

Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Onasemnogênio abeparvoveque para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) - Conitec

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
01/10/2022	Interessado no tema	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/10/2022	Interessado no tema	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Toda vida importa, nenhuma vida é menos ou mais importante, já morreu pessoas demais para essa doença, esta na hora da cura. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/10/2022	Interessado no tema	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS. Já existem medicamentos e há pouca comprovação da eficácia do medicamento pela empresa 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
02/10/2022	Interessado no tema	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A maioria das famílias que necessitam do medicamento são carentes não tem condições de comprar o remédio mais caro do mundo. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
02/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Sou neuropediatra, acompanho tratamento de pacientes com AME. Considero muito relevante a incorporação do tratamento, pois é um modificador da doença.</p> <p>2ª - Tenho experiência de 2 pacientes (de 1 a 2 anos) que receberam a medicação, ambos obtiveram melhora clinica importante adquirindo marcos do desenvolvimento como sentar, falar, melhora da força principalmente membros superiores, melhora do padrão respiratório e alimentação oral.</p> <p>3ª - Apesar do custo individual alto, a longo prazo compensa pois reduz gastos com cuidados de saúde e suporte de vida.</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/10/2022	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>	
02/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Favorável para incorporação nos pacientes menores que 6 meses, até 3 cópias do SMN2</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
02/10/2022	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. O governo tem como por no SUS esse medicamento a chance dessas crianças é única essa chance de vida está na mão do SUS que deve sim incorporar o medicamento e salvar as crianças</p> <p>2ª - A medicação é a única chance de vida</p> <p>3ª - O Brasil tem como ajudar o governo tem que abrir a mão pra salvar essas vidas que tem muito pela frente ainda</p> <p>4ª - Tire de partes que não são necessidades e ajude de essa chance o Brasil tem que começar a ajudar são muitas crianças sofrendo por essa doença e gastos desnecessário podem ser cortados para ajudá-los</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
02/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Sou fisioterapeuta e professora da UFRJ e realizo avaliações dos pacientes com AME tipo 1 que fizeram uso do Onasemnogeno abeparvoveque através da escala CHOP INTEND e as crianças apresentam melhora da sua capacidade funcional.</p> <p>2ª - Foram avaliados 3 pacientes que fizeram uso de Onasemnogeno abeparvoveque através da escala CHOP INTEND, Iniciaram a medicação aos 16 meses, 21 meses e 18 meses. antes da medicação pontuaram 56, 44 e 28 pontos respectivamente. Após medicação 61 (após 8 meses), 53 (após 6 meses) e 43 pontos (após 9m.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Apesar de poucos casos descritos por mim, são evoluções documentadas através da escala CHOP INTEND desenhada especificamente para acompanhar essa população. Todos tiveram suas doses únicas aplicadas poucos meses antes dos 2 anos de idade e mostraram evolução do quadro.</p>	
02/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Por acompanhar a evolução motora de crianças que fizeram uso da medicação e testemunhar os benefícios dos ganhos motores</p> <p>2ª - Artigos científicos mostram que crianças submetidas ao tratamento com zolgensma apresentam maior probabilidade de se manterem livres de suporte respiratório, bem como obtenção de ganhos motores em menor tempo pós uso da medicação</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	1264
03/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Fiz comentário em anexo</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Fiz comentário em anexo</p> <p>4ª - Fiz comentário em anexo</p> <p>5ª - Fiz comentário em anexo</p>	1266
03/10/2022	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. APENAS O GOVERNO PODE CONCEDER ESSA CONTRIBUIÇÃO PARA AS POBRES FAMÍLIAS BRASILEIRAS</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
03/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Estamos vivendo diante de um momento de novas perspectivas para os pacientes com AME através das terapias modificadoras de doença. Todas as tecnologias devem estar à disposição dos pacientes visando combate à progressão dos danos causados pela doença.</p> <p>2ª - Estudos comprovam a segurança e eficácia dos medicamentos disponíveis, mas não apontam a superioridade de um deles sobre os demais, A prescrição do medicamento deve considerar critérios clínicos, idade, estado prévio, custo, adesão, mecanismo de ação, forma de aplicação e escolha da família.</p> <p>3ª - Sugiro ao Ministério que faça uma projeção de custos considerando um longo período de utilização dos fármacos Risdiplam e Nusinersena versus Zolgensma.</p> <p>4ª - O impacto orçamentário deve ser resolvido com adequado estudo financeiro e direcionamento de verbas.</p> <p>5ª - Devido instabilidade do sistema não consigo enviar anexos. Minha experiência prática será enviada por e-mail à CONITEC. Peço consideração. ,</p>	<p>1281</p>
03/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Por ser mais uma opção de tratamento para os pacientes com a doença, devido a eficácia demonstrada nos estudos.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
03/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Acredito que toda criança deve ter o direito de sobreviver e ter acesso ao medicamento, sem ter que passar por todo sacrifício judicial. Quem tem AME, tem PRESSA!</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
03/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Trata-se de indicação terapêutica de incidência ultra rara para qual as evidências clínicas são superiores a terapia padrão ,e com grande benefício ao paciente</p> <p>2ª - o Zolgensma é a primeira terapia gênica desenvolvida para o tratamento da AME, uma doença rara e progressiva, - o medicamento foi avaliado e recomendado por diversas agências internacionais, - é uma terapia de dose única e que atua na causa raiz da AME, - é um medicamento eficaz e seguro, de acordo c</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
03/10/2022	Organização da Sociedade Civil	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. vide arquivo</p> <p>2ª - vide arquivo</p> <p>3ª - vide arquivo</p> <p>4ª - vide arquivo</p> <p>5ª - vide arquivo</p>	
03/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Sob condições sugeridas em anexo.</p> <p>2ª - Segue anexo.</p> <p>3ª - Segue anexo.</p> <p>4ª - Segue anexo.</p> <p>5ª - Segue anexo.</p>	
03/10/2022	Organização da Sociedade Civil	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. O INAME opina que o tratamento deve ser incorporado segundo os critérios de bula aprovados pela , ANVISA. Este é o melhor cenário, no qual a instituição acredita e recomenda.</p> <p>2ª - Todos os estudos clínicos (START, LT-001, STR1VE-US, STR1VE-EU), estudos de comparação indireta , (DABBOUS, 2019, BISCHOF, 2021, RIBERO, 2022) e estudos observacionais (WALDROP, 2020, CHAND, 2021, , WEISS, 2021, D'SILVA, 2022) apresentados mostram um perfil de eficácia muito robusto e satisfatório</p> <p>3ª - o ponto de vista exclusivamente de custo de tratamento de um paciente, o cenário torna-se mais favorável a Zolgensma, porque a dose única inicial do tratamento será diluída em um intervalo de , tempo cada vez maior</p> <p>4ª - Seria importante a construção de um acordo de acesso gerenciado que possa reduzir os riscos de impactos , orçamentário. A implementação de um teto máximo de quantidade de doses compradas, acima da qual o , Ministério da Saúde receberia bonificações, poderia ser uma ideia de implementação.</p> <p>5ª - Não se pode perder mais tempo – quem tem AME, tem pressa. Por isso, é preciso que o Zolgensma seja incorporado ao SUS (VIDE ANEXO NO EMAIL)</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
03/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. O Onasemnogeno abeparvoveque é a única terapia gênica disponível para o tratamento da AME 5q. É uma medicação segura quando utilizada dentro das diretrizes da bula. Quanto mais jovem é o paciente, melhores os resultados, menos efeitos colaterais, e o uso de outras medicações é desnecessário.</p> <p>2ª - Anexo aqui, vários trabalhos que corroboram a segurança, eficácia e suficiência do Onasemnogeno abeparvoveque para os pacientes que o recebem precocemente.</p> <p>3ª - Anexo aqui, estudo que comprova a hipótese que essa medicação é suficiente para o paciente, por pelo menos 5 anos, não sendo necessária outra. Acredita-se que ela seja suficiente por toda vida o que a torna muito mais viável em face das outras cujo uso é ininterrupto por toda a vida.</p> <p>4ª - Novamente, reitero, uma medicação em dose única é muito mais viável para o orçamento que as drogas cujo uso é contínuo e ininterrupto por toda a vida.</p> <p>5ª - O uso ideal de qualquer droga na AME 5q deverá ser precoce. Anexo trabalho que mostra a insuperável performance dessa medicação quando é usada em pacientes que foram diagnosticados em triagem neonatal. O desenvolvimento das crianças é considerado normal, e com ótimo perfil de segurança, .</p>	<p>1256.1</p> <p>1256.2</p> <p>1256.3</p>
03/10/2022	Organização da Sociedade Civil	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. O diagnóstico precoce e o início imediato do tratamento na AME são fatores críticos para os melhores resultados do tratamento devido à natureza rapidamente progressiva e degenerativa da doença. Há cada vez mais evidências de que o dano muscular pode ocorrer antes que os sinais e sintomas apareçam.</p> <p>2ª - Sim. Vide ARQUIVO anexo.</p> <p>3ª - Sim. Vide ARQUIVO anexo.</p> <p>4ª - Sim. Vide ARQUIVO anexo.</p> <p>5ª - Sim. Vide ARQUIVO anexo.</p>	<p>1283</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
03/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. SOU NEUROPEDIATRA E TENHO PACIENTES TRATADOS COM ZOLGENSMA , COM BONS RESULTADOS . DISCORDO DO PARECER EM LIMITAR O USO ATÉ 6 MESES DE IDADE. DEVE SER MANTIDO CONFORME BULA ATÉ 2 ANOS . SEM A TRIAGEM NEONATAL E A JORNADA DO PACIENTE (CROSS SIGA OU OUTRO SISTEMA DE REGULAÇÃO) O PACIENTE NÃO GHEGA)</p> <p>2ª - TODOS MEUS 11 PACIENTES QUE USARAM ZOLGENSMA TIVERAM BONS RESULTADOS, MENOR TEMPO DE RESPIRADOR , SENTA SOZINHO E ATÉ EM PÉ. TODOS APÓS 6 MESES E ANTES DE 2 ANOS. QUANTO A SEGURANÇA BEM TRANQUILO PORÉM DEVE TER ACESSO AO HOSPITAL (SEM TRAVES DE REGULAÇÃO) 1 PACIENTE MEU TEVE MAT .</p> <p>3ª - NA ITALIA DURANTE 4 ANOS APÓS A INFUSÃO NÃO É FEITO SPINRAZZA , OS NÚMEROS SÃO EQUIVALENTES</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - AINDA SOBRE EFEITOS COLATERAIS: AS CRIANÇAS QUE FIZERAM ISOLAMENTO APÓS A INFUSÃO TIVERAM MENOS AUMENTO DE TGO E TGP. TIVE 1 PACIENTE COM MAT QUE SAIU COM TRANSFUSÃO DE SANGUE E PLAQUETAS O IDEAL SERIA PLASMAFERESE. O CUIDADOS POS ZOLGENSMA DEVERIA SER O MESMO POS TMO .</p>	
03/10/2022	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. O medicamento zolgensma deveria ser incluído no SUS em substituição ao medicamento spinrazaque apenas retarda a doença AME.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
03/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Acredito que a terapia gênica, por sua eficácia, segurança e facilidade de administração (dose única), possa ser uma estratégia terapêutica contemplada no tratamento da AME e incorporada ao SUS, especialmente em pacientes menores de 1 ano e menores de 12 quilos</p> <p>2ª - Verificam-se evidências científicas que corroboram a eficácia a curto e médio prazo (5 anos) e segurança, tanto em ensaios clínicos controlados como em estudos de vida real. A terapia gênica tem se mostrado mais eficaz e mais segura quanto mais jovem e menos sintomático é o paciente, e sem dú</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
03/10/2022	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Onasemnogeno abeparvoveque, uma terapia gênica de dose única, atua na causa raiz da doença, com durabilidade em longo prazo. A terapia altera o curso natural da AME, com potencial de eliminar a necessidade de administração crônica de outros tratamentos modificadores da doença.</p> <p>2ª - Os pontos relacionados a evidência clínica estão no anexo. Reforçamos aqui o perfil de eficácia da terapia: SLE de 91%-100%, 73-96% com CHOP INTEND > 40 pontos, 96% ganharam > 4 pontos na escala CHOP-INTEND.</p> <p>3ª - Os pontos relacionados a avaliação econômica estão no anexo. O modelo de custo-efetividade apresentado pela Novartis foi o mesmo utilizado para avaliação de outras agências de ATS com renome internacional.</p> <p>4ª - Os pontos relacionados ao impacto orçamentário estão no anexo. Em linha com as discussões da plenária da CONITEC, a Novartis apresenta diferentes cenários, aplicando novas taxas para as principais premissas de cálculo.</p> <p>5ª - Esta contribuição (anexo) é a versão final da contribuição da Novartis nesta consulta pública.</p>	1282
03/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Pacientes tratados com onasemnogeno abeparvoveque atingiram marcos do desenvolvimento nunca antes observados na história natural da doença. Essa observação per se fornece evidência robusta da eficácia e do impacto deste tratamento.</p> <p>2ª - O desenvolvimento e a incorporação de terapias para doenças ultrarraras, como AME, só será viável se os diferentes atores (como a CONITEC) entenderem a importância de aceitar desenhos de estudo adaptativos e evidências oriundas de estudos que não sejam ensaios randomizados controlados.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
14/09/2022	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>	
14/09/2022	Interessado no tema	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. É um medicamento bastante caro, é bem frequente crianças com AME, muitas vezes não conseguem o valor do medicamento a tempo com vaquinhas e ajudas e a criança acaba vindo a óbito, por isso acho que o SUS deveria sim fornecer esse medicamento.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
14/09/2022	Interessado no tema	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
15/09/2022	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Acho que deveria sim ser incorporado o zolgensma no SUS , vai salvar muitas vidas de crianças com atrofia muscular espinhal , por se considerado o medicamento mais caro do mundo muitas famílias não tem condições de arcar com o medicamento acho sim que deveria sim incorporar no SUS o zolgensma 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Considerado o medicamento mais caro do mundo , muitas famílias não tem condições de arcar com o medicamentos e nem com os custos 5ª - Não	
15/09/2022	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Uma medicação que tem o poder de mudar a vida de uma pessoa com certeza de e ser disponibilizada pelo SUS 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	
15/09/2022	Interessado no tema	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Queremos o Zolgensma, incorporado ao SUS, muitas crianças morrem por falta de uma medicação. 2ª - Não 3ª - Não 4ª - Não 5ª - Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
17/09/2022	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. É a única esperança pra família que tem portadores dessa doença terrível que é a AME. Por favor!!</p> <p>2ª - Já vi evolução notável de criança que usou esse medicamento.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
19/09/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS. Da forma que foram apresentados os resultados dos estudos e incorporação para pacientes até 2 anos, levando em consideração ao grande impacto econômico, não deve ser incorporado. Sugiro reavaliar a incorporação para pacientes até 6 meses de idade que apresentam resultados mais consistentes.</p> <p>2ª - Por se tratar de uma doença rara o número de pacientes incluído nos estudos tende a ser baixo e a qualidade das evidências ser penalizada.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - O instituto de promoção da saúde pública do Reino Unido, o Nice, recomendou o uso de onasemnogene abeparvovec e promove o acesso de pacientes com desconto simples (https://www.nice.org.uk/guidance/hst15)</p>	
20/09/2022	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Onasemnogeno abeparvoveque, uma terapia gênica de dose única, atua na causa raiz da doença, com durabilidade em longo prazo. A terapia altera o curso natural da AME, com potencial de eliminar a necessidade de administração crônica de outros tratamentos modificadores da doença.</p> <p>2ª - Os pontos relacionados a evidência clínica serão formalizadas em uma outra contribuição à Consulta Pública nº58 até o final do período. Reforçamos aqui o perfil de eficácia da terapia: SLE de 91%-100%, 73-96% com CHOP-INTEND > 40 pontos, 96% ganharam pelo menos 4 pontos na escala CHOP-INTEND.</p> <p>3ª - Os pontos relacionados a avaliação econômica serão formalizadas em uma outra contribuição à Consulta Pública nº58 até o final do período. O modelo de custo-efetividade apresentado pela Novartis foi o mesmo utilizado para avaliação de outras agências de ATS com renome internacional.</p> <p>4ª - Os pontos relacionados ao impacto orçamentário serão formalizadas em uma outra contribuição à Consulta Pública nº58 até o final do período. Em linha com as discussões da plenária da CONITEC, a Novartis apresentará diferentes cenários, aplicando novas taxas para as principais premissas de cálculo.</p> <p>5ª - A Novartis continua disposta a construir soluções sustentáveis junto ao Ministério da Saúde e reforça o compromisso com o sistema de saúde brasileiro, através da atualização da proposta de compartilhamento de risco.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
20/09/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Essa medicação vai trazer qualidade de vida para muitas crianças .</p> <p>2ª - Sim, vejo na prática os benefícios dessa medicação para crianças que já usaram.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - A qualidade de vida que essa medicação traz não tem preço.</p> <p>5ª - Não</p>	
20/09/2022	Interessado no tema	<p>1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS. Impacto orçamentário muito alto, há alternativas disponíveis e incerteza se paciente continuará tratamento após o onasemnogeno com risdiplam ou nusinersena.</p> <p>2ª - Evidências promissoras numa área em que é difícil ter ensaios clínicos robustos.</p> <p>3ª - Razão de custoefetividade elevada em relação a alternativas que podem ser consideradas boas.</p> <p>4ª - Impacto orçamentário muito elevado, infelizmente, para tratar poucos pacientes que já contam com alternativas no SUS.</p> <p>5ª - Não</p>	
21/09/2022	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>	
21/09/2022	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>	
22/09/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Terapia gênica de uso único com resultados clínicos sem precedentes.</p> <p>2ª - As evidências foram demonstradas em diversos estudos pivotais e de vida real em diversos países do mundo.</p> <p>3ª - O medicamento já foi incorporado nas principais agendas de ATS do mundo.</p> <p>4ª - O IO é aceitável para o benefício trazido pelo medicamento.</p> <p>5ª - Não.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
23/09/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Várias crianças que receberam o tratamento com Zolgensma tiveram excelente resposta, muito melhor que a resposta vista com os demais medicamentos modificadores da doença, e em período mais rápido</p> <p>2ª - Há artigos com casuística de vida real, 76 pacientes da Alemanha e 21 crianças australianas, que tiveram melhor resultado que os pacientes com outros medicamentos modificadores da doença</p> <p>3ª - Os pacientes tratados precocemente têm desenvolvimento normal, não necessitando de terapias e nem equipamentos de suporte a vida, além de terem menos intercorrências e internamentos</p> <p>4ª - A terapia genica incluída ao SUS, proporcionará redução no custo total do tratamento, pagando menos pelo medicamento, sem custo judicial e melhor ganho de força e qualidade de vida para os pacientes com o tratamento precoce</p> <p>5ª - Gostaria de enviar a evolução clínica de alguns dos 49 pacientes tratados com Zolgensma que estão em acompanhamento em nosso serviço</p>	
23/09/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Acredito que sendo incorporado ao SUS, o medicamento possa ter um preço até menor pro governo, já que seria comprado em quantidade. Acredito também que, pelo tempo limite de tratamento pra criança, seria muito mais benéfico já ter disponível o medicamento no Brasil.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
25/09/2022	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>	
26/09/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS. Trata-se de medicamento com eficácia comprovada, porém perfil sério de efeitos adversos e altíssimo custo benefício o qual impactaria negativamente nas contas do sistema único de saúde em detrimento ao tratamento de diversas pessoas.</p> <p>2ª - Perfil de efeitos colaterais como reações flu-like e hepatopatia grave.</p> <p>3ª - Custo elevadíssimo do tratamento</p> <p>4ª - Sim, elevado custo benefício com oneração excessiva ao SUS</p> <p>5ª - Não</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
28/09/2022	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>	
28/09/2022	Interessado no tema	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Devido acompanhar crianças que já fizeram uso da medicação e seu desenvolvimento e evolução visíveis após o uso.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
28/09/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A terapia com Zolgensma™ deve ser uma três opções disponíveis para os pacientes com critérios clínicos previstos na bula aprovada pela Anvisa. Nenhum fármaco é melhor que o outro, pode existir um fármaco que esta mais adequado para a situação clínica particular do paciente.</p> <p>2ª - Com a terapia com Zolgensma®, as crianças tem tido um avanço importante na aquisição dos seus marcos motores, quanto mais precoce mais perto da idade habitual de aquisição. A função motora em crianças presintomáticas é incrível. A hepatotoxicidade pode ser controlada com o uso de prednisolona.</p> <p>3ª - Apesar de assegurar resultados extraordinários, é uma terapia de elevado custo. Estudos apontam que é uma estratégia custo-efetiva para crianças de até 2 anos de idade, em comparação com o uso crônico de outras estratégias como o Risdiplan® e o Spinraza.</p> <p>4ª - Tendo em vista a aprovação da triagem neonatal de AME tipo 1 5q no SUS, é de se esperar que o tratamento precoce com dose única do Zolgensma® irá impactar positivamente no orçamento, levando-se em consideração que haverá redução de custos de internações e de terapias complementares.</p> <p>5ª - Sob meus cuidados, três crianças foram tratadas com Zolgensma®. Todas estavam em uso de Spinraza® que foi suspensa após a terapia genica. Seguindo a recomendação da bula, todas receberam prednisolona (dois deles por 60 dias e um por 103 dias). A evolução clínica delas está de acordo com os estudos.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
28/09/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Trata-se de terapia gênica que utiliza o adenovirus associado como vetor para carrear o gene SMN1 ao paciente que tem a AME 5q, mantendo este material genético em um epissomo. É uma forma de terapia que de forma sistêmica, permite ao indivíduo com AME produzir a proteína SMN.</p> <p>2ª - É eficaz, com dados disponíveis de 5 anos de seguimento, demonstrada no quesito sobrevida e em evitar ventilação permanente, e permitindo alcance de marcos motores antes não vistos. Depois da aprovação de outras terapias modificadoras da doença, não seria justificável um estudo controlado randomizado</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - As evidências mundiais mostram que melhor janela terapêutica é a mais precoce possível. Estes motivaram NICE e CADTH nas suas recomendações., Sem dúvida a possibilidade de benefício com uma única aplicação do princípio ativo é bastante atraente. Acompanhamento de longo prazo fundamental.</p>	
29/09/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. É uma doença grave, que não havia medicação para tratamento e que agora, temos a evidência da eficácia de um medicamento que pode mudar o prognóstico e qualidade de vida dessas crianças.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	
29/09/2022	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 - Não</p>	
30/09/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. melhora da sobrevida dos pacientes acometidos pela doença, melhora da qualidade de vida e dependência destes pacientes.</p> <p>2ª - os paciente submetidos ao tratamento com este medicamentos, nos estudos apresentados, deixaram o uso de gastrostomia e também independência ventilatória, adquiriram controle cefálico e de tronco.</p> <p>3ª - não.</p> <p>4ª - não.</p> <p>5ª - não.</p>	

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição	Anexos
30/09/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS. AME é doença de difícil diagnóstico, certamente o acesso a essa terapia ficaria muito restrito a grandes centros, sobretudo por questões logísticas, de distribuição, armazenamento e treinamento de equipes.</p> <p>2ª - A tecnologia em questão é ainda mais onerosa, apesar de tantas incertezas relacionadas à eficácia clínica apontadas no relatório.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Existe opção de tratamento disponível, a qual já incorre em grande impacto orçamentário para o SUS, devido à alta razão de custo efetividade. Essa Conseguir extrapolar qualquer eficiência alocativa.</p> <p>5ª - Não</p>	
30/09/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. O SUS é universal e precisa atender às necessidades dos pacientes.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>	