientes, qualidade de vida e liberdade.

5ª - "Resultados de longo prazo, Duas publicações, em formato de pôster, com dados de longo prazo do GALAFOLD® (migalastate) mostram resultados impressionantes para apoiar a análise dos benefícios alcançados pelos pacientes usando GALAFOLD® (migalastato). Nicholls K et al. mostram que a estabilização da função renal foi demonstrada em homens e mulheres com doença de Fabry e mutações suscetíveis a migalastate, por até 9 anos, sendo essa estabilização observada em pacientes com diferentes níveis de proteinúria basal. A estabilização da função renal pode prevenir ou retardar complicações renais e cardíacas associadas à doença. Bichet et al. sugerem que pacientes que receberam tratamento com GALAFOLD® (migalastate), tanto pacientes que nunca receberam tratamento com TRES quanto aqueles que receberam TRES anteriormente, de 2 anos a 8,5 anos, tiveram uma taxa de declínio na taxa de filtração glomerular (TFG) estimado comparável aos dados publicados com o uso de ERTs. Portanto, iniciar o tratamento precocemente pode prevenir danos irreversíveis aos rins e levar a melhores resultados do tratamento., , Reference, 1. Germain D, Giugliani R, Bichet D, et al. Efficacy of migalastat in a cohort of male patients with the classical form of Fabry disease in a phase 3 study. J Inherit Metab Dis. 2016;Conference: Annual Symposium of the Society for the Study of Inborn Errors of Metabolism, SSIEM 2016. Italy. Conference Start: 20160906. Conference End: 20160909. 39:S219. doi:10.1007/s10545-016-9969-2, 2. Schiffmann R, Bichet D, Jovanovic A, et al. Migalastat improves diarrhea in patients with Fabry disease: clinical-biomarker correlations from the phase 3 FACETS trial. Orphanet J Rare Dis. 2018;13(1):68. doi:10.1186/s13023-018-0813-7, 3. Germain D, Nicholls K, Giugliani R, et al. Efficacy of the pharmacologic chaperone migalastat in a subset of male patients with the classic phenotype of Fabry disease and migalastat-amenable variants: data from the phase 3 randomized, multicenter, double-blind clinical trial and extension study. Genet Med. Published online 2019. doi:10.1038/s41436-019-0451-z, 4. Hughes D, Nicholls K, Shankar S, et al. Oral pharmacological chaperone migalastat compared with enzyme replacement therapy in Fabry disease: 18-month results from the randomised phase III ATTRACT study. J Med Genet. 2017;54(4):288-296. doi:10.1136/jmedgenet-2016-104178, 5. Narita I, Ohashi T, Sakai N, et al. Efficacy and safety of migalastat in a Japanese population: a subgroup analysis of the ATTRACT study. Clin Exp Nephrol. 2020;24(2):157-166. doi:10.1007/s10157-019-01810-w, 6. Spada M, Pagliardini S, Yasuda M, et al. High Incidence of Later-Onset Fabry Disease Revealed by Newborn Screening*. Am J Hum Genet. 2006;79(1):31-40. doi:10.1086/504601, 7. Benjamin E, Della Valle C, Wu X, et al. The validation of pharmacogenetics in the identification of patients with Fabry disease for treatment with migalastat. J Inherit Metab Dis. 2016;Conference: Annual Symposium of the Society for the Study of Inborn Errors of Metabolism, SSIEM 2016. Italy. Conference Start: 20160906. Conference End: 20160909. 39:S219-S220. doi:10.1007/s10545-016-9969-2, 8. Lin H-Y, Chong K-W, Hsu J-H, et al. High Incidence of the Cardiac Variant of Fabry Disease Revealed by Newborn Screening in the Taiwan Chinese Population. Circ Cardiovasc Genet. 2009;2(5):450-456. doi:10.1161/CIRCGENETICS.109.862920, 9. Nicholls K, Giugliani R, Schiffmann R, Hughes DA, Jain V, Holdbrook F, Skuban N, Castelli JP, Barth JA. Renal Outcomes With Up to 9 Years of Migalastat in Patients With Fabry Disease: Results From an Open-label Extension Study. Presented at the 14th Annual WORLD Symposium™; February 5-9, 2018; San Diego, CA., 10. Bichet DG et al. Long-term migalastat treatment slowed renal function decline in patients with Fabry disease and amenable GLA variants. Poster presented at ASN Kidney Week; November 5-10, 2019; Washington, DC. Poster number SA-PO421., "

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Todas as vidas importam 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Paciente	1ª - Discordo. Por que o medicamento ajuda os pacientes 2ª - Muitas melhoras na doença fazendo uso do medicamento 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. _____ 2ª - _____ €€€ 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo. Pra ser liberado, 2ª - . não nao 3ª - Nao 4ª - Nao 5ª - Nao
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Interessado no tema	1ª - Não Concordo e Não Discordo. Nada 2ª - Nao 3ª - Nao 4ª - Nao 5ª - Nao
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo. Nao 2ª - Nao 3ª - Nao 4ª - Nao 5ª - Nao
17/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Paciente	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/05/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Discordo. O Galafold é uma medicação oral para o tratamento da doença de Fabry que permite ao paciente tomar a medicação em casa sem a necessidade de ter que se deslocar a um hospital para a infusão, principalmente no momento em que estamos onde a ida a um hospital está prioritariamente indicada para pacientes de COVID 19.</p> <p>2ª - O galafold (migalastate) é uma micro molécula (chaperona) que entra na célula é corrige o erro em mutações suscetíveis. Existem vários artigos que demonstram a eficácia clínica tanto na parte Cardíaca, com a diminuição da hipertrofia ventricular esquerda, como a manutenção e estabilização dos sintomas renais evitando uma progressão para uma falência renal grave. É o único medicamento capaz de transpassar a barreira hematoencefálica podendo assim diminuir os sintomas do sistema nervoso como as acroparestesias, lesões de substancia branca que podem levar a um acidente vascular cerebral. Atua também na diminuição dos problemas gastrointestinais e dermatológicos.</p> <p>3ª - Em relação a custo o medicamento é o mais barato dentro os que existem para o tratamento da doença de Fabry e não há variação de preço em detrimento do peso do paciente o que deixa o tratamento mais oneroso nos casos da TRE (Tratamento com Reposição Enzimática).</p> <p>4ª - Por se tratar de uma medicação oral onde o paciente toma em casa não havendo necessidade de internação hospitalar, medicações de preparação, profissionais especializados para o preparo e administração, equipo hospitalar para a administração, que são gastos adicionais ao tratamento com TRE, o tratamento com Galafold se torna ainda mais barato e proporciona uma economia orçamentária.</p> <p>5ª - Não</p>
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Discordo. A medicação precisa entrar no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
17/05/2021	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
17/05/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Concordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
17/05/2021	Interessado no tema	1ª - Discordo 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não