

## Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Risdiplam para o tratamento de atrofia muscular espinhal - AME - tipo I - Conitec

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
01/12/2021	Interessado no tema	1ª - Não tenho opinião formada. Não sei 2ª - Não dar 3ª - Não dar 4ª - Não dar 5ª - Não dar
01/12/2021	Interessado no tema	1ª - Não tenho opinião formada 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
01/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Não tenho opinião formada. Nao 2ª - Nao 3ª - Nao 4ª - Não 5ª - Não
01/12/2021	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Principal benefício é por ser via oral, permitindo que as crianças possam fazer o tratamento domiciliar e a administração para crianças que usam sonda, minimizando a dificuldade de adesão para os pacientes que estão localizados em regiões mais remotas. 2ª - Dados de eficácia e segurança robustos. 3ª - Não 4ª - Mostrou reduzir impacto orçamentário na avaliação de 7 anos. 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
01/12/2021	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Acredito que é um direito do paciente e uma forma eficaz de controle 2ª - Se tiver atendendo paciente sim 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Técnica
02/12/2021	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
03/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS 2ª - Queria mais estou desempregado 3ª - Gostaria mais estou sem trabalhar 4ª - No momento não pq estou desempregado 5ª - No momento não
03/12/2021	Interessado no tema	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
03/12/2021	Interessado no tema	1ª - Não tenho opinião formada. Ainda nao tenho Uma opinion formada 2ª - Nao 3ª - Nao 4ª - Nao 5ª - Nao

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
06/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS. Sai mais barato fazer screening genético da população e oferecer fiv do que custear o remédio por paciente</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
06/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Sim deve ser incorporado ao SUS , porque é um remédio muito caro e as famílias não tem como dispor desse valor para pagar o tratamento de seus , e porque os brasileiros pagam muito impostos para encher o bolso dos políticos que não fazem nada para melhorar o nosso Brasil , essa crianças são seres humanos que precisam ser salvos.</p> <p>3ª - Já contribuo com as promoções e impostos que eu pago.</p> <p>4ª - Já contribuo comprando rifas ,participando de outros eventos organizado pelo povo de Nossa Pátria Amada a qual se chama Brasil ,que luta pelo seu povo e seu semelhante.</p> <p>5ª - Participo de rifas , bazares e outros eventos.</p>
07/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A medicação assim como o spinraza, e de extrema necessidade para o sobre vida do paciente com AME, e a vida vem em primeiro lugar.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
07/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
07/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Como um medicamento eficaz para o tratamento da AME, deve ser incluído na lista de medicamentos fornecidos pelo SUS, principalmente pelo alto custo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
07/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. É preciso trazermos para o Brasil possibilidade de vida a nossas crianças com AME. É um absurdo termos que vender a alma para levar nossos filhos e ou parentes para fora do nosso pais para serem tratados e escolher viver.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
07/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Nao</p> <p>4ª - Nao</p> <p>5ª - Nao</p>
07/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
07/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
07/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Não tenho opinião formada. Não tem comentários</p> <p>2ª - Sim</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
07/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. O medicamento beneficiará muitas crianças com AME que não tem acesso ao Zolgensma pelo custo altíssimo.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Com essa possibilidade do medicamento e funcionamento pelo SUS, várias famílias não irão pedir para a União o valor do Zolgensma.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
07/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
07/12/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
07/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. O SUS tem que fornecer</p> <p>2ª - Meu afilhado usa este medicamento e está super bem</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
08/12/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Não tenho opinião formada</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
08/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Apresentam boa evolução quando avalia a experiência tecno-científica mundial</p> <p>2ª - Deve ser incorporado para todos os pacientes</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Os não tratados e ainda com indicação de uso podem diminuir o impacto orçamentário</p> <p>5ª - Não</p>
09/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
09/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Necessario ajudar as pessoas que irão usar o produto. Tanto dinheiro se gasta em coisas menos necessarias,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
09/12/2021	Paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Nanda contrat</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
09/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Qualidade de vida para essas crianças</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
09/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. É um tratamento que altera a história natural de doença e oferece, no mínimo, estabilização do quadro neurológico do paciente.</p> <p>2ª - No Último Congresso de Doenças Neuromusculares, foram apresentados diversos trabalhos comprovando a eficácia do medicamento.</p> <p>3ª - Não há dúvidas que o que se economiza com procedimentos como gastrostomia, internações hospitalares, uso de ventilação mecânica contínua, compensa o investimento no tratamento.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
09/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Todo medicamento incorporado e distribuído pelo SUS, é de extrema importância para a população de que desses medicamentos necessitam e também relevante para os profissionais.</p> <p>2ª - Não no momento</p> <p>3ª - Não no momento</p> <p>4ª - Não no momento</p> <p>5ª - Não, apenas meu apoio</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
09/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
09/12/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Acho que qualquer medicamento que vai ajudar quem tem Ame ou qualquer outra doença o Sus deve fornecer para que a pessoa tenha uma vida digna.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
09/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A AME tem sido identificado numa quantidade significativa de crianças sendo de suma importância o uso da medicação para controlar o avanço da doença que aumenta debilidade do paciente gerando muito mais gastos que o medicamento e a perda da vida da criança quando não apresenta condições de ter um QUARTO ADAPTADO PARA MANTER AS CONDIÇÕES DE SOBREVIVÊNCIA</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - A quebra de patente seria muito importante para a redução dos gastos com produção nacional</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
09/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
10/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
10/12/2021	Empresa	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - "Diante da redação atual da consulta e dos aspectos pertinentes à nossa intervenção, sugerimos duas alterações:, , 1. Pequena correção no asterisco de legenda da Figura 2:, De: ""* MLPA, multiplex ligation-dependent a amplification, qPCR, PCR quantitativo."" , Para: ""* MLPA, multiplex ligation-dependent amplification, qPCR, PCR quantitativo. qPCR pode ser considerado apenas em casos específicos, ex: diagnóstico pré-natal."" , , 2. Modificação na redação do ponto 4.1 ""Aspectos clínicos e epidemiológicos da doença"" , na página 14, substituindo o último parágrafo do item., , ""Sendo uma doença genética, nos casos de suspeita clínica, o diagnóstico é baseado em testes genéticos moleculares. Atualmente, entende-se que a primeira investigação genética para AME é a análise de copy number variations (CNVs) dos genes SMN1 e SMN2, alterações encontradas em cerca de 95% dos pacientes diagnosticados (Prior et al., 2020). A ausência das duas cópias funcionais do gene SMN1 (i.e. deleção em homozigose) confirma o diagnóstico da AME. A técnica atualmente padrão ouro na análise de CNVs é o multiplex ligation-dependent probe amplification (MLPA)., A depender do resultado negativo do MLPA, o sequenciamento do gene SMN1 pode ter importância decisiva para a finalização do diagnóstico. Nos casos com deleção em heterozigose no gene SMN1, o sequenciamento de nova geração (NGS) por hibridização demonstra aumentar a taxa diagnóstica de AME de forma relevante ao detectar variantes de ponto patogênicas no gene SMN1, mesmo com as limitações ante à sua semelhança com o gene SMN2. Assim, é altamente recomendável que pacientes com deleção em heterozigose detectada no SMN1 sejam submetidos a NGS por hibridização para investigação de eventuais variantes pontuais no alelo remanescente do gene., É importante ressaltar, em termos de NGS, que as metodologias baseadas em amplicons já não são as mais indicadas. As plataformas de NGS por hibridização atualmente disponíveis geram dados mais verossímeis e melhor cobertura horizontal da região sequenciada (Samorodnitsky et al., 2015); sendo, assim, considerada a técnica mais recomendada nesta segunda investigação., Adicionalmente, a determinação do número de cópias do gene SMN2, que pode variar até oito, é um importante fator relacionado à gravidade e classificação da AME. No tipo I, os indivíduos comumente apresentam apenas duas cópias do gene SMN2 e nos demais tipos (II, III e IV) os pacientes apresentam mais de três cópias do gene [2]."" , , Referências Bibliográficas:, , Eggermann, K., Gläser, D., Abicht, A. e Wirth, B. Spinal muscular atrophy (5q SMA): best practice of diagnostics, newborn screening and therapy. Medizinische Genetik, vol. 32, no. 3, 2020, pp. 263-272. <a href="https://doi.org/10.1515/medgen-2020-2033">https://doi.org/10.1515/medgen-2020-2033</a>, , Mendonça, R.H.; Matsui Jr, C.; Polido, G.J.; Silva, A.M.S.; Kulikowski, L.; Dias, A.T.; Zanardo, E.A.; Solla, D.J.F.; Gurgel-Giannetti, J.; De Moura, A.C.M.L.; Sampaio, G.P.C.; Oliveira, A.S.B.; De Souza, P.V.S.; Pinto, W.B.V.R.; Gonçalves, E.A.; Farias, I.B.; Nardes, F.; Araújo, A.P.Q.C.; Marques Jr, W.; Tomaselli, P.J.; Ribeiro, M.D.O.; Kitajima, J.P.; Monteiro, F.P.; Saute, J.A.M.; Becker, M.M.; Saraiva-Pereira, M.L.; Brusius-Facchin, A.C.; 1, van der Linden, V.; Florêncio, R.N.; Barbosa, A.V.S.; Machado-Costa, M.C.; Pessoa, A.L.S.; Souza, L.S.; Franca Jr, M.C.; Kok, F.; Reed, U.C.; and E. Zanolati. Intragenic variants in the SMN1 gene determine the clinical phenotype in 5q spinal muscular atrophy. Neurology Genetics 6(5):e505. 2020. doi: 10.1212/NXG.0000000000000505., , Prior T.W., Leach M.E., Finanger E. Spinal Muscular Atrophy. 2000 Feb 24 [Updated 2020 Dec 3]. In: Adam MP, Ardinger HH, Pagon RA, et al., editors. GeneReviews® [Internet]. Seattle (WA): University of Washington, Seattle; 1993-2021. Disponível em: <a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK1352/">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK1352/</a>, , Mais informações no anexo."</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
10/12/2021	Interessado no tema	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Completamente Necessário. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
10/12/2021	Interessado no tema	1ª - Não tenho opinião formada. Tenho pouco tempo de experiência mais está ótimo 2ª - SIM 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não estou podendo
10/12/2021	Paciente	1ª - Não tenho opinião formada 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
10/12/2021	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
10/12/2021	Empresa	<p>1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS. Considerando o parecer emitido pelo Conitec, as informações que levaram a recomendação de incorporação do Risdiplam, precisam ser avaliadas com cautela. Existem muito mais incertezas, do que certezas, no que tange essa incorporação. Além da baixa qualidade dos estudos e seus claros vieses, não ficou demonstrada qual a condutada a ser tomada quando o Risdiplam deixasse de ser custo-efetivo. Os pacientes migrariam para outra terapia? essa recomendação de incorporação somente se justificaria, caso não existisse outro tratamento para a doença em questão. Atualmente, qual o sentido da incorporação de uma nova droga, sabendo que não há estudos de comparação direta com a droga mais utilizada no mercado e que já possui um escopo de evidência mais robusto. Portanto, essa recomendação de incorporação não se justifica.</p> <p>2ª - ANÁLISE CRÍTICA DAS EVIDÊNCIAS / PARECER, , - Falta de registo PROSPERO: Pela importância inerente ao tema e o alto custo atribuído a medicação, é de suma importância que a revisão proposta pelo demandante fosse registrada. O registro é fundamental para que se compreenda toda metodologia utilizada. , , - Amplitude pontuação CHOP-INTEND (FIREFISH parte 2): embora tenha-se utilizado como tendência central a mediana, a amplitude apresenta grande variação - 8,0 até 37,0. , , - Benefícios a longo prazo: incertos e estimativas imprecisas, previsto finalização do estudo somente em 2023. , , - Toxicidade oftalmológica: a maior parte dos pacientes foram submetidos a avaliação SD-OCT entre 6 meses e 1 ano apenas. Sabendo que seu uso é contínuo e por longos anos, esse período é insuficiente para avaliação. Os estudos SUNFISH / JEWELFISH foram usados apenas para avaliação desse desfecho. , , - Meta-análise de comparação indireta: mesmo com o pareamento entre os pacientes (FIREFISH e ENDEAR), não está claro se a utilização do matched adjusted indirect treatment comparison (MAIC) é a melhor metodologia. O que leva a importantes incertezas sobre as conclusões apresentadas. Tal ponto é inclusive relatado pelo relatório de recomendação proposto. , , - Risco de vieses: Como informado, apesar do relato de uso da ferramenta ROBINS-I pelo demandante, esse não a apresentou. Devido a essa ausência, a análise do risco de viés foi realizada pelos colaboradores da Conitec, mas não ficou demonstrado se foi conduzida por dois revisores independentes, e no caso de discordâncias, se um terceiro revisor deliberou sobre essa avaliação. A avaliação por parte da Conitec mostra que dois importantes pontos da ferramenta (confundimento e aferição dos desfechos), foram considerados graves, o que novamente levanta importantes incertezas sobre os resultados. , , - Análise do risco de viés da revisão sistemática: a ferramenta AMSTAR-2 pode atribuir uma razoável qualidade a revisão sistemática proposta, mas a baixa qualidade dos estudos individuais utilizados merece atenção. Os critérios 9,12,13 e 15 relacionados aos riscos de vieses pela ferramenta AMSTAR-2 foram preenchidos com “NÃO”, o que revela importantes incertezas sobre os riscos de vieses e conseqüentemente aos seus resultados. , , - Certeza geral das evidências (GRADE): conforme informações, a certeza da evidência foi “moderada” apenas para os efeitos adversos. Já para os desfechos relacionados a efetividade, a certeza variou de “baixa” a “muito baixa”, principalmente para o importante desfecho de reposta motora. , , - Balanço entre efeitos desejáveis e indesejáveis: presença de grande amplitude do IC referentes aos estudos.</p> <p>3ª - - Avaliação de custo: apesar das simulações propostas, o diagnóstico precoce da doença e seu conseqüente tratamento, leva a uma maior sobrevivência dos pacientes, ultrapassando os 7 anos. A maior custo-efetividade relatada em 7 anos como ponto de corte, não deixa claro qual a conduta para esse paciente depois desse período. Os pacientes migrariam para a Nusinersena? O importante impacto quando o paciente atingisse mais de 18Kg deve ser levado em consideração, pois esse peso pode ser atingido muito antes de 7 anos de tratamento.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
10/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Impossível de conseguir 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
10/12/2021	Interessado no tema	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Todas as crianças que necessitam devem ter acesso a esse remédio, podemos salvar muitas vidas com ele 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
11/12/2021	Profissional de saúde	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
11/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
11/12/2021	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Favor ler documento em anexo 2ª - Favor ler documento em anexo 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
11/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
12/12/2021	Interessado no tema	1ª - Não tenho opinião formada 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
12/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Salva vidas 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não
12/12/2021	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Necessidade social e economica da maioria dos pacientes 2ª - Colabora enormemente contra a progressão da doença 3ª - Maioria dos pacientes não tem condições financeiras 4ª - O Estado deve promover o bem estar social e proteger seus cidadãos. Se não fizer isso não precisaremos do Estado 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
12/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Para o tratamento atual adequado da Retocolite Ulcerativa, faz-se necessário acrescentar as opções de terapia com o Golimumabe, Adalimumabe e com o Tofacitinibe. Há pacientes com doença grave que falham ao Infliximabe e ao Vedolizumabe ou que apresentam anafilaxia (notadamente ao Infliximabe) e devem sser tratados com essas opções citadas já aprovadas pela Anvisa e disponíveis no Brasil.</p> <p>2ª - 1. Systematic review with network meta-analysis: comparative assessment of tofacitinib and biological therapies for moderate-to-severe ulcerative colitis. Aliment Pharmacol Ther. 2017;1–12., 2. ACG Clinical Guideline: Ulcerative Colitis in Adults, Am J Gastroenterol 2019;114:384–413, 3. British Society of Gastroenterology consensus guidelines on the management of inflammatory bowel disease in adults, Lamb CA, et al. Gut 2019;68:s1–s106, 4. An indirect comparison of infliximab versus adalimumab or golimumab for active ulcerative colitis, Arch Med Sci 2016; 12, 5: 1097–1109, 5. Biologic Therapy for Ulcerative Colitis, Gastroenterol Clin N Am 49 (2020) 717–729, 6. Comparative Immunogenicity of TNF Inhibitors: Impact on Clinical Efficacy and Tolerability in the Management of Autoimmune Diseases. A Systematic Review and Meta-Analysis, 7. Golimumab in real-world practice in patients with ulcerative colitis: Twelve-month results, World J Gastroenterol 2020 June 7; 26(21): 2852-2863, 8. Effectiveness of golimumab in ulcerative colitis:A review of the real world evidence, Digestive and Liver Disease xxx (2018), 9. Golimumab improves work productivity in patients suffering from moderate to severe ulcerative colitis: results of a prospective study over 24 months, Teich et al. BMC Gastroenterol (2021) 21:161, 10. Guideline review: Tofacitinib for adults with moderately to severely active ulcerative colitis - NICE guidance, Nwaogu A, et al. Frontline Gastroenterology 2020;0:1–4. doi:10.1136/flgastro-2020-101502</p> <p>3ª - 1. Cost-effectiveness of tofacitinib compared with infliximab, adalimumab, golimumab, vedolizumab and ustekinumab for the treatment of moderate to severe ulcerative colitis in Germany, J Med Econ, . Jan-Dec 2021;24(1):279-290, 2. Cost-effectiveness analysis of infliximab, adalimumab, golimumab, vedolizumab and tofacitinib for moderate to severe ulcerative colitis in Spain, Eur J Hosp Pharm. 2020 Nov;27(6):355-360., 3. Cost-effectiveness of golimumab for the treatment of patients with moderate-to-severe ulcerative colitis in Quebec using a patient level state transition microsimulation, J Med Econ. 2018 Jan;21(1):27-37.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/12/2021	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Em linha com a recomendação preliminar favorável à incorporação de risdiplam para o tratamento da AME tipo 1 pela Conitec, a Roche reforça que o risdiplam é uma importante opção de tratamento neste contexto, por modificar o curso da doença melhorando a função motora e a sobrevida livre de evento, de forma segura e com boa tolerabilidade. Além das evidências científicas em pacientes com AME tipo 1, a administração oral de risdiplam oferece comodidade posológica, evita procedimentos invasivos, gastos com o deslocamento dos pacientes e o uso de recursos do sistema de saúde.</p> <p>2ª - A Roche considera importante pontuar que, apesar das limitações, os níveis de resposta observados no desfecho de sobrevida livre de evento (morte ou ventilação permanente), sendo este o desfecho de maior criticidade, foram de grande magnitude e mantidos nos seguimentos de 12 e 24 meses (85% e 82% respectivamente), comportamento diferente daquele observado na história natural da doença, sem o uso de um tratamento farmacológico específico (aproximadamente 29% em 12 meses) ou até mesmo com a terapia específica com nusinersena disponível no SUS (aproximadamente 68% em 12 meses).</p> <p>3ª - Vide documentos em anexo.</p> <p>4ª - Vide documentos em anexo.</p> <p>5ª - A Roche acredita que o risdiplam seja uma importante opção de tratamento para os Risdiplam é um medicamento de administração oral que preserva e potencializa a capacidade motora dos pacientes com AME, embasado por estudos clínicos em uma população representativa dos tipos 1, 2 e 3, incluindo crianças, adolescentes e adultos. Recentemente, o NICE também reconheceu o benefício de risdiplam, com recomendação favorável para o tratamento de pacientes com AME tipos 1, 2 e 3.</p>
13/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
13/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/12/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Várias pessoas precisam desta medição e não conseguem comprar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
13/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Medicamento caro que muitas vezes a família do paciente não tem como comprar</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
13/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A atrofia muscular espinhal é uma doença genética, de curso inexorável e devastador do ponto de vista motor, respiratório, nutricional e metabólico, em indivíduos com capacidade cognitiva intacta. A modificação da evolução da doença, atenuação da fraqueza, e ganho de qualquer marco motor representa a possibilidade de maior expressão da vida deste indivíduo na sociedade.</p> <p>2ª - Os estudos clínicos publicados revelam melhora das pontuações nas escalas motoras, ganhos de marcos motores, redução de suporte ventilatório, e melhora da sobrevida após 2 anos. Tais resultados, modificam o fenótipo de gravidade e permitem que este paciente viva com melhores condições de vida.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Creio que as equipes governamentais destinadas às discussões sobre a saúde, doença e tratamentos em geral, especialmente no grupo de doenças raras, devem também, além do hercúleo trabalho voltado à análise de novos medicamentos, voltar-se para a incongruente realidade que temos vivenciado. Por um lado, a possibilidade de medicamentos de alto custo, cuja necessidade é absolutamente inquestionável. Mas por outro, a frágil e muitas vezes ausente rede multidisciplinar no SUS para oferecer fisioterapia motora, respiratória, fonoaudiologia, psicologia e terapia ocupacional às crianças com doença neuromuscular. Lembrar que sem a atuação ativa das terapias de reabilitação, a eficácia de qualquer medicamento é bastante comprometida.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. medicação via oral com eficácia enquanto as outras medicações via intratecal , pacientes com dificuldades para locomoção e realização em ambiente cirúrgico, o que inviabiliza o tratamento para muitos pacientes</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - medicações via oral facilitaria a administração para os pacientes e menor risco de infecções que as medicações intratecal</p>
13/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
13/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/12/2021	Grupos/associação/orga nização de pacientes	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. O INAME parabeniza a Conitec pela recomendação favorável de incorporação para o Tipo 1. A forma oral de administração do fármaco é um diferencial muito importante para considerar a incorporação de Risdiplam. A facilidade, a comodidade e a segurança para o paciente, que não precisa se deslocar para um ambiente hospitalar, tem muita relevância., Não somente por causa do fato de o custo da administração oral ser menor do que o custo da administração intratecal. É uma questão que facilita aspectos médicos (dores nos pacientes e dificuldades técnicas de aplicação intratecal em determinados casos, como a presença de escoliose severa ou cirurgia de artrodese), ameniza ou elimina impactos psicológicos (não só no paciente, mas em toda a família, dada a tensão que o procedimento de aplicação intratecal causa nos envolvidos), elimina barreiras logísticas (o que é muito relevante em um país continental como o Brasil), reduz a demanda por centros cirúrgicos já sobrecarregados (pois como se sabe, no âmbito do SUS, estes centros cirúrgicos possuem alta demanda para procedimentos). , Além disso, é um medicamento com perfil de segurança muito favorável., Adicionalmente, mostra-se como uma alternativa terapêutica que pode trazer uma economia importante para o sistema, principalmente nos casos dos pacientes tipo 1 até 20 kg., Ou seja, realmente há um conjunto de fatores que torna a incorporação extremamente recomendada, pois beneficiará a todos (pacientes e famílias, médicos, sistema de saúde, rede de hospitais).</p> <p>2ª - Excelentes.</p> <p>3ª - Excelente.</p> <p>4ª - Impacto orçamentário negativo - melhor cenário.</p> <p>5ª - O INAME acredita que o melhor cenário para todos – pacientes, famílias, médicos e sistemas de saúde, é que todas as medicações sejam incorporadas ao SUS e disponibilizadas para que paciente, família e médico possam juntos escolher qual o melhor tratamento para cada caso concreto, e para que a concorrência e a negociação em escala possibilitem negociações com os melhores preços possíveis., Nesse contexto, a incorporação do Risdiplam como segundo medicamento para tratar a AME Tipo 1 é indispensável e representa uma grande vitória. Parabéns, mais uma vez, à Conitec pela recomendação preliminar, mas é importante cuidado e atenção na definição dos critérios de inclusão e exclusão no momento da atualização do PCDT, para esta incorporação não seja para poucos.</p>
13/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Já existem dados científicos o suficiente para ver os resultados positivos</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Existem benefícios e custos que não tem ainda comprovação na literatura e que dão ainda mais suporte a esta incorporação. Além disto agências internacionais vem emitindo parecer favorável, após a publicação do relatório feito pela CONITEC.</p> <p>2ª - Como profissional atuante na área da neuropediatria, entendendo a distribuição geográfica difusa dos pacientes com AME5q, compreendo bem que a possibilidade de uso de medicamento domiciliar atende de forma importante estas crianças e seus familiares. A distância de centros de referência trás mais possibilidade de intercorrências para as crianças com AME5q, que ao se deslocarem por longas distâncias para uso de terapias intra-hospitalares, as afastam de suas terapias multidisciplinares e cuidados diários ideais. Ademais o afastamento de familiar que o acompanhe envolve um custo ao empregador do mesmo, fora o custo decorrente do transporte., Como pesquisadora envolvida nos estudos clínicos, pude, pessoalmente, acompanhar a facilidade de armazenamento e administração da medicação, além de observar no acompanhamento seus benefícios e limitação de efeitos adversos relacionados ao mesmo., O pronunciamento recente do NICE é um exemplo de agência que mais recentemente emite parecer favorável ao uso.</p> <p>3ª - Não.</p> <p>4ª - Não.</p> <p>5ª - Não.</p>
13/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. VANTAGENS ECONÔMICAS PESO-DEPENDENTE, FACILIDADE DE ADMINISTRAÇÃO (ORAL)</p> <p>2ª - "1. ""According to NICE, clinical evidence showed that risdiplam improves the ability to sit up, stand or walk for people with type 1, 2 and 3 SMA"" (extraído de: , <a href="https://www.europeanpharmaceuticalreview.com/news/165751/nice-recommends-risdiplam-for-spinal-muscular-atrophy/#:~:text=According%20to%20NICE%2C%20clinical%20evidence,start%20showing%20symptoms%20of%20SMA.">https://www.europeanpharmaceuticalreview.com/news/165751/nice-recommends-risdiplam-for-spinal-muscular-atrophy/#:~:text=According%20to%20NICE%2C%20clinical%20evidence,start%20showing%20symptoms%20of%20SMA.</a>), , 2.O estudo clínico que embasou a solicitação do demandante utilizou ampla população, muito próxima (similar) a população real, , 3. Facilidade de admnistração"</p> <p>3ª - O próprio relatório da CONITEC e a a solicitação demonstram vantagem econômica (peso-dependente), refletindo em ganho econômico geral,</p> <p>4ª - O próprio relatório da CONITEC e a a solicitação demonstram vantagem econômica (peso-dependente), refletindo em ganho econômico geral,</p> <p>5ª - Vide anexo</p>
13/12/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Não tenho opinião formada. Não tenho nenhuma opinião</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
13/12/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Se existi o remédio, o acesso ao portador da doença é direito e reconhecimento de sua cidadania.,</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
13/12/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Ha tecnicamente evidencia suficiente de sua eficacia em Ame tipo 1</p> <p>2ª - Nao</p> <p>3ª - Nao</p> <p>4ª - Nao</p> <p>5ª - Nao</p>
13/12/2021	Paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Sim , pois no sistema único de saúde , o governo deve abrir mais exceção sobre tipos de medicamentos que ainda falta no sus .</p> <p>2ª - Não , porque não tenho muito conhecimento sobre essa ária de medicações!</p> <p>3ª - Sim , ultimamente como os preços das coisas no mercado industrial e alimentício , vem subido , é bom fazer uma análise de quanto vc gasta e vê se vale a pena o que você compra !</p> <p>4ª - Primeiro pesquisa bastante até vê o que tá mais em conta comprar , e fazer um orçamento do meu dinheiro!</p> <p>5ª - Não , pois ainda não tenha-o um trabalho fixo , não tenho carteira de trabalho para um trabalho direto !</p>
22/11/2021	Interessado no tema	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
25/11/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
25/11/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
26/11/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Valor muito elevado para população beneficiada ser baixo volume</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
26/11/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Administração via oral</p> <p>2ª - Mesma eficácia que administração intratecal.</p> <p>3ª - Preço mais baixo para bebês., Com o passar do tempo, há chance de o preço diminuir e ficar equivalente à medicação intratecal a cada 4 meses.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
26/11/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A incorporação é importante por trazer mais uma opção de tratamento para os pacientes.</p> <p>2ª - Estudos Firefish e Rainbowfish demonstram a segurança e eficácia dessa medicação.</p> <p>3ª - É mais custo-efetivo para pacientes com menos de 20kg.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
26/11/2021	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Ótima</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Pode ser futuramente</p> <p>4ª - Depois</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
29/11/2021	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. De acordo com os estudos investigacionais, o risdiplam é efetivo para melhorar a função motora e ventilatória, bem como o desenvolvimento motor do paciente, e não apresenta eventos adversos relevantes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - "Assim como todos os moduladores do ""splicing"" em geral, o custo é altíssimo, porém a doença é extremamente grave e progressiva e qualquer benefício motor ou estabilidade do quadro motor e respiratório é modificador do prognóstico."</p> <p>5ª - Não</p>
30/11/2021	Paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Ótima</p> <p>2ª - Sim</p> <p>3ª - Nao</p> <p>4ª - Nao</p> <p>5ª - Não</p>
30/11/2021	Paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. SUS pois existem muitos casos que nem sabemos que precisa deste tratamento e não tem condições</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>