

Contribuições da Consulta Pública - Diretrizes Brasileiras para Diagnóstico e Tratamento da Doença de Fabry - Conitec

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
21/06/2021	Interessado no tema	Muito boa	Pacientes com COVID podem se beneficiar do tratamento! Tantas pessoas indo a óbito, precisamos de terapias adjuvantes	
22/06/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Abordou apenas os paliativos. Já existem terapias de reposição enzimática que melhoram a qualidade de vida e tempo de vida, evitando ou os efeitos de uma doença progressiva.	
23/06/2021	Profissional de saúde	Muito ruim		
25/06/2021	Profissional de saúde	Boa		Necessidade de TRE não apenas em pacientes sintomáticos
25/06/2021	Interessado no tema	Muito boa	Que desse mais apoio au pacientes de FABRY sem resposta em todas as árias	ainda falta muitas coisas
25/06/2021	Interessado no tema	Muito ruim		O paciente acometido pela Doença de Fabry apresenta, devido à deficiência enzimática, uma série de sintomas que não podem ser tratados apenas com paleativos. A Doença leva ao acúmulo de gordura nos tecidos e os principais órgãos atingidos são o rim, coração e cérebro. O paciente, muitas vezes tem córnea verticilata., Não basta dar analgésicos ou outros medicamentos paleativos. Sendo assim, este paciente estará incapacitado para o trabalho, sem qualidade de vida e estará fadado à morrer sentindo todos os sintomas que a doença pode trazer. Fosse um parente de quem propôs esta consulta acometido por essa doença terrível, duvido que eu estaria aqui respondendo este questionário.
25/06/2021	Profissional de saúde	Boa		
25/06/2021	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não
25/06/2021	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
25/06/2021	Profissional de saúde	Ruim	Existe tratamento eficaz para a Doença de Fabry, aceito cientificamente. Tanto a TRE como a Chaperona são eficazes.	É uma doença de depósito que tem um tratamento específico. Não é aceitável que não existam evidências científicas para o tratamento.
25/06/2021	Profissional de saúde	Muito ruim		
26/06/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
28/06/2021	Profissional de saúde	Boa	1) O ideal seria que os inibidores de interleucinas estivessem posiconados em primeira linha, uma vez que são mais eficazes que os anti-TNF para o tratamento da psoríase em placas. O alvo terapêutico atual no Consenso Brasileiro de Psoríase de 2020 (e em várias diretrizes internacionais) é a obtenção da resposta PASI 90 ou PASI absoluto menor que 3. Com isso, os inibidores de interleucinas deveriam ficar como primeira linha e os anti-TNF como segunda linha. Afinal, os inibidores de interleucinas são mais eficazes e possuem melhor perfil de segurança que os anti-TNF. Se farmacoeconomicamente for viável, essa modificação deve ser feita!, 2) A inclusão do certolizumabe pegol é importante, pois este biológico praticamente não atravessa a placenta e pode ser usado com segurança em gestantes (há inúmeras publicações sobre isso na literatura), 3) É importante também a inclusão dos biológicos mais recentemente aprovados no Brasil para a faixa etária pediátrica (ustequinumabe e secuquinumabe)	
28/06/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
28/06/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Não	O Tratamento de Reposição Enzimática é uma espécie de profilaxia ou preventivo de outros vários processos de adoecimento, Renal, cardiovascular, cerebral, etc., Portanto, não podemos tratar como paliativo, algo que pode ser tratado como conservador.
28/06/2021	Paciente	Muito boa		Eu faço reposição enzimática, melhorei bastante dos sintomas da doença. Já faz dois anos que eu faço reposição. Estou com uma qualidade de vida muito melhor.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
28/06/2021	Profissional de saúde	Boa		
28/06/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
28/06/2021	Profissional de saúde	Muito boa	Não.	Não.
28/06/2021	Profissional de saúde	Muito boa	Não	
29/06/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Não concordo, pois não incluíram terapia de reposição enzimática (TRE) nas diretrizes. Há diversos estudos e experiência própria que a TRE beneficia os pacientes.	
29/06/2021	Profissional de saúde	Boa		
29/06/2021	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não
29/06/2021	Paciente	Boa	Se não receber a nossa medicação a gente morre	
29/06/2021	Profissional de saúde	Muito boa	Não tenho nada a declarar.	Não
29/06/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
29/06/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
29/06/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Não
29/06/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
30/06/2021	Profissional de saúde	Boa	não	não
30/06/2021	Profissional de saúde	Regular	Penso q mediante a literatura atual apresentada nesta consulta a TRE deveria ser incluída no tratamento dos pacientes com diagnóstico precoce da doença, na fase inicial, o q poderia amenizar e retardar complicações como p ex a Doença Renal Crônica.	O tratamento na fase inicial aumentaria o número de pacientes assistidos e reduzindo as complicações, a longo prazo também reduziria além do sofrimento causado pela doença, os custos com o tratamento das complicações.
30/06/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
30/06/2021	Profissional de saúde	Ruim		
30/06/2021	Profissional de saúde	Muito boa	Não.	Não.
30/06/2021	Profissional de saúde	Boa		
30/06/2021	Interessado no tema	Muito ruim		
30/06/2021	Profissional de saúde	Boa	Desejo que todas as medicações usadas para a Doença de Fabry sejam fornecidas/ incluídas no SUS, inclusive que a Doença de Fabry faça parte da lista do SUS	Sou médico e faço acompanhamento de mais de 70 pacientes há mais de 10 anos, quero que seja regularizada a entrega da medicação para estes pacientes, pois só quem está aqui na linha de frente cuidando destes pacientes sabe o quanto eles padecem
30/06/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
30/06/2021	Interessado no tema	Regular	Senti falta de mencionarem o tratamento específico, do tipo terapia de reposição enzimática. Como microbiologista acredito bastante neste tipo de tecnologia e nos estudos existentes.	Apenas considerarem o ponto mencionado na questão 17.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
30/06/2021	Profissional de saúde	Regular	Deveria ser incluída critérios para a seleção de pacientes que se beneficiariam de terapias específicas (TRE, chaperonas) ou outras que possam ser desenvolvidas, principalmente nos casos de pacientes que já fazem uso destas terapias, critérios para sua manutenção ou naqueles com evolução desfavorável deixar em aberto tal possibilidade. Não validar os possíveis benefícios destas medicações coloca o profissional que trata em situação difícil perante a família e o próprio paciente, ao negar tal possibilidade..	Como proposta sugiro um encontro com profissionais das áreas, que realmente tratam e tem experiência com pacientes de Fabry (Genética Médica, Nefrologia, Cardiologia, etc) e a Conatec, visando um documento final
01/07/2021	Interessado no tema	Ruim	Não estão abordando o tratamento preconizado com terapia de reposição enzimática. Apenas cuidar de sintomas e não tratar a causa, talvez não traga tantos benefícios ao paciente	
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa	A proposta apresentada pela Conitec é muito importante para que os resultados reflitam a necessidade da população e resultem no oferecimento de medicamentos e tecnologias aos pacientes e comunidade médica.	
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa	não	não
01/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	É fundamental que se assegure o acesso à Terapia de Reposição Enzimática.	
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
01/07/2021	Interessado no tema	Muito boa		
01/07/2021	Profissional de saúde	Regular	Acho que a terapia de reposição tem mais benefícios daquele que foi referido.	Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
01/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	As Terapias de reposição Enzimática devem ser consideradas, tendo em vista a qualidade de vida do paciente, pois somente o cuidado paliativo não irá trazer muitos benefícios, principalmente na prevenção de lesões renais, cardíacas e neurológicas, comuns à Doença de Fabry.	
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	A terapia de reposicao enzimatica é um tratamento eficaz e importante para prevenir complicações e ate a morte de paciente com Fabry	
01/07/2021	Paciente	Boa	Gostaria que a terapia enzimática fosse considerada. Faço uso dessa terapia e já melhorei muitíssimo.	Os pacientes com Fabry têm direito à vida. Não nos tirem esse direito!
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
01/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	<p>Trato pacientes com Doenças de Deposito Lisossomal desde 2006. Ao longo desses 15 anos vi uma transformação muito importante em seu tratamento. No século passado (quando eu ainda estava nos bancos da graduação em medicina), nas aulas da faculdade na década de 90, havia como conduta, apenas a orientação genética e cuidados paliativos em estados avançados. , Nos anos 2000, Ha 20 anos, pacientes começaram a relatar melhora importante com uso de Terapias de Reposição Enzimática. Isso se tornou muito claro, quando em um período da década passada, o mais importante fabricante teve um problema em seu processo de fabricacao, então tivemos uma redução massiva nas medicações ofertadas aos pacientes ja em terapia. Pacientes, me relataram após um ou dois meses da reducao inicial de dose para um terço, retorno de sintomatologia como dor, dor em angioqueratomas, retorno nos transtornos de sudorese. Desde a ultima década INÚMEROS estudos demonstraram melhora sintomatica, melhora histológica, caso o paciente fosse exposto a uma dose clinica cumulativa minima. , Ao meu ver se torna inconcebível uma diretriz como essa omitir todas essas evidencias e voltar 25 anos nas condutas para com esses pacientes. , Quando avaliamos epidemiologicamente esses pacientes, muitos são de extremos de nosso território e absolutamente dependente do Sistema Único de Saude para seu acompanhamento. , Doenças Sistêmicas como essa, afetam múltiplos órgãos, seu estudo colocou luz sobre uma genética e sobre uma microfisiologia desconhecida ate então. Muito tem ainda por vir, novas medicações especificas para polimorfismos genéticos suscetíveis, novas vias de administracao, não podemos nessa oportunidade fechar os olhos para tudo isso e simplesmente voltar décadas no desenvolvimento de sofisticadas condutas.</p>	
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	<p>Sim, a reposição enzimática faz muita diferença na vida dos pacientes e não se trata apenas de cuidado paliativo. , É garantia de maior tempo de vida com melhor qualidade</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
01/07/2021	Profissional de saúde	Regular	Terapia enzimática é necessária para qualidade de vida e evitar complicações da doença	
01/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Todos têm direito a tratamento e a vida	Tenho duas filhas com Fabry que fazem o tratamento e tiveram melhoras após. Meu marido faleceu aos 34 anos sem saber da doença
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa	Por enquanto não. Tenho interesse pelo tema e por mais conhecimentos sobre a pesquisa.	Por enquanto não.
01/07/2021	Paciente	Muito ruim		Todos com doença de Fabry não tem direito a vida
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
01/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim	Deixar de oferecer um tratamento adequado ao paciente de uma doença rara não pode ser certo. Oferecer Tratamento paliativo? Muito triste isso.	Por se tratar de uma doença rara é fato não ter um n esperado em estudos, mas falar que a TRE não é efetiva para o tratamento é não ter ideia do sofrimento dessas pessoas.
01/07/2021	Paciente	Muito ruim		
01/07/2021	Paciente	Muito ruim	Todos com Fabry ou não tem direito à vida.	O tratamento para o doente de Fabry é muito benéfico, pois melhora a qualidade de vida e permite que o doente leve uma vida melhor para que realize as atividades mais comuns, como estudar e trabalhar. Falo com propriedade, pois sou portador da doença.
01/07/2021	Paciente	Muito ruim	Deve ter possibilidade de todos os medicamentos. , Já temos remédios para FABRY	Medicamento no SUS. Já
01/07/2021	Paciente	Muito ruim	Todos os pacientes de fabry ou não tem direito a vida	
01/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim		
01/07/2021	Paciente	Boa		
01/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
01/07/2021	Paciente	Regular		
01/07/2021	Paciente	Muito boa	Nao	Nao
01/07/2021	Profissional de saúde	Ruim		
01/07/2021	Profissional de saúde	Ruim		Trato pacientes com a Doença de Fabry desde 2002, mais de 20 pacientes. Betagalsidase ou Alfacalsidase funcionam muito bem, revertem alguns efeitos deletérios da DF, estabilizam outros, em resumo, resgatam a qualidade de vida dos pacientes e melhoram muito a sobrevida. Essa é uma opinião de médico tratador, não de um teórico que só viu paciente de Doença de Fabry em trabalhos científicos. Se viu...
01/07/2021	Paciente	Regular	A importancia do tratamento para doença de Fabry é manter uma boa qualidade de vida a nós pacientes do Brasil	Seria de grande valia a Conitec avaliar todas as formas de tratamento para Fabry e sua inclusão.
01/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
01/07/2021	Grupos/associação/organização de pacientes	Regular	A doença de Fabry nao tem cura o unico tratamento e a TRE e outros.	O tratamento com TRE traz uma melhora na qualidade de vidas dos pacientes.
02/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim		
02/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	Gostaria de informar sobre as importancia da TRE. Tenho 3 pacientes em reposição com importante melhora na qualidade de vida e proteinuria. O qual reduz risco de doenca renal cronica futura.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
02/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa	A terapia de reposição enzimática para doença se Fabry é a base fundamental de tratamento dessa doença. O tratamento baseado nessa premissa científica e irrefutável e precisa estar incluído nas diretrizes de tratamento. Sou médico nefrologista, trabalho com pacientes renais crônicos e temos diversos casos de pacientes que foram descobertos e tratados de doença de Fabry apenas após a entrada em diálise, algo que jamais deveria ocorrer. Tanto a investigação da doença quanto seu tratamento farmacológico direcionado para reposição enzimática precisam ser disponibilizados pelo nosso governo. Agradeço pela atenção !	
02/07/2021	Profissional de saúde	Ruim		Na nossa experiência, acompanhamento de 2 casos, o tratamento mudou substancialmente a qualidade de vida dos paciente, com resolução das queixas de acroparestesia e dores abdominais.
02/07/2021	Profissional de saúde	Ruim		Na nossa experiência, acompanhamento de 2 casos, o tratamento mudou substancialmente a qualidade de vida dos paciente, com resolução das queixas de acroparestesia e dores abdominais.
02/07/2021	Interessado no tema	Boa		
02/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim		Sem a reposição enzimática os pacientes portadores de Fabry sofrem consequências irreversível no seu organismo e tendo consequências graves e irreversível e causando mortes de pacientes muito jovens, sem contar todo o sofrimento que lhes causa pra si próprio e também para toda a família.,
02/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
02/07/2021	Interessado no tema	Muito boa	Menos burocrático o processo	
02/07/2021	Profissional de saúde	Regular	Os paciente portadores de doença de Fabry necessitam tratamento específico e precoce uma vez que instalada a doença o prognóstico é muito desfavorável.	Liberação de tratamento precoce para os pacientes diagnosticados
02/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
02/07/2021	Paciente	Muito ruim	Em outros países os medicamentos estão acessíveis e disponíveis ao paciente com doença fe FABRY	Pacientes acometidos sofrem com várias doenças secundárias. O governo via CONITEC quer ofertar apenas TRATAMENTOS para estas e não medicamentos para evitar a progressão da Doença...
02/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	Eu gostaria de reforçar a importância da terapia de reposição enzimática, acompanho pacientes com doença de Fabry há vários anos e esse tratamento tem um impacto na qualidade de vida do paciente e na diminuição da evolução da doença.	
02/07/2021	Interessado no tema	Muito boa	nao	nao
02/07/2021	Interessado no tema	Muito boa		
02/07/2021	Paciente	Muito boa		
02/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim	Acho que o medicamento fornecido pelo SUS, faria com o pacientes de doença de Fabry não chegaria a hemodiálise.	
02/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa	A doença de fabry é rara, e com ctza pode reduzir a qualidade de vida de muitas pessoas, com tanto que a mesma é hereditária e acomete vários membros da família. O tratamento é a reposição da enzimática degradadora de lipídios. A hemodiálise neste caso é apenas paliativos, podemos ir mais além e promover uma vida mais saudável a os pacientes portadores da doença de fabry. É injusto deixa- los morrer de forma degenerativa.	
02/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Lamentável um texto que propõe desqualificar medicamentos de reposição e buscar apenas o financeiro e orçamentário. Precisamos de uma saúde justa para a população considerando a vida humana.	Uma patologia de dor e sofrimentos, precisamos de sentimentos e sensibilidade e NÃO de análise de fármaco economia....

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
02/07/2021	Paciente	Ruim	<p>Sim, deveria ser incluído no texto, como diretriz de tratamento, o uso da medicação Migalastate, nos casos em que o paciente possui a mutação suscetível a essa medicação, ou, então, o uso da terapia de reposição enzimática, pois são os únicos que realmente contribuem para a não evolução da doença. As diretrizes de tratamento sugeridas no relatório apenas são medidas paliativas, que na maioria das vezes sequer atenuam os sintomas, e não tratam a doença em si. Alto custo da medicação não pode ser um impeditivo para que os portadores da doença, cidadãos brasileiros, tenham garantido o direito à saúde previsto na Constituição Federal. Além disso, sabe-se que a doença de Fabry é subdiagnosticada. Quanto mais pessoas tiveram acesso ao tratamento (migalastate ou terapia de reposição enzimática), menor será o custo da medicação que deve ser fornecida pelo SUS. Esperar que o portador da doença chegue em péssimo estado de saúde, com grande diminuição de sua qualidade de vida, em face do não fornecimento das medicações que tratam a doença (migaslate ou TRE), é efetivamente afastar o direito à saúde e à dignidade da pessoa humana.</p>	Respondido acima.
02/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim		<p>A não incorporação da TRE ou tratamento por via oral através da chaperona (migalastat) impede a possibilidade de o paciente ter um tratamento adequado e regular para evitar as consequências da doença de Fabry. Tratar só as consequências e não fazer nada até lá é desumano.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
02/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	<p>Sim, deveria ser incluído no texto, como diretriz de tratamento, o uso da medicação Migalastate, nos casos em que o paciente possui a mutação suscetível a essa medicação, ou, então, o uso da terapia de reposição enzimática, pois são os únicos que realmente contribuem para a não evolução da doença. As diretrizes de tratamento sugeridas no relatório apenas são medidas paliativas, que na maioria das vezes sequer atenuam os sintomas, e não tratam a doença em si. Alto custo da medicação não pode ser um impeditivo para que os portadores da doença, cidadãos brasileiros, tenham garantido o direito à saúde previsto na Constituição Federal. Além disso, sabe-se que a doença de Fabry é subdiagnosticada. Quanto mais pessoas tiveram acesso ao tratamento (migalastate ou terapia de reposição enzimática), menor será o custo da medicação que deve ser fornecida pelo SUS. Esperar que o portador da doença chegue em péssimo estado de saúde, com grande diminuição de sua qualidade de vida, em face do não fornecimento das medicações que tratam a doença (migaslate ou TRE), é efetivamente afastar o direito à saúde e à dignidade da pessoa humana.</p>	Respondido acima.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
02/07/2021	Paciente	Muito ruim	<p>Sim, deveria ser incluído no texto, como diretriz de tratamento, o uso da medicação Migalastate, nos casos em que o paciente possui a mutação suscetível a essa medicação, ou, então, o uso da terapia de reposição enzimática, pois são os únicos que realmente contribuem para a não evolução da doença. As diretrizes de tratamento sugeridas no relatório apenas são medidas paliativas, que na maioria das vezes sequer atenuam os sintomas, e não tratam a doença em si. Alto custo da medicação não pode ser um impeditivo para que os portadores da doença, cidadãos brasileiros, tenham garantido o direito à saúde previsto na Constituição Federal. Além disso, sabe-se que a doença de Fabry é subdiagnosticada. Quanto mais pessoas tiveram acesso ao tratamento (migalastate ou terapia de reposição enzimática), menor será o custo da medicação que deve ser fornecida pelo SUS. Esperar que o portador da doença chegue em péssimo estado de saúde, com grande diminuição de sua qualidade de vida, em face do não fornecimento das medicações que tratam a doença (migaslate ou TRE), é efetivamente afastar o direito à saúde e à dignidade da pessoa humana.</p>	Respondido acima.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
02/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim, deveria ser incluído no texto, como diretriz de tratamento, o uso da medicação Migalastate, nos casos em que o paciente possui a mutação suscetível a essa medicação, ou, então, o uso da terapia de reposição enzimática, pois são os únicos que realmente contribuem para a não evolução da doença. As diretrizes de tratamento sugeridas no relatório apenas são medidas paliativas, que na maioria das vezes sequer atenuam os sintomas, e não tratam a doença em si. Alto custo da medicação não pode ser um impeditivo para que os portadores da doença, cidadãos brasileiros, tenham garantido o direito à saúde previsto na Constituição Federal. Além disso, sabe-se que a doença de Fabry é subdiagnosticada. Quanto mais pessoas tiveram acesso ao tratamento (migalastate ou terapia de reposição enzimática), menor será o custo da medicação que deve ser fornecida pelo SUS. Esperar que o portador da doença chegue em péssimo estado de saúde, com grande diminuição de sua qualidade de vida, em face do não fornecimento das medicações que tratam a doença (migaslate ou TRE), é efetivamente afastar o direito à saúde e à dignidade da pessoa humana.	
02/07/2021	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não
03/07/2021	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não
03/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Acredito que tenham que incorporar todos os tratamentos, inclusive a TRE e não apenas os paliativos.	Muitas pessoas deixarão de serem beneficiadas e com doenças muito sérias, graves.
03/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
03/07/2021	Interessado no tema	Regular	Inclusão de todos os protocolos de tratamentos disponíveis até o momento. Não elencar apenas os tratamentos conhecidos ou propostos como eficazes, pois a constante alteração é necessária.	
03/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
03/07/2021	Interessado no tema	Muito boa	Nao	Nao
03/07/2021	Interessado no tema	Muito boa		
03/07/2021	Interessado no tema	Ruim	Disponibilizar tratamento de TRE	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
04/07/2021	Profissional de saúde	Boa	<p>Sim. As Diretrizes estão boas em relação ao diagnóstico, porém falha em alguns sentidos. O primeiro deles é a falta na diferenciação entre as formas clínicas (clássica e não-clássica) que essencial no diagnóstico clínico e definição de plano terapêutico. A DF é uma condição extremamente heterogênea, inclusive, dentro de uma mesma família. Dessa forma, o seguimento clínico e plano terapêutico desses pacientes também é bastante variado. Basta observarmos as publicações dos últimos anos que observaremos que os autores têm feito essa diferenciação. Um paciente masculino com a forma clássica de DF comporta-se completamente diferente de um outro homem com a forma não clássica. Essa falta da diferenciação na Diretriz Brasileira faz com que ela já surja com um atraso muito significativo (caduca) em relação ao diagnóstico e manejo da DF. Essa fator gera um outro mais grave: a não incorporação do tratamento específico, pelo menos para os pacientes com a forma clássica da doença. Existem vários trabalhos, de diferentes partes do mundo, que demonstram o benefício indiscutível do tratamento específico para aqueles com a forma clássica da doença. Basta analisar o consenso europeu que deixa bem evidente que o tratamento específico na DF é de EXCLUSÃO, isto é, só está bem determinado que ele é essencial para evitar a progressão rápida da doença naqueles que têm a forma clássica. A indicação desse consenso vem justamente dos vários trabalhos que demonstraram esse benefício, resultando em melhor qualidade de vida e maior expectativa de vida. A Diretriz Brasileira falha, dessa forma, em princípios doutrinários do nosso próprio sistema de saúde (SUS) que é a integralidade e a equidade. Mais uma vez tomarei como exemplo aqueles pacientes que claramente apresentam benefício com o tratamento específico (forma clássica). Se os privo de tratamento específico é como se voltasse ao início desse século e ficasse de mãos atadas aguardando que as graves complicações inerentes a doença de base (isto é um tremendo ABSURDO). É como tem uma paciente com câncer e não iniciar tratamento específico. Utilizemos da Equidade!!!! O tratamento específico</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
			<p>claramente é essencial para os pacientes com a sua forma clássica. Realmente não temos estudos que demonstrem seu benefícios para aqueles que tem a forma não clássica, mas é uma inverdade referir que não existem estudos convincentes para os portadores da forma clássica. Sabemos que o impacto econômico é um fator extremamente importante para a não incorporação do tratamento específico, mas se analisarmos e mais uma vez utilizarmos da equidade, observaremos que somente uma pequena parcela da população brasileira de pacientes com DF tem a sua forma clássica. Dessa forma, os impactos econômicos serão mitigados. Considero, por fim, que o melhor consenso, ao redor do mundo, sobre DF é o europeu. Ele determina que esses pacientes sejam seguidos em centros especializados de doenças raras e só indica tratamento específico para aqueles que realmente apresentam benefício clínico. Precisamos de uma Diretriz nova e não uma nova Diretriz que já nasce bastante atrasada em relação aos atuais conhecimentos científicos. , , ,</p>	
04/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	<p>A proposta em apreciação infelizmente NÃO contempla o tratamento específico para nenhum paciente com DF (nem mesmo com a forma clássica) e, além disso, não traz em seu texto nenhuma diferenciação entre as suas formas clínicas.</p>	
04/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não
04/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	<p>A não inclusão das terapias enzimáticas</p>	<p>A não inclusão das terapias enzimáticas que mostraram benefício na prática clínica dos pacientes tratados com as mesmas.</p>
04/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	<p>Colocar as enzimas recombinantes como opção de tratamento ao nível SUS</p>	<p>Ocorre melhora da dor neuropática, melhora do acometimento cardíaco e renal além de melhora na sobrevida e qualidade de vida</p>
04/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa	<p>Tratamento enzimático para Doença de Fabry</p>	Nao
04/07/2021	Profissional de saúde	Regular	<p>Gostaria que fosse acrescentada a TRE - terapia de reposição enzimática, que vem tendo bons resultados no tratamento da doença de Fabry.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
04/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Incluir a terapia de reposição enzimática que trata a doença	
04/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	O tratamento da Doença de Fabry deve incluir a terapia de reposição enzimática. Sem essa opção, não há tratamento.	"O tratamento com chaperona para pacientes ""amenable"" também deve ser contemplado"
04/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
04/07/2021	Paciente	Muito ruim	A importância do medicamento Fabrazyme e rephel faz uma grande diferença na melhora dos pacientes	Os paciente com doenças raras precisam de mais apoio e assistência para que tenham melhor qualidade de vida.
05/07/2021	Interessado no tema	Boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	As diretrizes tem ser atualizadas , não inclui exames de imagem e tratamentos comprovados	Nao
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Não contempla o uso da ressonância magnética cardíaca e do strain miocardico pelo ecocardiograma na investigação diagnóstica. , Não inclui a TRE, já aprovada pela ANVISA, para o tratamento da doença. , Não inclui o manejo dos casos de fibrilação atrial.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Empresa	Ruim	<p>A doença de Fabry (DF) é uma doença rara, crônica com complicações multissistêmicas que determinam uma redução de 15 a 20 anos na sobrevivência dos pacientes (MacDermot, Holmes, & Miners, 2001). Da mesma forma que em outras doenças de depósito lisossômico, a terapia de reposição enzimática (TRE) foi a primeira alternativa de tratamento específico disponível para os pacientes com DF sendo utilizada para o tratamento da mesma desde 2001, através das enzimas recombinantes alfa-agalsidase e beta-agalsidase, ambas com registro no país e disponíveis comercialmente. Em 20 anos de experiência clínica, a beta-agalsidase já foi usada para tratar mais de 5.000 pacientes no mundo. Assim como em diversas outras doenças raras, a maioria desta extensa experiência clínica está documentada em estudos intervencionais e observacionais sem grupo controle, os quais, reconhecidamente, são a principal fonte de evidências de desfechos clínicos em doenças raras, em geral. Quando os estudos intervencionais e observacionais sem grupo controle são excluídos das revisões sistemáticas da doença de Fabry, ignoram-se os desfechos observados na maioria dos pacientes tratados com beta-agalsidase ao longo de 20 anos de pesquisa; não compreendemos essa decisão. As revisões sistemáticas em doença de Fabry que consideraram exclusivamente resultados de estudos randomizados geraram conclusões fracas.(Elliott, et al., 2019). , , Dentre os critérios adotados no Processo de Avaliação de Tecnologias em Saúde sabe-se que uma revisão adequada de toda literatura é parte fundamental no sentido garantir uma visão completa da evidência científica disponível. Como o objetivo de contribuir para o entendimento de uso da TRE, a Sanofi vem aqui disponibilizar um parecer técnico científico, com uma revisão sistemática da literatura, evidência documentada ao longo de 20 anos de experiência clínica, e com uma metodologia em linha com as recomendações de um painel de especialistas em doença de Fabry (Elliott, et al., 2019) que compila os resultados de 61 estudos em 76 publicações. Como resultado dessa revisão conclui-se que a beta-agalsidase</p>	<p>Apesar de ECR serem considerados padrão-ouro para avaliar a eficácia de intervenções terapêuticas, o desenvolvimento de estudos com esse delineamento é desafiador no contexto de doenças raras crônico-degenerativas. , , Primeiramente, destaca-se a dificuldade de recrutamento, com inclusão de poucos pacientes justamente pelo caráter raro da doença em questão. Isso afeta diretamente o poder do estudo em detectar diferenças estatisticamente significativas entre os desfechos avaliados. Adicionalmente, os estudos com doenças raras, para favorecer recrutamento e potencialmente beneficiar um maior número de pacientes, aplica randomização desbalanceada em relação ao controle (ex 2:1 tratamento frente a placebo em vez de 1:1), o que diminui o poder dado um mesmo tamanho de amostra total. Além disso, ECR de doenças raras apresentam baixo índice de fragilidade. Esse índice representa o número mínimo de eventos que, se não fossem observados, fariam com que o resultado significativo de um estudo perdesse sua significância (Tignanelli & Napolitano, 2019) (Andrade, 2020) (Khan, et al., 2020). Nesse contexto, ressalta-se novamente a importância da inclusão de estudos observacionais e intervencionais sem braço controle para a avaliação da efetividade de terapias para doenças raras., , Doenças raras normalmente causam significativa redução da expectativa de vida. Um aspecto digno de nota é que, por questões éticas, ao identificar benefício do tratamento, mesmo que em desfechos intermediários (mas sabidamente ligados à progressão da doença), os estudos comparados entram em fase de extensão não comparada, com oferta do medicamento a todos os participantes, limitando o tempo de seguimento de ECR. Todavia, é importante levar em consideração que a efetividade do tratamento é esperada em um horizonte de tempo maior, devido ao seu efeito modificador no curso da doença crônica. Assim, não se espera em doenças como Fabry que ECRs mostrem impacto em desfechos como mortalidade quando comparado a placebo ou ausência de tratamento, uma vez que para esse desfecho seria necessário manter pacientes no grupo controle, em vigência de progressão, por um período maior., , No que se refere aos resultados de eventos clínicos de maior relevância - como eventos renais, cardíacos,</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
			<p>é um tratamento efetivo na redução do risco dos eventos cardíacos, renais e cerebrovasculares associados à evolução da doença assim como na melhora na qualidade de vida, redução da dor, sintomas gastrointestinais e gravidade da doença. Essa conclusão reforça os achados de outras revisões independentes publicadas que recomendam o uso da beta-agalsidase para prevenir as complicações multissistêmicas da doença de Fabry. (Germain, et al., 2019) (Germain, et al., 2019) (El Dib, et al., 2017), , Ao se limitar o levantamento da literatura aos ensaios clínicos randomizados (ECR) para apreciação da efetividade do tratamento com beta-agalsidase, avalia-se um total de pacientes que representa menos de 5% do total de pacientes incluídos em estudos observacionais. Além disso, o tempo de seguimento dos ECR representa menos da metade do tempo de seguimento disponível em estudos observacionais. A tabela abaixo sumariza a evidência disponível para avaliar a efetividade do tratamento com beta-agalsidase em estudos intervencionais e estudos observacionais, de acordo com os resultados da revisão sistemática conduzida pela Sanofi., , Dessa forma, respeitosamente, solicitamos à CONITEC que reconsidere seu posicionamento em relação à evidência médico-científica apresentada na referida Diretriz, no que se refere ao uso da TRE, e compile os 20 anos de experiência clínica disponível na literatura científica, com a devida análise de eficácia e segurança.,</p>	<p>cerebrovasculares e mortalidade - são necessários estudos grandes e com tempo de seguimento longo para mostrar um efeito da TRE. Dessa maneira, dados de vida real são de grande importância no âmbito de doenças raras (Schünemann, et al., 2013). Nesse contexto, ressalta-se a relevância do registro de Fabry. Essa plataforma multicêntrica e internacional acumula dados de mais de 5.000 pacientes com até 20 anos de seguimento, sendo o maior registro dedicado à doença de Fabry (U.S. National Library of Medicine, 2020)., , Uma série de revisões sistemáticas independentes disponíveis na literatura avaliaram a efetividade da beta-agalsidase. Essas revisões consideraram estudos observacionais e estudos de intervenção não comparados, não se limitando a ECR., , Em 20 anos de experiência clínica, a beta-agalsidase já foi usada para tratar mais de 5.000 pacientes no mundo. A maioria desta extensa experiência clínica está documentada em estudos intervencionais e observacionais, os quais são a principal fonte de evidências de desfechos clínicos em doenças raras. Adicionalmente, a revisão sistemática da literatura com metodologia em linha com as recomendações de painel de especialistas em doença de Fabry (Elliott, et al., 2019) permite concluir que a beta-agalsidase é um tratamento efetivo na redução do risco dos eventos cardíacos, renais e cerebrovasculares associados à evolução da doença assim como na melhora na qualidade de vida, redução da dor, sintomas gastrointestinais e gravidade da doença., , Sustentamos então que, os resultados relatados pela literatura científica são suficientes para suportar em termos clínicos a indicação de TRE, como a beta-agalsidase, para o tratamento da doença de Fabry. ,</p>
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Meus familiares fazem infusão e melhoraram muito. Tem uma vida maravilhosa fazendo de 15 em 15 dias terapia enzimática e vocês são tão ruim que querem tirar isso deles. Não colocaram na diretriz.	
05/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim	Gostaria de alterar a posição da Conitec em tratar com medicamentos paliativos para a terapia de reposição enzimática, pois esta diminui a progressão da doença em órgãos alvo, como rim, cérebro e coração. ,	Com a entrada da terapia de reposição enzimática como tratamento de algumas doenças raras, os pacientes, finalmente, tiveram seu sonho virado realidade: uma sobrevivida maior e melhor qualidade de vida. Tratar a doença de Fabry, como outras doenças raras, com medicamentos que não trarão nenhum benefício a eles, é um retrocesso inimaginável. É como tratar uma hipertensão ou diabetes com o chá da vovó.
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim	Inaceitável não prever Terapia de Reposição Enzimática. Totalmente sem sentido.	
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	É necessário incluir a Terapia de Reposição Enzimática, existente há mais de 10 anos. Seria um verdadeiro absurdo não permitir que os pacientes e seus tratadores possam usufruir dessa possibilidade de tratamento, tirando-lhes a oportunidade de viver e de melhorar significativamente a qualidade e tempo de vida.	O Brasil possui como maior obrigação com o cidadão, permitir a condição de proteção à vida. Retirando esta condição, todas as outras são acessórias ou atuam na melhoria destas condições. Não existe como pensar na vida e bem estar de pessoas portadoras de doença rara de Fabry, sem um tratamento de reposição enzimática. Optar apenas por tratamentos paliativos e que levam a sérios problemas e sofrimento maior, é algo estarecedor em pleno século XXI e com o avanço da medicina.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	<p>A terapia de suporte (tratamento de sintomas ou paliativo), ou seja, terapia não específica para doença de Fabry controla apenas alguns sintomas causados pela mesma. No entanto não trata a causa raiz (deficiência de alfa-galactosidase A), e esta não tratada leva à diminuição da qualidade de vida e morte prematura. Atualmente as opções de tratamento para DF incluem terapia de reposição enzimática recombinante (TRE) com Alfa-Agalsidase intravenosa (0,2 mg/kg de peso corporal) ou Beta-Agalsidase (1 mg/kg de peso corporal) a cada 2 semanas e a terapia com chaperona farmacológica oral com Migalastate (123 mg a cada dois dias), que se liga seletivamente e reversivelmente ao local ativo da AGAL, estabilizando as formas mutantes da α-Gal A no retículo endoplasmático e facilitando o seu transporte adequado para os lisossomos. Essas terapias permitem a eliminação de Gb3 celular e melhoram o fardo da doença. Atualmente, a ANVISA aprovou medicamentos para tratamento específico da DF, incluindo a TRE, bem como a terapia de chaperona farmacológica (Migalastate) que visam reduzir o acúmulo intracelular de Gb3, substituindo a deficiente AGAL ou corrigindo a AGAL mutante endógena. Consequentemente estas terapias facilitam o transporte adequado e o aumento da atividade enzimática (AGAL) dentro do lisossomo. A Doença de Fabry é devastadora e merece um tratamento dirigido para o seu defeito original, que é a falta ou deficiência da enzima α-galactosidase. Eu como profissional de saúde acredito que os pacientes com doença de Fabry no Brasil merecem ter acesso à tratamentos específicos e aprovados pela ANVISA (TRE e Terapia com Chaperona) e estes deviam ser colocados no PCDT e disponibilizado no SUS.</p>	<p>As medicações (TRE e Terapia com Chaperona farmacológica) aprovadas pela ANVISA apresentam melhora da qualidade de vida e aumento de sobrevida dos pacientes com doença de Fabry comprovado na literatura.</p>
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim	
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa	Possibilidade de inclusão de TRE como opção terapêutica.	
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa	Nao	Nao
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	A proposta da CONITEC nesse PCDT é uma afronta aos médicos geneticistas, médicos especialistas nefrologistas, neurologistas, cardiologistas, clínicos gerais e, principalmente, pacientes e familiares com Doença de Fabry. Uma rara enfermidade genética, que felizmente pode ser tratada de forma precisa e específica com 3 opções terapêuticas aprovadas em várias agências regulatórias do planeta - menos no BRASIL!!!!. O impressionante da proposta da diretriz é que sequer diferencia formas clássicas de Doença de Fabry e outras formas clínicas de manifestação cardiológica como o caso. Irei anexar um artigo sobre as terapias disponíveis e já aprovadas para diversas doenças lisossômicas e, incrivelmente, temos 3 medicações disponíveis para Doença de Fabry. Pacientes Brasileiro afetados por essa condição e médicos que atendem doenças raras sofrem com a necessidade constante da judicialização do tratamento, o que causa piora das comorbidades (tempo de espera da ação judicial), aumenta 3- 4 X o custo da medicação e o pior, limita a prática médica em relação a sua liberdade de prescrever medicações com evidência científica de melhora da qualidade de vida, melhora dos desfechos clínicos graves como morte.	Obviamente, a diretriz não pode ser aceita pela classe médica, pelos pacientes, pelas associações e pelas sociedades médicas. Aqui falo em nome também da Sociedade Brasileira de Triagem Neonatal e Erros Inatos do Metabolismo (SBTEIM). Faremos um esforço para que medicações sabidamente com eficácia e comprovação científica devam ser utilizadas no tratamento para doença de Fabry, considerando caso a caso, correlação genótipo - fenótipo e caracterização clínica. a CONITEC deveria ouvir tratadores e pacientes do Doença de Fabry e não deliberar diretrizes danosas e prejudiciais como essa. Poderia correlacionar então que um paciente que chega a emergência com infarto agudo do miocárdio, podemos dar aspirina e esperar morrer. Tratar paliativamente doenças que há tratamento específico me parece no mínimo um ato criminoso de morte programada. Como médica geneticista, pesquisadora, tratadora de pacientes com Doença de Fabry, vice presidente da da SBTEIM e autora de mais de 50 artigos nos últimos 5 anos, me sinto ofendida com tal diretriz. Espero que seja revertida imediatamente. envio artigo em anexo.
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	A doença de Fabry possui tratamento com terapia de reposição enzimática	
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	Na maioria das situações a TRE melhora sintomas da doença e protege órgãos ainda não acometidos, recebemos relatos dos ptes sobre a melhora dos sintomas e a necessidade da continuidade do tratamento.	Não
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Que seja utilizada a TRE como forma de tratamento aos pacientes de Fabry.	É de suma importância a utilização da TRE pois os benefícios aos pacientes são grande, propiciando uma melhor qualidade de vida. E não uso de terapias paliativas que nada agregam ao tratamento da doença de Fabry.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Nossos pacientes ã podem ficar sem o uso desta medicaçao. J	
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	Não	Já fiz várias pesquisas da conitec ., Infelizmente nunca dá em nada, precece arenas uma enrolação do governo que nunca da nada a favor de quem realmente precisa .muitas pessoas estão perdendo suas vidas, por simples descaso das autoridades que descumprem que todos tenham direito de um tratamento a vida.
05/07/2021	Paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	O tratamento com enzimas tem me ajudado muito melhora da minha saude dos meu familiares.	Quero continuar o tratamento
05/07/2021	Paciente	Boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Necessita contemplar a Terapêutica	
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	<p>Outras possibilidades terapêuticas para a DF, além da TRE, vêm sendo estudadas, porém a maioria, destas ainda se encontra em estágios experimentais 21,22 . Em 2016, foi publicado um ECR, envolvendo indivíduos com DF que utilizaram uma chaperona farmacológica oral, a migalastate, 23 . Este medicamento encontra-se, atualmente, em análise pela Conitec 24., , o Texto incluiu a informação que ambas as formas de terapia de reposição enzimática estão registradas no Brasil porém não especificou que o Migalastate está registrado/aprovado pela ANVISA no Brasil. Lendo o parágrafo pode-se assumir que o migalastate ainda é experimental., , ---, A finalidade destas diretrizes é também aprimorar o conhecimento e o diagnóstico da doença de Fabry., o Texto comenta que a manifestação mais comum é a dor, porém no quesito Diagnóstico Clínico, apenas as alterações de pele e córnea são consideradas importantes, deixando a dor como manifestação inespecífica., Em se tratando de DDT, a oportunidade de diagnóstico virá mais das crises de dores do que das manifestações de pele ou córnea, haja visto o que há publicado na literatura como erros diagnósticos. , Esta seção deve ser aprimorada para incluir as características clínicas da dor neuropática e das crises dolorosas periódicas. , , --, , o termo vigente para mutações é variantes, o fato de se encontrar variantes no gene GLA não quer dizer que se trata de doença de Fabry, é preciso estar claro que são variantes patogênicas ou provavelmente patogênicas, e que caso haja variantes de significado incerto será necessário avaliação por médicos especialistas na doença., , ---, , deve -se ficar claro que o aconselhamento genético já pode ser realizado antes da identificação do probando, uma vez que a suspeita diagnóstica é de uma doença genética - isto precisa ficar claro para o paciente., , ----, , o diagnóstico do angioqueratoma é clínico - não há necessidade de biópsia; isto trará maior dificuldade para o diagnóstico das mulheres., , ----, , o parágrafo de Tratamento é um desserviço aos pacientes com doença de Fabry. Está claro que a motivação para não recomendação de terapias de reposição enzimática ou</p>	não

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
			<p>migalastate foi o impacto orçamentário., é ilusão colocar que a prevenção de novas complicações poderá ocorrer sem tratamento direcionado ao problema base. A doença é de depósito e progressiva. Se eu não impedir a progressão eu não mudo o desfecho final. Eu até posso retardar o desfecho, mas ele acontecerá. Mesmo com transplante renal ou cardíaco, a doença é sistêmica, e outras manifestações poderão aparecer no decorrer do tempo., , --, , as diretrizes são inconclusivas em relação às medicações que podem ser prescritas ou ao monitoramento. , um programa mínimo de avaliações deve incluir também audiometria como avaliação inicial., , , ,</p>	
05/07/2021	Grupos/associação/organização de pacientes	Muito ruim	<p>Discordamos do texto, acompanhando nossas afiliadas pelo Brasil, verificamos situações, como desde ausência ou dificuldades de diagnóstico, perdas de órgãos, em especial rins entre outros; famílias inteiras sofrendo na HEMODIÁLISE; lutas na justiça pelo medicamentos que compradas estas se tornam mais caras ao erário público (individuais); acreditamos que a CONITEC necessita realizar urgentemente reunião com especialistas; finalmente suplicamos por sensibilidade deste departamento ...</p>	<p>Finalmente que a reposição de enzimas, ou medicamentos propostos no PCDT melhoram os sintomas, com crianças o tratamento será precocemente, impactando na sobrevivência dos pacientes e na melhoria da qualidade de vida. Por fim acreditamos que Deus possa iluminar..</p>
05/07/2021	Paciente	Muito boa	Nao	Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Regular	Seria de suma importância estabelecer as medidas de acordo com a faixa etária. Incluir que o diagnóstico deve ser o mais precoce possível. Quanto mais tardio o diagnóstico dos órgãos impactados pela doença como rins, coração e sistema nervoso central, pior será a evolução clínica, com mais sequelas que pioram o prognóstico do doente e ainda aumentam os custos de tratamento. As crianças precisam de um protocolo individualizado, assim como os adultos jovens, adultos mais velhos e maiores que 50 anos.	Para nós médicos que acompanhamos pacientes com doença de Fabry, parece um passo muito tímido apenas estabelecer um protocolo de tratamento sintomático, sem especificação por faixa etária, gravidade da doença nos familiares. A periodicidade de avaliação deve levar em conta a gravidade da doença na família, principalmente a precocidade da nefropatia pela doença, quando deveria ser indicada a biópsia renal precocemente. Entretanto, frente a pobreza do tratamento que o SUS vem oferecendo a estes pacientes, este protocolo poder-se-ia dizer, que é melhor que o NADA que estes pacientes já tem. A par do tratamento paliativo superficialmente relatado neste protocolo, estes pacientes precisam de tratamento específico PRECOCE, o qual já é aprovado nas mais renomadas agências de Saúde ao redor do mundo. Nós médicos, ficamos estupefatos quando observamos pessoas que não tem entendimento profundo da doença, decidindo por uma medicação, como SIM ou NÃO, baseando-se em DADOS COMPLETAMENTE INADEQUADOS PARA DECISÃO DE TRATAMENTO EM DOENÇAS RARAS. No mínimo deveriam solicitar a participação de profissionais capacitados para serem consultados para a tomada de decisão.
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Grupos/associação/organização de pacientes	Muito ruim	A APAR vêm discorda da avaliação, considerando inicialmente que tratasse de uma DOENÇA RARA QUE EVOLUI PARA INSUFICIÊNCIA RENAL, claro com uma pequena população e o relatório desclassifica os medicamentos entre outras por avaliação em pequenos grupos, não seria o óbvio. Considerando ainda, custos fármaco economia para não disponibilizar. Acompanhamos pacientes que a patologia acomete toda uma família. PCDT sem acesso aos especialistas vai contra a ciência....	Ofertar tratamentos secundários é NÃO admitir a patologia, submeter pacientes a dor e sofrimentos. Inclusive a nível de custo benefício sai mais caro para o ESTADO.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	Acredito que a terapia de reposição enzimática seja fundamental para postergar as Lesões crônicas e sintomáticas destes pacientes.	
05/07/2021	Interessado no tema	Ruim	É urgente a incorporação do tratamento por reposição enzimática para melhoria da qualidade de vida dos paciente!, É preciso dar mais atenção aos estudos já publicados e investir esforços na direção da manutenção da VIDA!, O tratamento específico por meio da TRE não está recomendado nesse PCDT, considerando a paucidade de evidências científicas que indiquem que a terapia interrompa a progressão da doença ou resulte em melhora de desfechos clínicos relevantes, como qualidade de vida, funções renal e cardíaca, redução da dor, entre outras; a ausência de dados de longo prazo, superior a seis meses; e o elevado impacto orçamentário que a incorporação representaria ao SUS 20. De acordo com a Portaria SCTIE/MS nº 56, publicada no Diário Oficial da União nº 224, seção 1, página 65, em 23 de novembro de 2020, foi decidido não incorporar a alfa-galactosidase e a beta-galactosidase para o tratamento da doença de Fabry, no âmbito do Sistema Único de Saúde.	Por que o próprio CONITEC não se une ao CNPQ e financia pesquisas que caminhem na direção da produção de evidências científicas que corroborem para a apresentação de alternativas que corroborem para a melhoria da qualidade de vida dos pacientes?
05/07/2021	Empresa	Ruim		
05/07/2021	Paciente	Ruim	Infelizmente, no documento, não foi considerado o tratamento com terapia de reposição enzimática, da qual já faço uso (TRE) como opção, apenas paliativos que não vão trazer quase nenhum benefício ao paciente, principalmente na prevenção de lesões renais, cardíacas e neurológicas, comuns à Doença de Fabry.	somente as considerações da questão anterior
05/07/2021	Profissional de saúde	Regular	Sim. Incluir a biopsia renal como monitoramento em situações especiais.	Existem dados coletados na literatura acima de seis meses e a justificativa do impacto econômico é equivocada porque não compara com os custos das complicações.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Regular	Sim, gostaria de incluir a troponina T ultra sensível, para avaliar e monitorar fibrose cardica, pois apresenta uma forma mais barata e prática para acompanhar estes casos. , Gostaria de acrescentar a avaliação da metodologia de ecocardiograma com speckle tracking, que consegue monitorar alterações precoces da Doença de Fabry., Incorporar a Lyso-Gb3 sérica nos critérios diagnósticos, conforme o consenso europeu., Incorporar o tratamento específico, com terapia de reposição enzimática ou chaperona para pacientes homens com variante patogênica, e mulheres com lesão de órgão alvo e mutação patogênica.	Gostaria de discordar de forma peremptória da não recomendação de incorporação da terapia de reposição enzimática ou da chaperona para paciente de Doença de Fabry. A justificativa de impacto econômico, torna-se uma falácia pois só analisa o custo do medicação, em nenhum momento analisa o impacto econômico do tratamento das complicações, com necessidade de cardiodesfibrilador implantável, diálise, transplante ou uso de medicações para ICC e neuropatia periférica. Sem contar com o impacto negativo na sobrevida dos paciente. , Existem dados que mostram melhora na sobrevida em pacientes tratados, quando comparados com pacientes não tratados e estabilização de função renal e cardíaca em coorte de 10 anos.
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa	O diagnóstico e tratamento precoce modificam o prognóstico	
05/07/2021	Profissional de saúde	Regular	Incluir Ecocardiograma strain e troponina I ultrasensível, para acompanhamento do tratamento e diagnóstico., Incluir a biópsia renal com as 3 metodologias (MO, IF e ME) e também a biópsia cardíaca como método de diagnóstico e monitoramento em ocasiões especiais. , Não concordo na não inclusão do tratamento específico com a terapia de reposição enzimática ou da chaperona.	Já há vários trabalhos na literatura que demonstram a importância e benefício do tratamento específico em pacientes com alteração genotípica e fenotípica, contribuindo para redução da progressão da cronicidade dos órgãos alvo afetados pela doença.
05/07/2021	Sociedade médica	Muito boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Os pacientes merecem ter direito a todos os tratamentos para Doença de Fabry, muitos pacientes fazem a TRE tendo uma qualidade e sobrevida muito melhor , na qual o tratamento paleativo não são suficientes ! Por isto não concordo com a Conitec.	Todos os pacientes tem direito a todos os tipos de Tratamento!!!
05/07/2021	Empresa	Boa	Não	Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa	Desnecessário	Não comentario adiciona?
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa	Não	Não
05/07/2021	Paciente	Boa	A importância da Terapia de Reposição Enzimática.	Não
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Creio que as pessoas que criaram esta resolução, não trabalham diretamente com pacientes diagnosticados com a doença de Fabry ou quaisquer doenças raras, pois elas têm como características apresentarem caráter sistêmico e progressivo. Os tratamentos disponíveis podem mudar a história natural e a qualidade de vida dos pacientes com a doença de Fabry e com várias outras, baseados em estudos sérios.	Os pacientes e os médicos manterão a luta para o tratamento e caso, a CONITEC permaneça desfavorável, a judicialização continuará a ser o meio utilizado. Isto acarretará ainda mais em custo e demora para início do tratamento.
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim		
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	Os medicamentos disponíveis são efetivos e melhoram qualidade de vida	
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Nao	Não
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa	Gostaria de ressaltar a importância do tratamento para os pacientes afim de evitar possíveis complicações renais.	
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim		
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Grupos/associação/organização de pacientes	Muito ruim	A proposta em apreciação infelizmente NÃO contempla o tratamento específico para nenhum paciente com DF (nem mesmo com a forma clássica) e, além disso, não traz em seu texto nenhuma diferenciação entre as suas formas clínicas. Lembrando que se esse texto for aprovado ele se tornará um PCDT que guiará todas as decisões, inclusive as judiciais.	Todos os pacientes com doença de Fabry merecem ter acesso ao tratamento de maneira integral , independentemente de sua condição, uma vez que esse paciente tenha recomendações pelo seu médico para poder tratar.
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	A proposta em apreciação infelizmente NÃO contempla o tratamento específico para nenhum paciente com DF (nem mesmo com a forma clássica) e, além disso, não traz em seu texto nenhuma diferenciação entre as suas formas clínicas. Lembrando que se esse texto for aprovado ele se tornará um PCDT que guiará todas as decisões, inclusive as judiciais.	Todo paciente diagnosticado por Fabry merece receber seu tratamento.
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Medicação para a doença de fabry	
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	Não está previsto nenhum medicamento específico para a doença como a terapia de reposicao enzimatica	Necessita incluir terapia de repiscao enzimatica
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, gostaria de destacar a importância das terapias de reposição enzimáticas que são de extrema importância na vida do paciente, dando mais vida e qualidade para o mesmo.	Para incorporar as terapias na Conitec.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Empresa	Boa	<p>A Takeda, uma líder biofarmacêutica global com 240 anos de história, cujos princípios de ética e de conduta são centrados no bem-estar do paciente, tem o compromisso de buscar acesso adequado aos seus produtos e serviços e, seja atuando de forma independente ou em colaboração com outras organizações e governos, esforça-se para encontrar soluções que tenham um impacto contínuo e significativo para os pacientes. Sendo assim, reconhecendo o valor para a saúde pública da definição de critérios para diagnóstico e tratamento dos pacientes com doença de Fabry no Brasil, a empresa participa ativamente e com responsabilidade deste processo., A Takeda reconhece e valoriza a avaliação técnica conduzida pela Conitec sobre o tema, e espera que as informações a seguir possam contribuir para a jornada até a tomada de decisão baseada em evidências científicas e focada nos princípios de equidade, integralidade e universalidade, considerando-se o contexto das doenças raras, para que as Diretrizes reflitam a real necessidade dos pacientes com doença de Fabry, seus cuidadores, médicos e equipes de saúde., A proposta de Diretrizes apresenta informações sobre o diagnóstico, tratamento sintomático e monitoramento clínico do paciente com doença de Fabry no SUS e, apesar de o documento não recomendar o uso de tratamento específico aos pacientes brasileiros com a doença (1), como terapia de reposição enzimática (TRE) e chaperona, a Takeda entende ser essencial sua disponibilização no SUS e, alinhada ao seu compromisso de buscar acesso apropriado aos seus medicamentos cuja eficácia e segurança são comprovadas por evidências clínicas, reitera seus esforços incessantes para viabilizar a incorporação de alfa-galactosidase no SUS., Considerando-se a limitação de caracteres neste formulário, a Takeda está encaminhando documento anexo com sugestões para aprimoramento das Diretrizes quanto à: (1) descrição da atividade enzimática nos portadores da doença de Fabry; (2) frequência da doença em relação à sua classificação (fenótipo clássico ou não clássico); (3) detalhamento dos sintomas mais</p>	<p>A contribuição completa da Takeda, bem como a lista com referências bibliográficas, está sendo encaminhada em arquivo anexo a esta contribuição.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
			<p>frequentes (crises de dor e febris, ausência ou diminuição da capacidade de suar, entre outros); (4) detalhamento do acometimento renal e cardíaco característicos da doença de Fabry; (5) classificação da doença em fenótipo clássico ou não clássico em homens e mulheres; (6) esclarecimentos quanto ao tratamento específico da doença de Fabry; (7) apresentação dos critérios diagnósticos para homens e mulheres; (8) estruturação do acompanhamento multiprofissional; (9) exames de acompanhamento dos pacientes; (10) estruturação da educação científica aos profissionais de saúde envolvidos no manejo da doença de Fabry; (11) aplicabilidade dos procedimentos estabelecidos na Portaria GM/MS nº199/2014 à doença de Fabry; (12) compromisso da Takeda com os pacientes com doença de Fabry. , A Takeda mais uma vez reconhece o valor para a saúde pública de se estruturar a assistência aos pacientes com doença de Fabry no SUS por meio das Diretrizes propostas, mas reforça a importância de se disponibilizar, de maneira criteriosa e sustentável, tratamento específico aos pacientes com a doença, de forma a zelar pela integralidade do cuidado prevista como um dos eixos prioritários e doutrinários da política do Estado brasileiro para a saúde., Posto isto, na expectativa de poder contribuir para a estruturação da assistência aos pacientes com doença de Fabry no Sistema Único de Saúde, em concordância com seus princípios de equidade, integralidade e universalidade, coloca-se à disposição para quaisquer esclarecimentos.</p>	
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa	Sugiro considerar imprescindível o tratamento específico para DF como a Terapia de Reposição Enzimática	
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Empresa	Ruim	Sim. Documento Anexo	Sim. Documento Anexo
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	Inserir tratamento com reposição enzimática	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Pelo que pude conhecer e ler ao longo desses anos, vez que minha filha foi diagnosticada em abril de 2015 com Doença de Fabry, estando ela com 26 anos, é que esta doença é pouco conhecida até pela própria classe médica, daí a sua dificuldade de diagnóstico. A reposição enzimática é de fundamental importância para a melhora da qualidade de vida desses pacientes,	"Minha filha que não é consanguínea, foi diagnosticada em abril de 2015 como sendo portadora de Doença de Fabry, Em 2014 ela passou uma semana na UTI Cardíaca da Casa de Saúde de Santos, decorrente de problemas cardíacos graves, . No mesmo ano, meses depois ficou internada por 12 dias na Beneficência Portuguesa em São Paulo, decorrente de problema renais, sem um fechamento conclusivo do diagnóstico. Foi dado como ""Síndrome de Austrian"". Após a descoberta da Doença de Fabry, pelo neurologista Dr. Mauro Gomes Araújo, ao analisar as imagens de ressonância magnética que a minha filha havia feito, e a posterior confirmação via exame de sangue, ""resultado de testes baseados em DNA"", minha filha começou com o tratamento de reposição enzimática e não teve mais nenhuma crise cardíaca. Os problemas dos rins foram diminuindo, tendo eventos esporádicos. Os problemas intestinais ainda são persistentes. Os formigamentos nos membros quase não ocorrem mais. As ressonâncias do cérebro tem demonstrado uma estabilização vez que não se constatou avanço das placas de gordura."
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim		
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	Acho q deveria incluir a TRE!!	Apenas reafirmar A TRE
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	Sim, gostaria principalmente de abordar a questão da terapia de reposição enzimática. Diante de doenças raras, a falta de comprovação de benefícios é frequente em varias doenças pelo fato de serem diagnosticadas muito tardiamente quando os benefícios são menores. Por que só na Doença de Fabry isto foi motivo de não ser recomendado tratamento? Quando estamos diante de um paciente na fase inicial da doença não poder tratá-lo se na forma clássica é determinante de mau prognóstico. O número de processos judiciais com certeza vão onerar mais ainda o serviço de saúde.	Vários outros aspectos não foram abordados, como ao tratamento da fibrilação atrial, fenômenos tromboembólicos. Também não foram feitas referências ao tratamento da fibrilação atrial, dos fenômenos tromboembólicos.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	Entendo que a recomendação falha ao não considerar na diretriz a possibilidade de terapia com a chaperona farmacológica Migalastate, já aprovada pela ANVISA, que tem se mostrado eficaz para pacientes com mutações suscetíveis (cerca de 40 % da população total de pacientes com Fabry) e apresenta a conveniência de ser uma medicação oral (em anexo artigo que documenta sua comparação da terapia oral com a reposição enzimática intravenosa)	O texto proposta falha ao não recomendar a incorporação da terapia de reposição enzimática, em utilização há 20 anos, com eficácia já estabelecida para múltiplos desfechos e documentada em extensa bibliografia (anexo revisão recente). Acompanho há mais de 30 anos pacientes com doença de Fabry e pude verificar a mudança na qualidade de vida introduzida pelo tratamento. A doença de Fabry é uma condição grave e multi-sistêmica, e a comprovação de eficácia para alguns dessas alterações (por exemplo, a dor excruciante vivenciada pelos pacientes) já justificaria a sua incorporação. A questão do impacto orçamentário poderia ser minimizada com uma seleção rigorosa dos pacientes a serem incluídos no protocolo de TRE.
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não
05/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim	Estão faltando com conhecimento ref a resposta ao tratamento.	Tenho conhecimento tecnico e científico referente a resposta positiva do tratamento e não apenas paliativo!
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Fiz algumas observações no próprio relatório durante a minha leitura que será encaminhado a CONITEC.	A cada falta de recomendação para o tratamento específico dos pacientes com doença de Fabry, os que infelizmente nasceram com essa doença, que a CONITEC se recusa a reconhecer a eficácia dos tratamentos disponíveis e tem a coragem de fazer um documento com medidas recomendadas de forma muito superficial, próprio de profissionais que não têm experiência no tratamento clínico de pacientes com DF. O Brasil tem um número significativo de especialistas de vários estados nessa doença do ponto de vista geral, genético, cardiológico, nefrológico e neurológico. Teríamos muito prazer em participar da elaboração de recomendações para o tratamento de pacientes com DF.
05/07/2021	Grupos/associação/organização de pacientes	Muito ruim	Como associação de pacientes com mais de 300 pacientes de Fabry associados sabemos da importancia do tratamento correto para essas pessoas,a doença é PROGRESSIVA e em o tratamento correto FATAL,meu marido faleceu ao 44 anos devido a complicações e falta de tratamento.	as pessoas com doença de fabry precisam fazer uso das enzimas já aprovadas pela Anvisa,e que funcionam.Todo o Brasileiro tem direito a saúde,está na constituição.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Todos merecem tratamento pra doença e não que seja algo paliativo. A medicação existe e deve ser usada. Coloquem-se no lugar do paciente que sofre com isso.	
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Os pacientes de Doença de Fabry que conheço só melhoraram depois que começaram a fazer as infusões com as enzimas alfa-galactosidase e com a beta-galactosidase	Sem fazer as infusões com as enzimas alfa-galactosidase e com a beta-galactosidase os pacientes de Fabry correm risco de morte.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Regular	<p>A doença de Fabry (DF) é uma doença rara de armazenamento lisossomal ligada ao cromossomo-X baseada em uma deficiência da alfa-galactosidase. Com esta deficiência da α-gal A, ocorre o acúmulo lisossomal de glicoesfingolipídeos (Gb3, liso-Gb3 e GL3) que leva a uma doença multissistêmica com insuficiência renal progressiva, cardiomiopatia grave e acometimentos neurológicos. Estes acometimentos diminuíram consideravelmente a expectativa de vida dos pacientes com a doença. , Atualmente as opções de tratamento para DF incluem terapia de reposição enzimática recombinante (TRE) e a terapia com chaperona farmacológica oral com Migalastate, que se liga seletivamente e reversivelmente ao local ativo da AGAL, estabilizando as formas mutantes da α-Gal A no retículo endoplasmático e facilitando o seu transporte adequado para os lisossomos. Essas terapias permitem a eliminação de Gb3 celular e melhoram o fardo da doença. No entanto a terapia de suporte (tratamento sintomático e paliativo), conforme recomendada pelo Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para DF, controla apenas alguns sintomas causados pela DF, ou seja não trata a causa de base (mutação no gene AGAL) e esta não tratada leva à morte prematura., A doença de Fabry é devastadora e merece um tratamento dirigido para o seu defeito original, que é a falta ou deficiência da enzima α-galactosidase. Os pacientes com doença de Fabry no Brasil merecem ter acesso à tratamentos específicos para doença de Fabry aprovados pela ANVISA (TRE e Migalastate) de maneira equitativa, oportuna e econômica. , Por esse motivo, acredito que medicamentos específicos para a doença de Fabry devem ser incorporados ao PCDT em DF e ao SUS., ,</p>	Não, Obrigado.
05/07/2021	Profissional de saúde	Regular	Ficou faltando algo muito importante, o tratamento com terapia de reposição enzimática (TRE)	Ficou faltando algo muito importante, o tratamento com terapia de reposição enzimática (TRE)
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Paciente	Muito ruim		Há uma desconsideração de toda a pesquisa feita sobre a doença de Fabry e total ausência da opinião de especialistas nessa doença. Quem conhece pessoas que fazem o tratamento e pessoas que não fazem, sabe o quanto o tratamento aumenta a qualidade de vida dos pacientes
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	A medição é muito importante para mim e minha filha, pois tivemos muitos resultados positivos em relação a exames laboratoriais e qualidade de vida, preciso muito continuar com as informações	
05/07/2021	Paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	Faço uso da enzima e ela é ótima, me dá resultados muito bons e uma qualidade de vida melhor.	Apenas que parassem de escrever mentiras sobre a enzima,faço uso e ela é muito eficaz.
05/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Não incluiu nenhuma forma terapia de reposição enzimática!	Deveriam incluir todos os tratamentos existentes. Incluindo as terapias de reposição enzimática
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Tenho familiares com doença de Fabry,o tratamento com a medicação certa,(quando vem certo) traz uma diferença enorme na qualidade de vida deles.Eles merecem muito e precisam dos medicamentos.Merecem a chance de ter uma vida com menos sofrimento.Está nas mãos da conitec,uma vida com dignidade ou uma vida com dores e limitações.Qual e escolha?e se vc com vcs?Seus filhos,seus pais?pensem e façam o melhor, ouçam a opinião dos pacientes.	Não
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		As pessoas precisam dos medicamentos
05/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim	O direito a vida deve ser prioridade diante aos entraves burocráticos do Ministério da Saúde.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	A medicação repaglal é o melhor medicamento para prevenção	
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Ruim	Os pacientes merecem o respeito e p direito que está na nossa constituição, que todos os cidadãos tem direito a saúde e dignidade	Merecemos respeito e dignidade
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Sim, a doença de Fabry, eh uma doença genética rara, e que após longa jornada para poder esclarecer o diagnóstico, o paciente deve ter o direito de tratar especificamente, pois existe o tratamento que impede a progressão da doença. Apenas cuidados paliativos não são suficientes para proteger outros órgãos dos danos da doença.	Muito estranho uma diretriz propor uma recomendação dessas e não considerar todos os estudos existentes que evidenciam a melhora de qualidade de vida dos pacientes, dando esperança a tantos familiares, e retroceder no tempo depois de tantas conquistas com esta doença rara. Quem propõe uma diretriz como está, não conhece os aspectos da doença e nunca conviveu com um paciente portador desta doença. Convivi por muito tempo com eles e pude constatar de muito perto a evolução dos casos.
05/07/2021	Paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		O tratamento com enzimas funciona e faz toda a diferença na vida dessas pessoas. Por favor incluam este medicamento no SUS.
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	Conheço as pessoas que fazem uso da enzima é funcionam muito bem	
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Paciente	Muito boa	Sou paciente de fabry e minha vida melhorou muito com a medicação	
05/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim	Na vigência de uma doença rara com tratamento específico, nem deveríamos discutir não tratar, e apenas ficar com cuidados paliativos, isto levaria os pacientes a não ter qualidade de vida, maior sofrimento e menor sobrevida, o que tira deles o direito de viver mais e melhor. Usar métodos paliativos seria como abreviar a vida destas pessoas. Já é tão raro conseguir tratamento adequado para uma doença rara, agora negligenciar e não tratar quem precisa, já passa do limite do desrespeito ao ser humano.	Poderiam considerar todos os estudos relevantes, uma vez que poucos pacientes são portadores de doenças raras e todo estudo acaba sendo importante.
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Regular	Inclusão do tratamento de reposição enzimática em pacientes com lesão em órgão-alvo notadamente em relação à disfunção renal, cardiopatia e dor neuropática com diagnóstico confirmado da doença com mutação patogênica e exclusão de outras causas,	Doenças raras apresentam nítida dificuldade de demonstrarem grandes benefícios com medicações de reposição enzimática através de trabalhos duplo-cegos, randomizados, multi-cêntricos e com N elevado pela própria limitação de casos. Logo, as demandas da CONITEC em relação ao grau de aprofundamento dos trabalhos deve ser relativizado nessas doenças, em minha opinião. Isso também se baseando em nossa experiência clínica e e no mundo inteiro.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	Acredito que devem-se esclarecer com mais informações os motivos pelos quais se está afirmando a ineficácia da medicação, pois parece que existem questionamentos em relação a este parecer. Mais tempo precisaria ser dado para que isso fosse amplamente discutido, já que o assunto além de desconhecido de muita gente, é uma esperança para uma pequena parcela que está sob o risco de serem negligenciadas.	Quais seriam as provas de que os pacientes já tratados com o medicamento não teriam seu quadro clínico evoluído para danos irreparáveis e mesmo óbito. Tais questões precisam ser mais amplamente discutidas.
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sim o tratamento com ensina já e aprovado pra anvisa	Todos tem direito ao medicamentos
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	Recomendar a prevenção de complicações ocasionadas pela doença, o tratamento sintomático e a terapia de reabilitação. Incluir o medicamento para tratamento específico da doença, como a Terapia de Reposição Enzimática (TRE).	inclusao da terapia de reposicao enzimatica para tratamento especifico da doenca.
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa		
05/07/2021	Paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Paciente	Regular		
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	Não	Não
05/07/2021	Interessado no tema	Muito boa	Nao	
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	Toda pessoa merece amparo e tratamento, e negar um medicamento a quem coloca nele suas esperanças não é nem ético e nem evidência de cuidado com seus cidadãos.	Os profissionais que acompanham os pacientes estão em condições junto dos mesmos de responder a estas dúvidas e questionamentos. Seria interessante dar voz a estes.
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
05/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Medicamentos constar na farmácia do SUS	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	A Diretriz deveria contemplar a TRE, e não se restringir apenas ao tratamento sintomático da Doença de Fabry. Com a devida vênia, isto é não entender nada de Doença de Fabry. A Europa e os EUA tem suas Diretrizes que indicam a TRE. Ao não contemplar TRE em nenhuma situação clínica, o que ocorrerá é que os pacientes continuarão a buscar a via judicial, inclusive aqueles que não têm indicação médica de fazer a TRE!! Em anexo, publicação com a participação do Dr. Fellype Barreto pesquisador desta doença, e que trabalha na UFPR, que sequer foi chamado p/ auxiliar a CONITEC nesta Diretriz. Ali há evidência da TRE na melhora da DF.	O critério diagnóstico laboratorial de atividade da enzima ?GAL-A inferior a 20% dos valores normais, não está correto: o certo é atividade inferior a 3%. Atividade entre 3% e 35% o Diagnóstico de D. de Fabry é apenas provável. Além do mais , a Diretriz nem cita Lyso-GB3 ou a GB3 como marcadores da evolução da doença em nenhuma situação. Apenas os ignora.
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	Não.	Sou enfermeira e acompanho pacientes de Fabry, realizando infusão do medicamento, ha quase 7 anos, nesse tempo pude observar os aspectos positivos do medicamento, em relação a qualidade de vida e longevidade. Pude acompanhar também os sintomas que o paciente apresentou na vigência da falta do medicamento na rede pública, e das queixas que apresentou no período em que ficou sem o tratamento. Do meu ponto de vista, retirar a medicação dos pacientes e voltar no tempo, ser retrógrado, pois todos os avanços que obtivemos servem para mostrar que o tratamento e sim efetivo e garante maior qualidade de vida aos nossos pacientes. Proporcionando, também a eles poder desfrutar de uma vida mais digna, saudável e feliz ao lado de sua família.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	<p>Só quem tem a doença de fabry tem mais propriedade em opinar sobre o assunto. Sabe o que significa não transpirar, não ter suor? significa que as toxinas não saem do seu corpo. Com a medicação utilizado atualmente tenho um vida muito mais normal, Sem a medicação, meu rim fica afetado, pois não consegue filtrar corretamente, a temperatura do corpo em estado febril é 41 a 42 graus, algo muito insuportável. E Atualmente estando com a medicação em dia esses sintomas foram muito reduzidos, praticamente dentro de uma normalidade. A minha saude é muito melhor após o uso do medicamento Replagal. Antes fazia de 3 a 4 infecções por ano, minha imunidade era muito mais baixa, hoje se faço devo fazer no máximo um infecção por ano que precise tomar antibióticos. Mesmo assim temos acompanhamento a cada 2 meses no Hospital de Clinicas em Porto Alegre. Essa luta, em descobrir essa doença, tem mais de 30 anos na minha família. Já tive 2 tios que faleceram em virtude da doença, quando não tinha tratamento. E hoje temos, e por isso estamos bem e medicados. O Governo não tem o direito de tirar nosso tratamento que é tão importante quanto qualquer outro.</p>	<p>O Ministério público ou o governo federal, precisa é investigar se há outras formas mais baratas de comprar a medicação, por outros laboratórios, e formas de compras, se for o caso. E não penalizar os pacientes que usam a medicação.</p>
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	<p>Sou paciente e me sinto muito melhor com a medicação replagal, a qual faço a cada 15 dias. Tenho problemas no coração em virtude da doença e hoje sou montiorada pela equipe médica que acompanha a cada 6 meses. Eles cuidam do rim, coração e cabeça. Os principais órgãos que a doença de fabry afeta. Já pedi dois irmãos pra essa doença. Um com 28 anos de ataque cardíaco. Eles tinha dores horríveis, e já tive muitas dores fortes, mas agora com a medicação em dia tudo está muito melhor. Não é justo tirarem um tratamento que temos direto. Ninguém pediu pra nascer com essa doença.</p>	
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito boa		
05/07/2021	Profissional de saúde	Boa	Nao	Sobre a inclusão de terapia de reposição hormonal nos pacientes com Doença de Fabry na prevenção de lesões renais, cardíacas e neurológicas e não somente como medicação paliativa.
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Muito ruim essa proposta. Esses pacientes precisam de medicação pra terem uma vida normal. Minha esposa é paciente e hoje tem uma qualidade de vida muito melhor com a medicação em dia. Conseguir trabalhar normalmente, caso contrário estaria aposentada por essa doença, como tantas pessoa que ela conhece e tem parentes.	Para essa decisão precisa ser avaliada a condição dos pacientes. A melhor nos exames, nos resultados. Isso precisa ser visto. E isso vocês não estão verificando desta forma.
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	Pois o tratamento enzimático, esta fazendo efeito, sim e muito, não é visual pois é um tratamento de proteção, para que o nosso corpo se proteja de outras doença que possam atacar os órgãos vitais, sinto as dores diminuir dias depois da reposição de enzima, pode ser que pessoas acham que não funciona, mas estão esperando mudanças visíveis e o tratamento não é isso, o tratamento é uma forma de prevenção para que outras doenças ataquem com mais força, deixando assim o organismo sem reação, então sim o remédio e o tratamento de 15 em 15 dias faz diferença sim, eu sinto e muito, entes qualquer doença eu pegava, gripe era direto, depois do tratamento nunca mais precisei fazer algo contra a gripe e outros tipos de doenças. Então se algumas pessoal que acham que não está fazendo efeito o remédio que fiquem sem, pois eu não quero e nem posso pois não tenho condições de bancar particular, e nem quero ter que precisar de ajuda se o médico for cancelado, precisar de ajuda só quando estiver morrendo, medicamento fica, pra mim ele ajuda sim...,	
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	A medicação é muito importante...determinante para uma vida com mais qualidade aos pacientes	Pacientes que recebem a infusão de enzimas de dado resultado muito positivos....casos que tem melhorado grandemente.....a medicação é muito importante
05/07/2021	Paciente	Muito ruim		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Profissional de saúde	Ruim	<p>Posicionamento GEDORAC, GEMIC, DCC e DEIC DA SBC, GEDORAC - GRUPO DE ESTUDOS DE DOENÇAS RARAS COM ACOMETIMENTO CARDIACO DA SBC, GEMIC - GRUPO DE ESTUDOS EM MIOCARDIOPATIAS DA SBC, DCC - DEPARTAMENTO DE CARDIOLOGIA CLÍNICA DA SBC, DEIC - DEPARTAMENTO DE INSUFICIÊNCIA CARDIACA DA SBC, SBC - SOCIEDADE BRASILEIRA DE CARDIOLOGIA , , CONSULTA PÚBLICA Nº 53: Diretrizes Brasileiras para Diagnóstico e Tratamento da Doença de Fabry publicada no DOU em 15/06/2021., , 1.</p> <p>POSICIONAMENTO:, A proposta apresentada necessita de várias correções quanto às medidas de investigação terapêutica e de manejo clínico da Doença de Fabry (DF) frente à existência de novas tecnologias e de novos conhecimentos a respeito da fisiopatogenia da doença e que não foram contemplados nesta proposta. Além disto, a incorporação das terapias de reposição enzimática e de uso de chaperona farmacológica como estratégia terapêutica doença específica é necessária diante da aprovação destes medicamentos órfãos pela ANVISA para uso em território nacional. As demais opções terapêuticas disponíveis constituem terapêutica adjuvante para controle de sintomas uma vez que nenhuma é capaz de impedir a formação dos depósitos lisossomais de glicosfingolipídeos. , , 2.</p> <p>FUNDAMENTAÇÃO:, A proposta apresentada pela CONITEC como diretriz para diagnóstico e tratamento da Doença de Fabry demonstra um interesse legítimo de parametrização de medidas cujo objetivo final é a disponibilização de uma assistência médica de qualidade no âmbito do SUS. No entanto, alguns pontos apresentados não estão em concordância com as condutas atualmente adotadas não apenas no Brasil, mas também países tais como o Canadá, o Japão e os Estados Unidos da América. No texto em pdf anexado abaixo apresentamos alguns pontos a serem destacados., ,</p>	
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Interessado no tema	Muito ruim	Remédio é muito importante para vida das pessoas, sem esse remédio a pessoa não terá uma vida digna	
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Esse remédio é muito importante pras pessoas que dependem dele! É impossível poder comprar a medicação! E ela faz muita diferença na saúde e qualidade de vida das pessoas!	Só quem tem a doença sabe o que passa. As pessoas merecem viver com dignidade e com o melhor que sua saúde pode oferecer. Se tem um medicamento que pode melhorar a qualidade de vida, deve ser disposto no SUS!
05/07/2021	Profissional de saúde	Regular	Inserir tratamento de reposição enzimática já aprovado pela CONITEC	É necessário revisar pormenorizadamente , todo o documento com profissionais comprovadamente experts no tema, no manejo assistencial dos pacientes, especialmente os integrantes das sociedades médicas afins (cardiologia, neurologia).
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	Precisamos da enzima nossa vida melhorou 100% não podemos ficar sem.	E um absurdo tirarem isso de nós.
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Meu filho depois que começou a usar a insima teve uma melhora de vida muito significativa está podendo levar uma vida quase que normal	
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Profissional de saúde	Muito ruim	A reposição enzimática ajuda na melhora da qualidade de vida, diminui agravos da doença e retarda as complicações. É comprovado cientificamente que a TRE funciona.	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Sou irmã de um beneficiário do recebimento de Enzima, portanto compreendo a importância desse tratamento para os portadores dessa doença! É um total descaso pensarem na hipótese de suspenderem esse recurso, uma vez que é através desse tratamento que pessoas como meu irmão tem a oportunidade de desfrutar de uma qualidade de vida melhor! Sabemos o que ele passou sem o medicamento, foram noites de choros intensos, queimação em suas extremidades, dores insuportáveis. Não desejamos isso a ninguém, para tanto digo sem sombra de dúvida que o tratamento é vital e necessário!	
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	Se eu morrer a culpa de vocês, sintam-se culpados por toda eternidade	Se fossem vocês no nosso lugar, estariam rezando pelo remédio!
05/07/2021	Paciente	Muito ruim	São pessoas que precisam desse medicamento para viver, é um absurdo não incluir esse medicamento na lista do SUS.	