

## Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Exclusão do eculizumabe para tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna - Conitec

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
03/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Deve ser incorporado o quanto antes ao SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
05/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. O medicamento eculizumabe não deve ser excluído do tratamento de HPN do sus. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
05/07/2021	Paciente	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. O medicamento Eculizumab não deve ser excluído do tratamento de HPN do SUS. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
05/07/2021	Interessado no tema	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. A medicação pode salvar vidas. A falta do medicamento em 2017 e 2018 levou vários pacientes a óbito. O atual acesso ao medicamento é por via judicial, muitos pacientes não podem esperar morrem antes. A medicação precisa ter início da dispensação. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Droga extremamente eficiente, para doença rara sem outras opções terapêuticas nos casos com atividade de doença</p> <p>2ª - São robustas em relação à eficácia e segurança</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Deve ter DUT bem clara para evitar uso indevido e centralização do tratamento em instituições bem treinadas e monitoradas</p>
06/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. A Doença é rara e de grande morbidade ., Já tive dois pacientes com HPN e de qualquer modo a doença se torna cara pois tem muitas complicações . O tratamento adequado evita o sofrimento catastróficos destes pacientes .</p> <p>2ª - Alto grau de evidência .</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. É um medicamento muito importante para a qualidade de vida dos pacientes com HPN.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Necessário sem outra opcao</p> <p>2ª - Nao</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. HPN é uma doença rara, progressiva, debilitante com elevada morbidade e mortalidade. Não há disponível no Brasil nenhum outro tratamento específico para a doença</p> <p>2ª - Várias publicações confirmando que trata-se de droga eficaz, efetiva e segura, com redução significativa da mortalidade e melhora da qualidade de vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. A inclusão do eculizumab no SUS e a realização de um controle mais centralizado do tratamento dos pacientes com HPN pode evitar que os pacientes em uso da medicação por via judicial fiquem sem o fornecimento adequado da medicação e com isso apresentem complicações da doença o que além de onerar o sistema de saúde, também podem levar os pacientes a afastamento de seu trabalho.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Deve-se considerar que a compra centralizada pelo governo pode reduzir os custos tanto da compra como evitar o risco de complicações que os pacientes apresentam e com isso custos de hospitalização e transfusões que ocorrem quando os pacientes ficam abruptamente sem o uso do eculizumab por falta de fornecimento.</p> <p>5ª - Não</p>
06/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Importante é a equidade nos sistemas de saúde, público e privado</p> <p>2ª - importante resposta aos casos com quadros hemolíticos incontroláveis</p> <p>3ª - O custo é um problema mas, quando bem indicado, a somatória de todos os custos terapêuticos e agravos podem ser mais elevados</p> <p>4ª - não</p> <p>5ª - Não</p>
06/07/2021	Paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Eu tenho HPN</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Sim, so me pedirem por email</p> <p>4ª - não</p> <p>5ª - não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
07/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. O uso do Eculizumab com bom senso pelos médicos prescritores pode salvar vidas e aumentar a qualidade de vida de alguns poucos pacientes selecionados.</p> <p>2ª - Vejo cerca de 10 pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna na forma clássica hemolítica e com trombozes em uso da medicação, e por experiência posso atestar sua indescritível melhora em relação ao status pré tratamento e em relação aos pacientes não tratados.</p> <p>3ª - Fiz um levantamento nos últimos 3 anos no hospital de clínicas da universidade federal do Paraná e com o tratamento desses 10 pacientes por via judicial gastamos cerca de 19.000.000 de reais. Um custo certamente proibitivo, porém com um trabalho minucioso da farmácia hospitalar pudemos economizar cerca de 600.000 reais com a utilização do overfill ou sobras dos frascos. Vale dizer que além de prover eventuais faltas de medicação no período pudemos retirar obrigado de vida de um paciente com 22 anos e uma trombose de veias hepáticas (budd-chiari) catastrófica. Estamos preparando uma descrição desse caso na literatura.</p> <p>4ª - Apesar de proibitivo, penso que a incorporação no sus e melhor regulação será possível diminuir o impacto que já ocorre coma judicializacao.</p> <p>5ª - O percentual de pacientes que tem indicação de uso do Eculizumab é menor do que o reportado já que com o aumento da sensibilidade do método diagnóstico (citometria de fluxo) muitos pacientes com hpn sublimação são detectados. Porém o tratamento só está indicado em casos de hemólise exacerbada e trombose. Sugiro manter a indicação de prescrição em centros especializados para evitar prescrições inadequadas.</p>
07/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Medicação praticamente unica, de alto custo, que beneficia pacientes de HPN</p> <p>2ª - Melhora considerável e manutenção da vida</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
07/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Medicação indispensável para o tratamento de HPN, diminuindo morbimortalidade da mesma.</p> <p>2ª - Há várias literaturas comprovando uso da medicação na HPN.</p> <p>3ª - Vida não tem preço.</p> <p>4ª - Não.</p> <p>5ª - No momento não.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
07/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. O medicamento não possui similar liberado para realização do tratamento para HPN. A segunda opção seria Transplante de medula óssea, procedimento muito mais custoso e com riscos</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
07/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. É o único medicamento existente no mercado para a doença, e os pacientes apresentam melhora significativa com o medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
07/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Dados clínicos e experiência profissional</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
08/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. pacientes com HPN são altamente sintomáticos, muito jovens e estão sujeitos a trombooses graves que podem levar à morte. Não há alternativa de terapêutica disponível no país. A observação clínica de quem trata pacientes portadores é de melhora importante de hemólise e qualidade de vida dos indivíduos afetados</p> <p>2ª - nao</p> <p>3ª - nao</p> <p>4ª - nao</p> <p>5ª - nao</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
09/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna não apresentam nenhum tratamento específico pelo sus</p> <p>2ª - A medicação reduz a necessidade de internações e transfusões sanguíneas. Além de cirurgias errôneas na suspeita de abdômen agudo</p> <p>3ª - A redução de internação. Reduz o custo que este paciente gera ao Estado</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
09/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Muitos pacientes precisam. Se estiver oficializado evita judicialização e possibilidade de corrupção. Qdo e oficial fortalece o profissional de saúde e o SUS. Se ficar extra oficial fortalece advogados e afins, não conhecedores da real indicação e apenas na grande maioria objetivando ganho financeiro. Nos profissionais do SUS não aferimos ganho extra, apenas exercemos nosso papel técnico com ética. Deveria só utilizar medicação de alto custo em hospitais exclusivamente público. Não deveria liberar para entidades conveniadas, que atendam pacientes de convenio, tipo algumas falsas Santa Casas e OGNS.</p> <p>2ª - Realmente há melhora na qualidade de vida do paciente.</p> <p>3ª - Como é caro, acho que devemos fazer vigilância e avaliar as indicações.</p> <p>4ª - Deveria estar fora do orçamento hospitalar. Tipo adendo</p> <p>5ª - Investir em monitoramento. Investir em manutenção da medicação.</p>
10/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. O medicamento comprovou seus benefícios baseados em evidências sólidas.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - As doenças raras continuarão sendo diagnosticadas e é necessário que o Estado brasileiro promova a inclusão orçamentária em todas as fases de cuidados.</p> <p>5ª - Não</p>
10/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Tratamento eficaz para pacientes portadores de HPN.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
10/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Único tratamento para pacientes portadores de hpn, capaz de alterar sobrevida e morbidade</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
12/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Droga fundamental no tratamento de pacientes com HPN</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
12/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Medicamento que modificou a história natural de pacientes com HPN, com melhora na sobrevida devido à redução de eventos trombóticos.</p> <p>2ª - Impacto em sobrevida.</p> <p>3ª - O medicamento é de alto custo.</p> <p>4ª - Doença rara, mas que necessita de medicação de alto custo para ter melhor sobrevida. As demais alternativas resultam em maior custo com transfusão, tratamento de infecções e eventos trombóticos que podem levar pacientes em idade economicamente ativa ao óbito.</p> <p>5ª - Não</p>
12/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Droga importante no tratamento da doença</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Dou médica e acompanho a dificuldade dos pacientes quando apresentam diagnóstico de doença rara e ainda depois não conseguem acesso ao tratamento</p>

<b>Dt. contrib.</b>	<b>Contribuiu como</b>	<b>Descrição da contribuição</b>
12/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Os pacientes do SUS com HPN doença rara se beneficiam do tratamento desta enfermidade com Eculizumab 2ª - Reduz riscos de complicações tromboembolicas. 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Não existe outro medicamento para a doença 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/07/2021	Sociedade médica	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. "A Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN) é doença clonal muito rara, com apresentação clínica bastante heterogênea, variando de casos com sintomas brandos, passíveis de serem manejados clinicamente com os recursos já disponíveis no SUS, a casos gravíssimos, que apresentam anemia muito grave, com necessidade transfusional frequente, lesões de órgãos-alvo e eventos trombóticos ameaçadores da vida. No contexto da HPN grave, foi desenvolvida, há mais de uma década, a medicação Eculizumabe, um inibidor seletivo da fração C5 do complemento, que possui elevadas taxas de resposta em relação à melhora da anemia, redução da incidência de eventos tromboembólicos, melhora e estabilização da função renal e dos níveis de pressão da artéria pulmonar. Ainda que se trate de doença rara, o uso do eculizumabe em todo o mundo por mais de uma década forneceu dados sólidos na literatura acerca de sua eficácia, tolerabilidade e segurança, que podem ser observados em numerosas publicações científicas. , Embora o eculizumabe possua robustos dados técnicos na literatura que substanciem seu benefício na HPN, a principal limitação ao acesso à medicação é seu elevado custo, revelando-se a medicação de maior custo entre aquelas atendidas por demandas judiciais no Ministério da Saúde. Diante do contexto limitado de verbas disponíveis ao SUS, a indicação indiscriminada da droga poderia trazer graves consequências ao orçamento público, inviabilizando a adoção de outras políticas públicas tão caras em um país de escassos recursos., ¶, Por este motivo, a ABHH apoia a decisão da CONITEC de manter um protocolo clínico e diretriz terapêutica (PCDT) com indicações bem definidas que visam a beneficiar de forma ampla e abrangente os indivíduos com HPN que possuam critérios de gravidade, conforme definido pelo PCDT proposto pela CONITEC. , No entanto, acreditamos que alguns critérios de interrupção de tratamento poderiam ser flexibilizados, com base nos melhores dados da literatura. Critérios de interrupção demasiado rígidos poderiam levar à interrupção do tratamento em pacientes que possuem doença com critérios de gravidade, culminando com o agravamento da situação e o desenvolvimento de complicações potencialmente catastróficas. , A ABHH sugere a exclusão dos seguintes critérios de interrupção de tratamento (modificações realizadas apenas no item 1, pág.12, do PCDT):, 1. Ausência do benefício clínico associado ao tratamento, evidenciado por pelo menos um dos seguintes: a) Necessidade de transfusão nos primeiros seis meses após a primeira dose do medicamento; b) Necessidade de mais do que três transfusões em um ano (28); c) Hemólise, evidenciada por LDH &gt; 1,5 vezes o limite superior de referência 3 meses a partir da primeira dose do medicamento; ou; d) Ocorrência de evento tromboembólico 3 meses a partir da primeira dose do medicamento., As evidências da literatura sugerem que a redução da necessidade transfusional seja critério mais acurado para definição da resposta do que a ocorrência isolada de algum episódio de necessidade transfusional. Ressalta-se que pode haver queda dos níveis de hemoglobina por aumento da hemólise desencadeado por motivos pontuais e transitórios, como infecção, por exemplo, sem que isto configure falha terapêutica ao Eculizumabe. De forma semelhante, a ocorrência de evento tromboembólico pode-se dar por inúmeros motivos não associados à HPN, não configurando, portanto, falha terapêutica; ressalta-se ainda que, nestes casos, a interrupção do Eculizumabe poderia culminar com maior aumento do risco tromboembólico, expondo o paciente a riscos potencialmente fatais., ¶Realizados estes ajustes pontuais no PCDT, a ABHH parabeniza a CONITEC pela decisão da não exclusão da medicação no arsenal de terapêuticas disponíveis no SUS. Acreditamos que a prescrição da medicação em serviços de referência próximos à residência dos pacientes e mediante critérios técnicos bem definidos contribui para a indicação racional e seletiva do eculizumabe para este subgrupo "</p> <p>2ª - "A Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN) é doença clonal muito rara, com apresentação clínica bastante heterogênea, variando de casos com sintomas brandos, passíveis de serem manejados clinicamente com os recursos já disponíveis no SUS, a casos gravíssimos, que apresentam anemia muito grave, com necessidade transfusional frequente, lesões de órgãos-alvo e eventos trombóticos ameaçadores da vida. No contexto da HPN grave, foi desenvolvida, há mais de uma década, a medicação Eculizumabe, um inibidor seletivo da fração C5 do complemento, que possui elevadas taxas de resposta em relação à melhora da</p>

anemia, redução da incidência de eventos tromboembólicos, melhora e estabilização da função renal e dos níveis de pressão da artéria pulmonar. Ainda que se trate de doença rara, o uso do eculizumabe em todo o mundo por mais de uma década forneceu dados sólidos na literatura acerca de sua eficácia, tolerabilidade e segurança, que podem ser observados em numerosas publicações científicas. , Embora o eculizumabe possua robustos dados técnicos na literatura que substanciem seu benefício na HPN, a principal limitação ao acesso à medicação é seu elevado custo, revelando-se a medicação de maior custo entre aquelas atendidas por demandas judiciais no Ministério da Saúde. Diante do contexto limitado de verbas disponíveis ao SUS, a indicação indiscriminada da droga poderia trazer graves consequências ao orçamento público, inviabilizando a adoção de outras políticas públicas tão caras em um país de escassos recursos., ¶, Por este motivo, a ABHH apoia a decisão da CONITEC de manter um protocolo clínico e diretriz terapêutica (PCDT) com indicações bem definidas que visam a beneficiar de forma ampla e abrangente os indivíduos com HPN que possuam critérios de gravidade, conforme definido pelo PCDT proposto pela CONITEC. , No entanto, acreditamos que alguns critérios de interrupção de tratamento poderiam ser flexibilizados, com base nos melhores dados da literatura. Critérios de interrupção demasiado rígidos poderiam levar à interrupção do tratamento em pacientes que possuem doença com critérios de gravidade, culminando com o agravamento da situação e o desenvolvimento de complicações potencialmente catastróficas. , A ABHH sugere a exclusão dos seguintes critérios de interrupção de tratamento (modificações realizadas apenas no item 1, pág.12, do PCDT):, 1. Ausência do benefício clínico associado ao tratamento, evidenciado por pelo menos um dos seguintes: a) Necessidade de transfusão nos primeiros seis meses após a primeira dose do medicamento; b) Necessidade de mais do que três transfusões em um ano (28); c) Hemólise, evidenciada por LDH > 1,5 vezes o limite superior de referência 3 meses a partir da primeira dose do medicamento; ou; d) Ocorrência de evento tromboembólico 3 meses a partir da primeira dose do medicamento., As evidências da literatura sugerem que a redução da necessidade transfusional seja critério mais acurado para definição da resposta do que a ocorrência isolada de algum episódio de necessidade transfusional. Ressalta-se que pode haver queda dos níveis de hemoglobina por aumento da hemólise desencadeado por motivos pontuais e transitórios, como infecção, por exemplo, sem que isto configure falha terapêutica ao Eculizumabe. De forma semelhante, a ocorrência de evento tromboembólico pode-se dar por inúmeros motivos não associados à HPN, não configurando, portanto, falha terapêutica; ressalta-se ainda que, nestes casos, a interrupção do Eculizumabe poderia culminar com maior aumento do risco tromboembólico, expondo o paciente a riscos potencialmente fatais., ¶Realizados estes ajustes pontuais no PCDT, a ABHH parabeniza a CONITEC pela decisão da não exclusão da medicação no arsenal de terapêuticas disponíveis no SUS. Acreditamos que a prescrição da medicação em serviços de referência próximos à residência dos pacientes e mediante critérios técnicos bem definidos contribui para a indicação racional e seletiva do eculizumabe para este subgrupo "

3ª - Não

4ª - Não

5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Não existe outro medicamento para a doença. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Muitos dependem da medicação 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. A HPN é uma doença de grande morbidade e que pode levar a morte 2ª - O uso do eculizumabe controla a doença evitando sua progressão , 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/07/2021	Paciente	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
13/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. SOLIRIS E ESSENCIAL PRA MANTER A VIDA DAS PESSOAS QUE TEN DOENCA HPN PORTANTO NAO DEVE SER EXCLUIDO DO SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Deve permanecer no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
13/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Francamente. Trata se uma vida.Qto vale uma vida.A resposta está na sua consciência. Coloque se no lugar do proximo.E se fosse seu pai..mae..ou filho.?Vamos agir como seres humanos.Vidas serão perdidas.Quanto dinheiro vai para corrupção.NÃO EM HIPÓTESE ALGUMA DEVEVSER EXCLUIDO DO SUS</p> <p>2ª - TALVEZ</p> <p>3ª - DE ALGUMA FORMA SIM</p> <p>4ª - Sim</p> <p>5ª - CAMPANHA EM RADIO E REDE SOCIAL ALERTANDO.</p>
13/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. É a única medicação para a doença</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
13/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Além de ter uma conhecida que faz uso da medicação, sou enfermeira e tenho a consciência da importância do tratamento e a das barreiras sobre a aquisição de uma medicação de alto custo.</p> <p>2ª - - Importância desta medicação no tratamento. , - constituição do SUS: Direito pelo tratamento.</p> <p>3ª - - Medicação de alto custo. Se for avaliar o investimento, os pacientes não conseguem fazer uso. Como já explícito na resposta anterior: o paciente tem direito ao tratamento. Está na constituição do SUS: equidade, integralidade e universalidade.</p> <p>4ª - Acredito que seja um impacto além de orçamentário e sim social. É inviável!</p> <p>5ª - Acredito que é necessário se basear nos direitos do SUS e em humanização.</p>
13/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Não existe outro medicamento para a doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não existe outro medicamento para a doença.
13/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Muitas pessoas precisam usar este medicamento 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/07/2021	Interessado no tema	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Pois é de extrema relevância para dar qualidade de vida aos pacientes que necessitam do medicamento. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
14/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Vai trazer prejuízo aos pacientes 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
14/07/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
15/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Existe evidências de melhoras em pacientes que utilizam</p> <p>2ª - Nao</p> <p>3ª - Nao</p> <p>4ª - Nao</p> <p>5ª - Só registra minha opinião favorável ao Sus fornecer o medicamento</p>
15/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. É necessário manter o medicamento Eculizumabe no SUS com indicação para HPN visto a estabilização do quadro clínico dos pacientes, tais como: estabiliza o processo hemolítico crônico, mantém os níveis de hemoglobina aceitáveis sem a necessidade de transfusão e reduz o risco das complicações em decorrência da hemólise intravascular crônica, redução de eventos trombóticos, melhora da função renal e hipertensão pulmonar e, mais importante, melhora na qualidade de vida e sobrevida.</p> <p>2ª - Contribuições em anexo.</p> <p>3ª - Entende-se que a recomendação da EXCLUSÃO do medicamento Eculizumabe ao SUS deve-se muito mais ao CUSTO que pode ser minimizado por meio de um planejamento estratégico entre gestor e fabricante do medicamento. É necessário esforços da gestão pública pela VIDA de centenas de brasileiros com HPN.</p> <p>4ª - -</p> <p>5ª - É fato que a exclusão do Eculizumabe para tratamento da HPN no SUS, colocará em risco a saúde de centenas de brasileiros com HPN e fortalecerá ainda mais a crescente demanda judicial como dispositivo legal no acesso ao direito à vida e à saúde.</p>
15/07/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Absurdo a exclusão. Isso não pode acontecer pois pessoas são importantes p os familiares. Essa médica salva vidas. Não Pode faltar.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
16/07/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Medicamento importante e único.</p> <p>2ª - Tenho conhecimento deste medicamento através de um amigo, sua filha é portadora de HPN e faz uso contínuo deste.</p> <p>3ª - Após início do tratamento, a paciente obteve expressiva melhora dos principais sintomas da doença, com diminuição do cansaço, maior disposição, não teve nenhum evento de trombose, voltou a ter uma VIDA normal e seus exames estão estáveis.</p> <p>4ª - Não foi observado nenhum resultado negativo.</p> <p>5ª - No uso nenhum, apenas em adquiri-lo.</p>
16/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
16/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
16/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser excluído do SUS. Ao invés de discutir a incorporação do eculizumabe, deveríamos discutir a incorporação do revulizumabe, que tem melhor conveniência de uso, menor custo com eficácia e toxicidade comparáveis ao eculizumabe, com meia-vida 4 vezes mais longa.</p> <p>2ª - Produto de altíssimo custo. Assim, o candidato a uso deve ser selecionado por equipe de hematologistas competentes e sem conflito de interesse com a indústria. Sua indicação deve ser estritamente para indivíduos com hemólise importante, transfusão-dependente e ou que já tiveram algum evento tromboembólico.</p> <p>3ª - A empresa deve reduzir o custo para uma compra centralizada pelo MS. O revulizumabe parece ser mais custo-efetivo de acordo com artigos internacionais.</p> <p>4ª - Pacientes devem ser rigidamente selecionados.</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
16/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - , O ECULIZUMAB é o unico tratamento disponível para doença HPN que não trouxe nenhum efeito colateral., A alternativa ao medicamento seria o transplante de medula, mas recomendação do médico é pela NÃO realização de transplantes de medula, já que a resposta do Eculizumab (Soliris) é muito boa. Hoje seus exames estão estáveis (doença não progrediu e hemograma estável), além de dizer que o Transplante de Medula Óssea -TMO é um procedimento de alto risco, já que, mesmo com uma pessoa compatível, existe o risco de rejeição. Ainda, após o TMO o paciente fica extremamente vulnerável e precisa de diversos tratamentos por anos, além de acompanhamento intenso para o resto da vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
16/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
16/07/2021	Sociedade médica	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Única médica disponível para essa patologia tão grave</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
16/07/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Medicamento com eficácia comprovada nos tratamentos</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
16/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
16/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. A hpn é uma doença gravíssima , rara. Não existe nenhum outro medicamento eficaz disponível no sus para o seu tratamento , que não seja o eculizumab . A mortalidade de doença , sem levar em consideração morbidades( graves ) é de 50% em 10 anos . Não pode haver negligência com essa população de doença rara , que acaba ficando marginalizada no sistema sanitário por falta de assistência adequada</p> <p>2ª - A quantidade e qualidade dos estudos apresentados ( phase 2, phase 3 randomizado prospectivo ) são mais que suficientes para embasar essa clara indicação mundial . Os países desenvolvidos já tem o produto aprovado em, Seu sistema sanitário há quase 10 anos</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Toda doença rara tem seu custo per capita muito elevado , é isso faz parte das doenças raras e deve ser incorporado no orçamento</p> <p>5ª - Nao</p>
16/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Essa medicação é muito eficiente para o tratamento dessa doença</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
17/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. , , Trata-se do único medicamento existente no mundo que traz resultados positivos no controle da doença, mas seu custo é extremamente elevado, impossibilitando de se manter o tratamento com recursos</p> <p>2ª - Nao</p> <p>3ª - Tenho conhecimento deste medicamento através de um amigo, sua filha é portadora de HPN e faz uso contínuo do mesmo.</p> <p>4ª - Após início do tratamento, a paciente obteve expressiva melhora dos principais sintomas da doença, com diminuição do cansaço, maior disposição, e voltou a ter uma vida normal.</p> <p>5ª - Não foi observado nenhum resultado negativo.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
17/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. A desnutrição hospitalar é uma convívio diário de trabalhadores de saúde dentro de um hospital. Diariamente, atendo pacientes com relato de perda de peso, inapetência ou anorexia. Além disso, pacientes internados por longos períodos por patologias com aumentado catabolismo tendem a tornarem-se ainda mais desnutridos ao longo da internação. Ao meu ver, negar aos pacientes com risco ou desnutridos a oferta de suplementação torna-se má prática. Como tratar a desnutrição e evitar as suas consequências em um pacientes com baixa aceitação alimentar se não por suplementos com oferta maior de calorias e proteínas por porção? Ao menos se houvesse um repasse de um valor justo para a produção de refeições de qualidade onde poderíamos melhorar os cardápios e ofertar uma refeição com mais qualidade nutricional e maior oferta de calorias e proteicas, mas nem isso é possível dentro do âmbito do SUS. Hoje, quem banca este custo são os próprios hospitais que decidem por não serem negligentes igual ao ministério da saúde neste momento. Se não houvesse essa preocupação mínima dos hospitais, garanto que os níveis de desnutrição hospitalar seriam ainda mais preocupantes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - O valor estipulado pela BRASPEN foi de 30,00. Mas acredito que mesmo valores inferiores a este já possam contribuir para incentivar o uso de suplementos orais nas instituições. No meu hospital, por exemplo, conseguimos uma cotação média de 10,00 a 15,00 por suplemento. O que levaria então a um orçamento 50% inferior ao previsto no relatório.</p> <p>4ª - Não.</p> <p>5ª - Não.</p>
18/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Eficácia comprovada em HPN</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Apesar do alto custo é uma medicação de escolha para HPN principalmente na não resposta à ciclosporina</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
18/07/2021	Paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Entendo que o medicamento deve permanecer no SUS, pois ele é fundamental para a manutenção da vida dos pacientes e para proporcionar qualidade/dignidade a eles. NÃO existe outro tratamento similar disponível no Brasil. O Soliris-Eculizumabe me proporciona há 11 anos uma vida praticamente normal. Quando descobri a doença, tranquei a faculdade, pois fui ficando cada vez mais fraco, acamado e perdi 20 quilos. Retomei os estudos após conseguir acesso ao tratamento com este medicamento, fiz mestrado, trabalho e agora farei meu doutorado. Sem o tratamento eu não teria conseguido fazer nada disso, pois a doença é gravíssima, incapacitante e sem tratamento, é fatal. Logo após a primeira aplicação do eculizumabe tive melhora significativa, sem efeitos colaterais. O benefício desta medicação não se compara, por exemplo, ao uso de corticoides, que aumentam o risco de trombose, catarata, entre outros. O custo benefício tende a ser superior inclusive ao do transplante de medula, pois o transplante pode ou não funcionar, sem contar os riscos do pós operatório.</p> <p>2ª - utilizo o Soliris-eculizumabe há 11 anos, nunca me senti mal ou tive efeitos colaterais. meu LDH (indicador de hemólise intravascular) era quase 10x o valor do controle, minha hemoglobina aproximadamente quase 1/3 do controle. imediatamente após o início do tratamento meu LDH retornou a valores similares ao controle, assim como minha hemoglobina também aumentou.</p> <p>3ª - O medicamento é caro, mas é inquestionável o custo-benefício. Cabe à união fortalecer relações com a empresa fabricante, para buscar comprá-lo por um custo menor. De toda forma, a empresa relata que o brasil é um dos países que paga mais barato pelo medicamento no mundo.</p> <p>4ª - Não, a união possui recursos para manter o tratamento de todos os pacientes.</p> <p>5ª - Cabe às autoridades acompanhar os estudos que ocorrem ao longo do mundo. Outras medicações estão em fase de teste, ou aprovados, como o Pegcetacoplan-Apellis e o Ultomiris-Ravulizumabe Os dois já foram aprovados pelo FDA (Food and Drug Administration- USA), e parecem fornecer melhor custo-benefício. , Segue link para estudo com o pegcatocoplan, publicado em 2021: <a href="https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2029073">https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2029073</a></p>
18/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Trata-se de único medicamento existente no mundo que traz resultados positivos no controle da doença, mas seu custo é extremamente elevado, impossível de manter este procedimento com recursos próprios.</p> <p>2ª - Nao</p> <p>3ª - Tenho conhecimento deste medicamento através de um amigo, sua filha é portadora de HPN e faz uso contínuo deste.</p> <p>4ª - Tenho conhecimento deste medicamento através de um amigo, sua filha é portadora de HPN e faz uso contínuo deste. uma VIDA normal.</p> <p>5ª - Não foi observado nenhum resultado negativo.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
18/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Não deve ser excluído, pois os benefícios são flagrantes, evitando-se as transfusões de sangue que carregam outras doenças e o transplante de medula óssea que nunca se tem certeza de que dará certo e ainda a dificuldade de encontrar um doador compatível. O eculizumab garante estabilidade ao paciente e uma boa qualidade de vida.</p> <p>2ª - As evidências e trabalhos técnicos apontam os benefícios que o medicamento trás, sem efeitos colateriais. Junto resumo dos trabalhos técnicos e os links para conferência.</p> <p>3ª - O valor econômico não deve ser o fator para avaliação do medicamento e sim os benefícios que proporciona.</p> <p>4ª - Não é relevante, os benefícios é que devem ser avaliados.</p> <p>5ª - Não</p>
18/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Essencial para hemoglobinuria paroxística noturna</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Apesar do alto custo do medicamento , tem benefício para a a doença já comprovado em estudos</p> <p>5ª - Não</p>
18/07/2021	Paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. O eculizumabe não pode ser excluído do SUS porque muitos pacientes dependem dessa medicação para sobreviver, e exclusão resultara na pausa do tratamento da HPN é isso poderá causar a morte de muitos pacientes que não teriam condições de comprar pois e uma medicação de auto custo!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
18/07/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
18/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. O anticorpo anticomplemento- eculizumab- é essencial para evitar morte e disfunção de múltiplos órgãos em pacientes com HPN., Trabalho com um ambulatório específico para pacientes com essa doença rara- HPN- há anos. Acompanho de perto as graves complicações nesses pacientes que aguardam o eculizumab ou que têm essa droga descontinuada por interrupção do fornecimento pelo MS. , Observo hemólises maciças, trombozes venosas, insuficiência renal dialítica e inclusive óbito, sendo o último por AVCI em paciente de 46 anos., É injusto retirar desses pacientes, os quais são vitimados inocentemente por essa enfermidade rara, a chance de viver, isto é, de ter o mesmo tempo de vida que a população em geral pareada por idade e sexo. , Caso não tratados, 35% irão à óbito em 5 anos e 70% em 10 anos. Sabendo que a idade média do diagnóstico fica em torno dos 35-45 anos, essa taxa de mortalidade é praticamente um atestado de óbito para a maioria dos pacientes em plena idade produtiva e reprodutiva., A introdução do tratamento eculizumab trouxe uma mudança na qualidade de vida dessas pessoas., Sabendo que a saúde é um direito de todos, tendo consciência de que os pacientes não têm culpa em desenvolver essa doença rara, é 100% errôneo retirar o acesso da terapia anti complemento de pacientes com HPN. , Mais de 80% da população brasileira não tem convênio de saúde, residindo portanto, a total dependência do tratamento pelo SUS., O que é necessário, ao invés de retirar um direito constitucional à saúde desses enfermos, é uma política de saúde nacional baseada em planejamento do custeio desse tratamento através de estudos epidemiológicos de incidência e prevalência da doença na população brasileira. Essa estimativa possibilita planejar e destinar recursos para compra de Eculizumabe para manter o tratamento dos pacientes já em uso e doses extras para casos novos que possam surgir a cada ano. , Até a presente data, o tratamento curativo existente- TMO alo- está associado a maior taxa de mortalidade e complicações a longo prazo. Os pacientes com forma hemolítica, complicam com trombose hepática no trans TMO. Além de que apenas 1/4 ou menos terão disponível um doador compatível., A incorporação do eculizumab para HPN no SUS representou um avanço em incorporação de tecnologias em saúde para doenças raras e a retirada propiciará um retrocesso e mostrará a incapacidade do MS em conduzir um plano de ação adequado em política de saúde para doenças órfãs.,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - HPN é uma doença ultra rara. , Existe ainda por cima uma dificuldade no diagnóstico que faz com que muitos pacientes nem cheguem a um centro especializado. , Há outras patologias mais comuns que , com drogas não tão caras, tenham impacto orçamental maior pelo N de pacientes., A judicialização do processo encarece a aquisição do eculizumab, visto que a compra ocorre fracionada. Bem como, traz o custo da própria judicialização para o paciente e o Estado., Por fim, quem há de quantificar o valor de uma vida. Apenas uma vida, quanto custa? Nossa vida quanto custa? Sua vida quanto custa? Isso também faz parte da avaliação econômica. Quanto vale o direito individual à vida? Caso o preço de uma vida seja menor do que o valor do tratamento, pensando que pode ser inclusive o seu ou o meu, a retirada do eculizumab seria justificável. APENAS e somente nessa situação.</p> <p>4ª - Vide acima., Chega a ser irônico falar em impacto orçamentário num país e num momento político em que vemos que a vida/morte da nossa população é objeto de ganho financeiro individual de pessoas nomeadas para gerir tal orçamento., Portanto, há orçamento, só que no bolso ou na conta errada., Vida não visa lucro de órgãos, ou representante deles, responsáveis por cuidá-las., Sem corrupção ou gasto torpe e fútil do dinheiro público haveria orçamento suficiente pra saúde , educação e segurança.,</p> <p>5ª - Bom senso ao avaliar tamanho retrocesso proposto para saúde pública.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
18/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Esse tratamento e essencial aos pacientes com HPN, tendo grande relevância no aumento da sobrevida</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Diminuir investimento do fundão eleitoral para investir na saúde</p> <p>4ª - Diminuir investimento do fundão eleitoral para investir na saúde</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Pessoas irão morrer por causa dessa decisão! Um absurdo!</p> <p>2ª - Nenhuma</p> <p>3ª - Nenhuma</p> <p>4ª - Nenhum</p> <p>5ª - Apenas não retirem esse medicamento. Pessoas vão morrer.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Atualmente Não existe outro tratamento tão eficaz quanto esse no tratamento do HPN.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Eu acho que não deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Grande melhora com o uso do medicamento, voltando à vida normal, sem cansaço, e demais sintomas.</p> <p>3ª - Custo muito elevado.</p> <p>4ª - Quanto ao Impacto orçamentário é negativo</p> <p>5ª - A resposta ao medicamento é excelente, sem efeitos colaterais</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Unico medicamento disponível para esta patologia</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Perante a situação econômica do país fica inviável o uso</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - - transplante de medula óssea - é o único tratamento curativo, que além das dificuldades de localizar um doador compatível, precisará de tratamentos durante muitos anos, se não gerar a morte, se não houver compatibilidade ou até que “a medula pegue”; o número de mortes é muito elevado após o transplante, no prazo de 5 anos;; - corticoides, hormônios - não trazem efeitos, precisam de muitos medicamentos associados e os efeitos colaterais são enormes, não permitindo que o paciente tenha uma vida regular;; - transfusão de sangue – tem que ser regulares, muito frequentes, e os bancos de sangue nem sempre tem estoque suficiente e devem ser associadas a ácido fólico;; - imunossupressores (globulina antilinfocitária e ciplosporina) – efeitos colaterais perversos que não permitem uma vida regular do paciente e não são substitutivos do ECULIZUMAB;; O que se vê é que o ECULIZUMAB é um excelente tratamento para HPN, garantido qualidade de vida aos pacientes:; - cessou a fadiga, que impedia o trabalho e atividades corriqueiras, permitindo uma vida normal;; - cessou os eventos trombóticos;; - os exames de sangue mostram-se normais e, - o medicamento não tem efeitos adversos.; Assim, se puderem relatar e contribuir para que não ocorra a exclusão do medicamento, agradeço.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
19/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Paciente precisa medicação</p> <p>2ª - Nao3</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Sou contribuinte impostos de rendas</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. As pessoas que não tem condições de comprar, serão as mais prejudicadas com essa exclusão</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Dentro do âmbito do SUS temos pacientes que se beneficiam com o tratamento e com isso tem condição de vida normal</p> <p>2ª - As evidências são a maior prova da eficácia do tratamento em prol da vida</p> <p>3ª - Qto vale uma vida?</p> <p>4ª - A importância da manutenção é mais relevante apesar do alto custo porém como é doença rara seu tratamento deve ser garantido pelo SUS</p> <p>5ª - Mantenha a medicação</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Tratamento de significativo impacto na condução de pacientes portadores de HPN</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Droga importante no tratamento do paciente com HPN, quando bem indicada.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
19/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Medicacao beneficia muitos pacientes. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
19/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
19/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Medicamento fundamental para HPN, sem similar no mercado. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
19/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Acho útil para os pacientes, não deveria ser excluído 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
19/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Trata-se da única droga capaz de tratar com eficácia a Hemoglobinúria Paroxística Noturna</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Existem cerca de 500 pessoas com esse diagnóstico no Brasil. Apesar, portanto, do alto custo da medicação, o pequeno número de pacientes versus eficácia justifica totalmente sua implementação pelo SUS.</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Para portadores de hemoglobinúria paroxística noturna é a melhor opção quando não se tem um doador de medula. Os riscos de um transplante nestes pacientes é muito grande.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
19/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
19/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Eculizumabe é o tratamento standard para hemoglobinuria paroxística noturna. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
19/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
19/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Muitas vidas depende desse medicamento...Mas como a maioria o custo é alto e n conseguiria arcar com o valor...Este Medicamento salva vidad 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
19/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Medicacao prioritária de alto custo para pacientes que não tem condições de adquirir e dependem dele para sobreviver. 2ª - Nao 3ª - Nao 4ª - Nao 5ª - Nao

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
19/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Sus deve atender e ajudar as pessoas que precisam de certos medicamentos especiais.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Pacientes com hemoglobinúria paroxística não podem ficar sem este tratamento</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Favor tirar do orçamento das campanhas eleitorais. Um absurdo isso.</p> <p>5ª - Não</p>
19/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Eculizumab ainda é a única opção medicamentosa disponível no Brasil para HPN</p> <p>2ª - Tenho 3 pacientes em acompanhamento, com boa resposta</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
20/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Único tratamento aprovado eficaz para HPN que pode ser muito grave inclusive com risco de óbito</p> <p>2ª - Medicamento que age no tratamento da hemólise /hemoglobinuria presente no HPN melhorando a qualidade de vida do paciente</p> <p>3ª - A falta do medicamento impactará em mais internações,transfusões sanguíneas,uso de outros medicamentos e na qualidade de vida do cidadão portador de HPN que deixa de ser produtivo para a sociedade.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Como médica que trata HPN , não vejo alternativas no momento para esses pacientes..</p>
20/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
20/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
20/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Medicamento de escolha para tratamento de HPN. Outra opção seria o TMO que não é factível para todos os pacientes e com alta mortalidade</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
20/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. A hemoglobinúria paroxística noturna, forma clássica, não tem tratamento alternativo coberto pelo SUS e é doença rara e grave, acometendo pacientes jovens, com grande impacto de morbimortalidade.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
20/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. UNICO TRATAMENTO DISPONIVEL PARA HPN</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
20/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. O medicamento proposto é a única opção de tratamento aos pacientes com HPN.</p> <p>2ª - Não.</p> <p>3ª - Não.</p> <p>4ª - Não.</p> <p>5ª - Não.</p>
20/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Essencial para pacientes com anemia falciforme</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
20/07/2021	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. A Alexion Pharma Brasil manifesta sua concordância com a recomendação preliminar não favorável à exclusão de eculizumabe (Soliris®) para tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna (HPN). Em que pese a concordância, a Alexion Pharma Brasil apresenta: (1) dados técnico-científicos relativos à certeza da evidência, bem como em relação à sobrevida dos pacientes, que contrapõem o posicionamento do Relatório Técnico; e (2) dados econômicos que demonstram incorreções nos cálculos utilizados pelo Relatório Técnico e concluem por um impacto orçamentário menor do que o previsto pelo Relatório Técnico. , , A aprovação para comercialização de Soliris® (eculizumabe) para o tratamento de HPN pela ANVISA em 20171, sua posterior recomendação positiva em 2018 para incorporação e dispensação através do SUS2 e a determinação de um Protocolo Clínico e Diretriz Terapêutica (PCDT) em 20193, estes últimos validados através de consulta pública com mais de 3000 contribuições, demonstram, em última análise, o claro entendimento dos órgãos regulatórios e sociedade civil sobre o valor de eculizumabe no tratamento dos pacientes com HPN e da concordância do governo brasileiro em prover acesso ao tratamento para pacientes que sofrem dessa doença rara. , , Estamos confiantes no comprometimento dos membros do Plenário em considerar o impacto positivo na vida dos pacientes com HPN já muito bem estabelecido de eculizumabe ao revisarem as condicionantes de incorporação anteriormente descritas no PCDT para oferta do eculizumabe pelo SUS. , , Referências:, 1. Bula do Profissional de Saúde. Bulário Eletrônico. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Disponível em: <a href="https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=soliris">https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=soliris</a> , 2. Diário Oficial da União - Seção 1. Nº 241, 17 de dezembro de 2018 Disponível em: <a href="http://pesquisa.in.gov.br/imprensa/jsp/visualiza/index.jsp?data=17/12/2018&amp;jornal=515&amp;pagina=76.">http://pesquisa.in.gov.br/imprensa/jsp/visualiza/index.jsp?data=17/12/2018&amp;jornal=515&amp;pagina=76.</a> , 3. Diário Oficial da União - Seção 1. Nº 266, 22 de novembro de 2019 Disponível em: <a href="https://pesquisa.in.gov.br/imprensa/jsp/visualiza/index.jsp?data=22/11/2019&amp;jornal=515&amp;pagina=153">https://pesquisa.in.gov.br/imprensa/jsp/visualiza/index.jsp?data=22/11/2019&amp;jornal=515&amp;pagina=153</a>,</p> <p>2ª - O Relatório Técnico que embasa esta Consulta Pública traz uma atualização das evidências clínicas acerca da eficácia e segurança de eculizumabe (Soliris®) para o tratamento dos pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) e, frente ao indubitável benefício que eculizumabe proporciona, delibera “por maioria simples, que a matéria fosse disponibilizada em consulta pública com recomendação preliminar não favorável à exclusão do eculizumabe para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna.” , , Contudo, o Relatório Técnico carece de: (1) considerar como principal desfecho o impacto do eculizumabe na sobrevida geral dos pacientes tratados; e (2) levar em consideração que se trata de doença rara e, conseqüentemente, a Alexion traz contraposições às argumentações quanto à qualidade das evidências ao relembrar as particularidades a serem consideradas ao se analisar dados em doenças raras. , , Impacto sobre a sobrevida: , , O Relatório Técnico não reflete o principal ponto de benefício do tratamento dos pacientes de HPN com eculizumabe que é a sobrevida. Portanto, parece razoável que esse ponto seja objeto de avaliação no âmbito do processo de inclusão do medicamento no SUS. , , A sobrevida dos pacientes de HPN em tratamento com eculizumabe é comparável àquela de uma população normal pareada por idade e sexo (96% de sobrevida em 8 anos)1. Além disso, um estudo recente com pacientes da casuística francesa também comprovou o ganho de sobrevida de pacientes em tratamento com eculizumabe (Soliris®) em 6 anos (92% de sobrevida) em comparação com controles recentes (80%) e históricos (58%)2. , , Conclui-se qu\le eculizumabe (Soliris®) reduz as complicações inerentes à HPN, melhorando a sobrevida e o prognóstico dessa doença e contribuindo para manter a qualidade de vida desses pacientes3. , , Qualidade das evidências: , , Primeiramente e antes de mais nada, é imperioso asseverar que não se pode analisar simplesmente sob a ótica exclusiva da ciência estatística a qualidade de evidências científicas publicadas nas mais altas e renomadas publicações científicas mundiais, sob pena não só de incorrer em injustiças científicas, mas também de incorrer em erro. Isso também porque não há métodos especialmente definidos para o delineamento, a realização ou a análise de estudos clínicos envolvendo pequenas populações de pacientes, o que é exatamente o caso de doenças raras. Para tanto, certas abordagens aumentam a eficiência dos estudos</p>

realizados nesta seara, afinal de contas: a necessidade de eficiência estatística deve ser contrabalançada à necessidade de obter resultados clinicamente relevantes e passíveis de interpretação, sendo este último atributo o mais importante<sup>4</sup>. , , No universo de doenças raras, no qual há uma escassez de informações justamente em razão dos reduzidos números de ocorrências, os chamados “Estudos de Registro” fornecem evidências valiosas de história natural e de resultados a longo prazo como a mortalidade em um cenário do mundo real<sup>5</sup>. , , O Registro Internacional de HPN é o maior estudo observacional do mundo de pacientes com HPN, iniciado para otimizar o atendimento ao paciente por meio da coleta de dados sobre a carga da doença, progressão e resultados clínicos. De acordo com publicação de 2020, 4.948 pacientes estavam inscritos no Registro até a data de corte<sup>6</sup>. Análises retrospectivas de dados deste Registro de 2.356 pacientes com HPN demonstraram que o tratamento com ecuzumabe (Soliris<sup>®</sup>?) estava associado, de forma significativa, com um melhor prognóstico ( $p=0,05$ )<sup>7</sup>. , , Após análise detida de todos esses dados, conclui-se que a afirmação incluída no Relatório Técnico de que “a certeza da evidência para ecuzumabe é baixa a muito baixa devido às limitações no desenho dos estudos e imprecisões em algumas estimativas de efeito” é equivocada em todos os seus sentidos. , , A contribuição na íntegra, com as informações detalhadas e respectivas referências, encontra-se

3ª - A Avaliação Econômica está comentada no documento anexo juntamente à contribuição referente ao Impacto Orçamentário

4ª - A Alexion Pharma Brasil manifesta sua discordância de uma série de premissas utilizadas na avaliação econômica e de impactos orçamentário constantes do Relatório Técnico. Existem equívocos em relação aos números da população brasileira de acordo com as estatísticas do IBGE e, conseqüentemente, impactos na população elegível a tratamento com o ecuzumabe para a HPN; equívocos em relação do preço do medicamento ecuzumabe registrado ante a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED), bem como aos seus reajustes anuais. No documento anexo serão ressaltados e elaborados pontos críticos, incluindo aqueles referentes ao Impacto Orçamentário

5ª - "A Alexion Pharma Brasil manifesta sua concordância com a recomendação preliminar não favorável à exclusão de ecuzumabe (Soliris<sup>®</sup>) para tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) e traz como conclusão e solicitação os seguintes comentários: , , 1)É correta a recomendação preliminar não favorável à exclusão de ecuzumabe para tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) do SUS., , 2)O impacto positivo do tratamento com ecuzumabe na sobrevivência dos pacientes com HPN deve ser considerado como o desfecho clínico mais importante., , 3)Existe certeza da qualidade dos dados e estudos clínicos de ecuzumabe, especialmente quando se leva em consideração os estudos para seu desenvolvimento clínico, os estudos subsequentes e ademais o Registro Internacional de HPN (NCT01374360)., , 4)O impacto orçamentário calculado pelo Relatório Técnico é superestimado em 77,8% considerando o cenário (1) ou 37,5% considerando o cenário (3), por uma série de fatores: considerar como elegíveis pacientes não-elegíveis ao tratamento; considerar cumulativamente a incidência e a prevalência de novos pacientes de um ano para o seguinte ano; desconsiderar taxas comprovadas de abandonos de tratamentos (4,7%); desconsiderar os custos da doença não tratada; dentre outros. , , Diante de todo o exposto acima e, considerando o conteúdo do Relatório Técnico, requer aos membros do plenário da CONITEC que aprovem unanimemente o parecer com a recomendação da manutenção do medicamento ecuzumabe para o tratamento da HPN, bem como ratifiquem no parecer final a deliberação havida nas discussões iniciais de retirada das condicionantes número 2 e 7 da Portaria nº 77, de 14 de dezembro de 2018, relativas ao “atendimento e tratamento restritos a hospitais que integrem a Rede Nacional de Pesquisa Clínica” e “negociação para redução significativa de preço”, respectivamente. , "

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
20/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Uma vida é uma vida. Não existe outro medicamento capaz de dar qualidade de vida aos pacientes de HPN, que não seja o próprio Eculizumab.</p> <p>2ª - Os pacientes que estão em tratamento diminuem drasticamente internações, tendo uma boa qualidade de vida, além disso conseguem contribuir para a sociedade.</p> <p>3ª - Os pacientes que não têm acesso ao Eculizumab e possuem um diagnóstico fechado de HPN, possuem alto gasto com internações, transfusões, medicações coadjuvantes. Além disso correm um risco 6 vezes maior de ter uma trombose em um lugar atípico, após os primeiros sintomas, que pode causar grandes consequências ao paciente, depende do local que a trombose ocorre., , Caso o paciente não tenha acesso a medicação, o paciente se torna dependente de transfusões e internações, o que o torna improdutivo que muitas vezes precisam de cuidados familiares uma vez que não possuem o tratamento com o Eculizumab.</p> <p>4ª - Quanto vale uma vida? , , O gasto com medicação que tenha uma efetividade comprovada diminuindo risco a saúde de um paciente, não deveria ser maldito esforços.</p> <p>5ª - Nenhuma vida é mais importante que outra vida!. Diagnóstico precoce e tratamento adequado minimizar risco de morte em pacientes de doenças raras., , Você deve se colocar no lugar do próximo para tomar qualquer decisão impactando na vida das pessoas.</p>
20/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. o uso deveria seguir um protocolo rígido porém para os pacientes, com indicação, é uma normalização na qualidade de vida e produtividade profissional., O TMO tem maior mortalidade.</p> <p>2ª - As evidências já estão bem descritas.</p> <p>3ª - É um medicamento de alto custo, que poderá posteriormente ter seu valor negociado, mas com resposta terapêutica excelente quando bem indicado. O TMO alógeno, que poderia substituir o tratamento com eculizumab é de alto custo também porque após o alo TMO, os pacientes apresentam na sua maioria a doença do enxerto verso hospedeiro o que impacta em má qualidade de vida ao paciente, tratamentos específicos, reinternações e constantes retornos para acompanhamento.</p> <p>4ª - o MS deveria negociar uma diminuição de seu valor do medicamento, caso seja mantida a recomendação inicial favorável à permanência do medicamento.</p> <p>5ª - não</p>
20/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Tratamento eficaz para portadores de HPN</p> <p>2ª - Os pacientes tratados com o Eculizumab tem melhorada qualidade de vida, aumento da sobrevida e redução das complicações da doença.</p> <p>3ª - Apesar do alto custo da medicação, o uso da mesma reduz a necessidade transfusional assim como reduz interações por complicações da doença assim como eventos tromboticos e reduz risco de óbito.</p> <p>4ª - Devido se tratar de doença muito rara creio válido o custo benefício para o paciente</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
21/07/2021	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. A Abrale – Associação Brasileira de Linfoma e Leucemia, entidade sem fins lucrativos, com representação em todo território nacional, inscrita no CNPJ/MF sob o nº. 05.404.321/0001-75, sediada na Rua Dr. Fernandes Coelho, 64, 13º andar, Pinheiros, CEP 05423-040, São Paulo – SP, telefone (11) 3149- 5190, instituída com a finalidade de informar e oferecer suporte aos pacientes de doenças onco-hematológicas, neste ato representada por sua Presidente, MERULA EMMANOEL ANARGYROU STEAGALL, cumprimentando-os cordialmente, serve-se do presente para manifestar-se contrária a decisão de desincorporação do Eculizumabe para tratamento de pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). , , A HPN é uma doença rara, com incidência anual estimada de 1,3 novos casos por um milhão de indivíduos. Há pouca informação epidemiológica sobre esta doença, não apenas por sua raridade, mas também pela dificuldade de seu diagnóstico. Os principais sintomas da Hemoglobinúria Paroxística Noturna são: Anemia, Fadiga extrema, Escurecimento da urina pela manhã e Falha renal. , , O tratamento da HPN é principalmente sintomático, com o uso de estratégias farmacológicas e não farmacológicas. Essas intervenções objetivam, principalmente, reduzir a hemólise intravascular, tratar e prevenir episódios tromboembólicos e outras complicações associadas. Com poucas opções terapêuticas, a desincorporação e/ou restrição do Eculizumabe ameaça a vida de milhares de pacientes com HPN, sendo este, o principal tratamento farmacológico preconizado pelo Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da doença. , , Preocupada com a sustentabilidade do SUS e garantia do acesso ao tratamento para HPN, a Abrale procurou o laboratório Alexion, o fabricante do medicamento Soliris®. Respeitando o código ética e compliance da Abrale, conversamos com área responsável pelo relacionamento com Associações de Pacientes. Em reunião, a Alexion afirmou estar aberta e disposta a continuar as negociações com o Ministério da Saúde. , , Neste cenário, a Abrale reafirma seu compromisso com os pacientes e com a sustentabilidade do SUS, nenhuma margem de lucro deve estar acima da vida de nossos pacientes. Cordialmente, solicitamos ao Ministério da Saúde e suas respectivas Secretarias, a retomada das negociações com a Alexion. , , A Abrale também manifesta sua preocupação e descontentamento em relação chamada pública 37/2021, realizado pela CONITEC para ouvir usuários do SUS sobre a exclusão do Eculizumabe para o tratamento de pacientes com HPN. A notícia foi publicada na terça-feira, 25 de maio de 2021, às 13h35. Com apenas 933 acessos, as inscrições para chamada pública se encerram na quinta-feira, 27 de maio de 2021. Desta forma, os pacientes e as organizações sociais tiveram menos de 3 dias para participar. , , Para a Abrale e os pacientes com HPN, a chamada pública não deveria ser feita em caráter de urgência. Discutir sobre a vida de pacientes com uma doença exige um debate amplo, aprofundado, participativo e transparente., , Considerando os relatos e casos de pacientes diagnosticados HPN, e importância do Eculizumabe em seus tratamentos; , , Considerando a Portaria nº 77 de dezembro de 2018, que tornou pública a decisão de incorporar o Eculizumabe para tratamento de pacientes com HPN no âmbito do SUS;; , , Considerando a Portaria Conjunta nº 18, de 20 de novembro de 2019, que aprovou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Hemoglobinúria Paroxística Noturna; , , Considerando a necessidade de se estabelecerem parâmetros sobre a HPN no Brasil e diretrizes nacionais para diagnóstico, tratamento e acompanhamento dos indivíduos com esta doença;; , , Considerando que o Eculizumabe é o principal tratamento farmacológico preconizado no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da HPN;; , A Abrale manifesta-se contrária a decisão de desincorporação do Eculizumabe para tratamento de pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN).</p> <p>2ª - CASO 1 – A paciente Getulia Brigo Rossi – GBR, 73 anos, iniciou seguimento com equipe de Hematologia do Hospital Beneficência Portuguesa, em 04/07/2017 por Anemia Aplastica severa (principalmente com anemia, reticulocitopenia e plaquetopenia) associado a clone HPN grande (93%). , , Conforme transcrição do relatório médico (Anexo 1): Durante o acompanhamento, evoluiu com complicações relacionadas a eventos trombóticos: trombose mesentérica, com ressecção de íleo terminal, trombose venosa profunda de membros superior esquerdo e trombose de seio venoso, assim como de porção proximal</p>

da veia jugular interna direita, com início de tratamento com Eculizumabe. Paciente com melhora completa dos episódios de dores abdominais e das trombozes venosas, sem novos episódios desde então. Atualmente em acompanhamento ambulatorial e em tratamento com Soliris dose de manutenção (Eculizumabe 900 mg em infusão de 15 minutos a cada 14 dias) e Ciclosporina. , , Como sequela ficou com diminuição de força em membros inferiores e superiores, com dificuldade em sua deambulação, atualmente em terapia de reabilitação, com melhora clínica progressiva. Após o início do Eculizumabe não houve mais eventos trombóticos ou de dores abdominais, indicando eficácia do tratamento. , Paciente atualmente em pós-operatório de lesão em laringe, com provável necessidade de outras abordagens cirúrgicas, o que pode desencadear atividade da doença de base (Hemoglobinúria Paroxística Noturna) e piora clínica com trombose, hemólise e risco de óbito, caso não continue recebendo a medicação impreterivelmente a cada 14 dias, conforme recomendação médica. , Assim, com o intuito de manter a doença sob controle e evitar complicações relacionadas à atividade deste (trombose e hemólise), solicito manutenção de terapia com Soliris (Eculizumabe) 900 mg a cada 14 dias, conforme prescrição médica. , CASO 2 – A paciente Christine Oliveira Quadrado de Araujo Linhares – COQAL, necessita da medicação Soliris (Eculizumabe) para tratamento de HPN. , , Conforme transcrição do relatório médico (Anexo 2): A Senhora Christine é portadora de Hemoglobinúria Paroxística Noturna forma clássica (hemolítica). Conforme os estudos apresentados (vide Anexo 2), ela terá uma redução da sua expectativa de vida (25% em 25 anos, segundo estudo 6). O transplante de medula não é uma opção de tratamento para esta paciente (estudo número 7). Deve-se manter em uso da medicação Soliris de forma ininterrupta para controle da sua doença e para que tenha qualidade de vida e sobrevida semelhante a população não portadora de HPN (estudos 1 a 5). A medicação SOLIRIS possui bula nacional e foi aceita para situações como a da senhora Christine, conforme registro na ANVISA. , , A negativa anterior a esta medicação expôs a paciente a eventos trombóticos. A paciente necessita da medicação para manter-se com os riscos totalmente controlados. A hemólise crônica é fator deletério e pode gerar mais eventos trombóticos, não há necessidade de ter histórico transfusional para receber SOLIRIS, conforme bula da medicação. , , Outros casos estão no documento em anexo.

3ª - Não

4ª - Não

5ª - Pacientes apresentam melhora completa dos episódios de dores abdominais e das trombozes venosas. , , Pacientes evoluem com melhora clínica progressiva e sustentada, com estabilização dos níveis de hemoglobina, melhora da função renal e dos níveis de DHL, melhora dos sintomas associados de fadiga, dispneia, dor abdominal e hemoglobinúria. , , O emprego do medicamento é capaz de reduzir a anemia, diminuir as necessidades transfusionais, melhorar a qualidade de vida, minimizar os riscos de complicações tromboembólicas e tem impacto favorável na sobrevida. , , O medicamento evita sintomas como cansaço aos mínimos esforços, pancitopenia, hemólise importante, plaquetopenia grave (apresentou hemorragia retiniana), febre, vasculite, queda progressiva do seu nível de hemoglobina, dor abdominal e gástrica importante e aumento progressivo de desidrogenase láctica (LDH). , , Após o uso, as análises laboratoriais voltam ao normal. Níveis de hemoglobina estabilizam e se aproximam do normal. A Desidrogenase Láctica (DHL), enzima marcadora de hemólise, anteriormente muito elevada também volta ao normal. , , Caso o tratamento seja interrompido, os pacientes podem apresentar hemólise substancial de rebote, com todas as consequências relacionadas à doença, porém de riscos e gravidades ainda maiores. , , Os pacientes tem dificuldade em acessar o medicamento, mesmo incorporado. Os centros de tratamento não indicam aos pacientes, que acabam recorrendo ao poder judiciário. ,

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
21/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
21/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. O medicamento é indicado para doença grave, com alta mortalidade e sem outras opções de tratamento 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
21/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Medicamento modificara a evolucao clinica do paciente... que nao deverao ser muitos pois trata se de doenca rara 2ª - Nao 3ª - Nao 4ª - Nao 5ª - Nao
21/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
21/07/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. É um medicamento que muda a qualidade de vida dos pacientes 2ª - no momento não 3ª - no momento não 4ª - no momento não 5ª - não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
21/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. , , 17. Trata-se de único medicamento existente no mundo que traz resultados positivos no controle da doença, mas seu custo é extremamente elevado, impossível de manter este procedimento com recursos próprios., ,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - , , , 19. Tenho conhecimento deste medicamento através de um amigo, sua filha é portadora de HPN e faz uso contínuo deste.,</p> <p>4ª - , , 20. Após início do tratamento, a paciente obteve expressiva melhora dos principais sintomas da doença, com diminuição do cansaço, maior disposição, voltou a ter uma VIDA normal., ,</p> <p>5ª - , 21. Não foi observado nenhum resultado negativo</p>
21/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Por que é uma medicação com alta visto, e que salva vida de alguém, e quem não tem uma boa renda necessita desesperadamente</p> <p>2ª - Ainda nao</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
21/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Manter no SUS, importante e de alto custo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
21/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
21/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. HPN é hoje doença orfã de tratamento efetivos, e apesar de evidencias discretas, Eculizumabe ainda sugere ação e melhora clinica dos pacientes</p> <p>2ª - NA</p> <p>3ª - NA</p> <p>4ª - NA</p> <p>5ª - NA</p>
21/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Trata se de unico medicamento no mundo que apresenta resultados positivos no controle da doença</p> <p>3ª - O seu custo elevadissimo não permite fazer tratamento com próprios recursos financeiros</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
21/07/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
21/07/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Não acho que deve ser excluído do SUS. Medicação cara que garante qualidade de vida com dignidade aos acometidos por esta doença.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>