

## Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Alfagalsidase para o tratamento da doença de Fabry clássica em pacientes a partir dos sete anos de idade - Conitec

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
12/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Como médico prescriptor da terapia de reposição enzimática para Fabry sugiro reconsiderar a decisão de não incorporação tendo em vista os seguintes pontos abaixo relacionados nas evidências clínicas</p> <p>2ª - - Reavaliar as evidências de Fabry a semelhança das outras doenças de Depósito Lisossômico (Pompe, Gaucher e mucopolissacaridose) e neste contexto avaliar as evidências incluindo Dados de Vida Real. , - Grande parte do volume do conhecimento de Fabry foi</p> <p>3ª - #NOME?</p> <p>4ª - Deve-se enfatizar que hoje os valores gastos com a incorporação seriam menores que os valores já gastos com a judicialização. A incorporação da TRE seguindo protocolos clínicos traria mais segurança e previsibilidade para o SUS e melhor acesso a terapia para pacientes e profissionais de saúde</p> <p>5ª - --</p>
12/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Acho que a incorporação deve ser feita pela notável melhora da sintomatologia, pela parada da progressão da doença, notadamente em relação a função renal e pelo grande ganho de qualidade de vida do paciente portador de Doença de Fabry.</p> <p>2ª - Tenho 12 pacientes portadores, aos quais acompanho desde 2012. A melhora dos sintomas a partir do momento em que começaram a TRE com alfagalsidase é notável.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
13/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Doença de Fabry evolui, entre outros, com necessidade de hemodiálise. O tratamento com a medicação retarda a progressão da doença renal crônica com o uso PRECOCE.</p> <p>2ª - Aumento de sobrevida dos pacientes, Aumento de sobrevida do rim transplantado,</p> <p>3ª - Pacientes FORA de hemodiálise, sem necessidade de transplante renal (e de seu acompanhamento, com múltiplas internações).</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Acompanhamos pacientes em hemodiálise e transplantados. É doença que acomete familiares (ou seja: facilmente diagnosticável e tratado precocemente PELO MENOS nos familiares...). Pessoas com futuro CERTO de terapia dialítica que conseguiriam controle de doença e não evolução para perda de função renal</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
15/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Tratamento reduz significativamente as morbidades e garante qualidade de vida para pessoas com Doença de Fabry.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
16/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. É importante a incorporação para que os pacientes tenham melhor continuidade no tratamento, com a demanda judicial atualmente os pacientes ficam sem receber a medicação adequadamente, isso impacta na qualidade de vida deles, visto que o tratamento apresenta melhora dos sintomas que a doença causa.</p> <p>2ª - Pacientes em uso de medicação apresentam melhora da qualidade de vida relacionado a dores nas extremidades , relatam que exames de proteinuria alterado antes do tratamento iniciar, regularizou ou obteve melhora após inicio da medicação, se sentem encorajados por estarem se tratando adequadamente</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Atualmente a medicação em questão encontra caminhos difíceis de acesso ao paciente, muitos ficam meses sem o remédio por conta de ordem judicial, a incorporação pode ser o fim desta condição que trás tanta incerteza e desmotivação aos pacientes que aguardam pelo tratamento correto e contínuo</p>
16/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Pacientes com doença de Fabry que fazem reposição enzimática apresentam estabilização da doença, com melhora da sobrevida e qualidade de vida desses pacientes, além de gerarem menores gastos para o sistema de saúde em virtude de suas complicações</p> <p>2ª - Estabilização da função renal, diminuição da massa ventricular esquerda, diminuição dos sintomas de acroparesias, epigastralgia</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Tenho pacientes que realizam tratamento para a doença de Fabry e é claro para mim quais são os benefícios da medicação. Trata-se de uma grande perda a mesma não estar presente no SUS. Os pacientes realmente necessitam da reposição enzimática.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
20/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Pac 25 anos, 3 filhos pequenos. Parou de trabalhar devido sintomas relacionados a Doença. Muita dificuldade financeira. Foi realiz. Biópsia Renal com o Diagnóstico Dça de Fabry. Pra conseguir a Galactosidade demorou + 1 ano. Foi iniciado a Dialise! Se iniciado tto antes não teria perdido os Rins</p> <p>2ª - Com o diagnóstico e tratamento precoce muitos não morreriam de obstruções arteriais e nem perdas da Função Renal.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
20/12/2022	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Minha filha e minha esposa, Necessitam para sobreviver.</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
20/12/2022	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>
20/12/2022	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>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
21/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Trata-se de uma doença rara, subdiagnosticada, multissistêmica, com prejuízo importante e diminuição da sobrevida. A terapia de reposição enzimática com replagal além de melhorar sintomas, retarda progressão da doença e melhora a sobrevida</p> <p>2ª - Acompanho uma família com fenótipo clássico da doença com acometimento multissistêmico (cardíaco, renal, neurológico, dermatológico) que vem em tratamento com replagal, desde 2017, com retardo da progressão dos sintomas, melhora dos sintomas principalmente dor neuropática e nos níveis LysoGb3</p> <p>3ª - Por ser uma medicação que melhora sobrevida, progressão da doença e melhora dos sintomas e qualidade de vida, ocorre uma prevenção quanto a necessidade de terapias mais caras como a dialítica além de internamentos/reabilitação</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - De forma profissional vejo uma melhora importante com a medicação poucos efeitos colaterais referentes a infusão, melhora na qualidade de vida, progressão da doença e nos níveis lyso gb3 (biomarcador)</p>
22/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS. Desfavorável a incorporação no SUS de Alfacalsidase para o tratamento da doença de Fabry clássica em pacientes a partir dos sete anos de idade.</p> <p>2ª - Em anexo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
22/12/2022	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Almejando contribuir com o processo de tomada de decisão e a fim de esclarecer os pontos de dúvidas levantados em plenária e no relatório publicado no site da Conitec, seguem as ponderações divididas por temas.</p> <p>2ª - Em anexo encontra-se toda a descrição da revisão de literatura feita para seleção do estudo de utilidade (Connock, 2006), assim como um documento de avaliação de risco de viés dos estudos inseridos na submissão (ROBINS-I) e Connock (AMSTAR-2).</p> <p>3ª - Em anexo encontra-se uma análise de sensibilidade que proporciona maior confiabilidade à análise econômica.</p> <p>4ª - Em anexo encontra-se a análise de impacto orçamentário considerando as medianas de peso conforme proporção de idade do IBGE, seguindo a sugestão do relatório técnico.</p> <p>5ª - Ao comparar o custo atual de tratamento dos 217 pacientes mencionados em plenária, estima-se que sejam gastos cerca de 88M de reais. Com o preço proposto nesta submissão, os mesmos 217 pacientes custariam 65M, representando uma redução de 25% no IO ou tratar 75 pacientes a mais com os mesmos 88M.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
22/12/2022	Empresa	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A Sanofi é favorável à incorporação de TRE, porém a CONITEC deve considerar que existem duas terapias de reposição enzimática aprovadas pela ANVISA e que a beta-agalsidase na dose de 1mg/kg está associada à melhor controle e possíveis desfechos clínicos da doença. Contribuição completa em anexo.</p> <p>2ª - A beta-agalsidase tem sido proposta como tratamento de 1ª linha para homens de fenótipo clássico sem atividade enzimática residual, devido benefício na dose aprovada em bula ser significativamente mais efetiva que a alfa-galsidase para reduzir os níveis de Liso-Gb3 em pacientes clássicos. Vide anexo.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Nossa contribuição completa encontra-se no anexo da presente contribuição.</p>
22/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A terapia de reposição enzimática representa terapêutica modificadora de doença que transformou a história natural tão grave vivenciada pelos pacientes com doença de Fabry. Houve historicamente modificação evidente quanto a desfechos cardíacos, renais e também neurológicos.</p> <p>2ª - Não há na atualidade nenhuma justificativa clara para que os pacientes com doença de Fabry não tenham acesso dentro do sistema público de saúde a uma ou mais terapias modificadoras de doença, como terapias de reposição enzimática ou de chaperonas. Não é aceitável apenas o tratamento sintomático.</p> <p>3ª - Pacientes com doença de Fabry demandam dos sistemas de Saúde ampla necessidade de cuidados em múltiplas terapias caso ocorra comprometimento multissistêmico pela falta de tratamento, como necessidade de terapia renal de substituição, transplante renal, transplante cardíaco, reabilitação motora, etc.</p> <p>4ª - Não.</p> <p>5ª - Não.</p>
22/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Medicação que pode ajudar muitos pacientes, com melhora em qualidade de vida e redução de 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
23/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A doença de Fabry é de natureza progressiva. Na ausência de tratamento, a expectativa de vida é reduzida em 20 anos nos homens e em 15 anos nas mulheres. Com a terapia de reposição enzimática é possível aumentar a expectativa e a qualidade de vida dos indivíduos afetados.</p> <p>2ª - Há evidências robustas de que a terapia de reposição enzimática evita a evolução da doença, preservando as funções renal e cardíaca e reduzindo o risco de AVC</p> <p>3ª - O gasto com o tratamento é menor que o gasto com hemodiálise, transplante renal ou cardíaco, ou reabilitação pós-AVC, sem falar que os indivíduos tratados continuam economicamente ativos, ao contrário dos nefropatas, cardiopatas e encefalopatas que têm que se afastar de suas funções laborais</p> <p>4ª - Trata-se de uma doença rara, O impacto orçamentário será pequeno em comparação com os gastos com as consequências e complicações para o indivíduo e sua família</p> <p>5ª - Não</p>
24/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. ACOMPANHEI 4 PACIENTES DA MESMA FAMÍLIA ( IRMÃOS ) com doença de Fabry nos últimos 10 anos. Três deles recebem reposição com alfa-galactosidase e apresentam função renal preservada. O único que não recebeu a reposição foi submetido a transplante renal , hemodiálise e faleceu pela DRC</p> <p>2ª - O relato acima refere se a 4 adultos jovens , e a reposição com alfa-galactosidase vem mantendo 3 adultos jovens produtivos e vivos.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
26/12/2022	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
26/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Doença órfã com poucas opções terapêuticas- medicação com boa eficácia, risco baixo e custo embora elevado, evita inúmeras complicações e prolonga sobrevida dos pacientes, que certamente iriam para estágio terminal ou necessitar de transplante cardiaco/renal</p> <p>2ª - Hughes D, Linhart A, Gurevich A, Kalampoki V, Jazukeviciene D, Feriozzi S, FOS Study Group. Prompt Agalsidase Alfa Therapy Initiation is Associated with Improved Renal and Cardiovascular Outcomes in a Fabry Outcome Survey Analysis. Drug Des Devel Ther. 2021 Aug 16, 15:3561-3572. doi: 10.2147/DDDT.S31</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Cybulla M, Nicholls K, Feriozzi S, Linhart A, Torras J, Vujkovic B, Botha J, Anagnostopoulou C, West ML, FOS Study Group. Renoprotective Effect of Agalsidase Alfa: A Long-Term Follow-Up of Patients with Fabry Disease. J Clin Med. 2022 Aug 17, 11(16):4810. doi: 10.3390/jcm11164810. PMID: 36013057, PMC</p>
27/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS. O baixo nível de evidências, e excesso de viés nos estudos, metanálises e dossiê, na minha visão inviabiliza a incorporação</p> <p>2ª - Apesar do baixo quantitativo populacional estudado, na minha visão as evidências são de baixa qualidade e inclusive inferiores a outros medicamentos para essa mesma indicação. Baseado nos estudos apresentação não é possível provar desfechos importantes na interação medicamentosa em questão</p> <p>3ª - Avaliação com viés claro, visto que a avaliação de microcusteio não é similar a avaliação de custos unitários. Não existem evidências publicadas de mediana de peso de pacientes com Fabry no Brasil. Por ser uma medicação peso/mg, ter pacientes adultos com média de 43kg é algo questionável.</p> <p>4ª - Há uma grande variabilidade no impacto orçamentário, em virtude do peso/mg de uso por paciente. Deveria ser mencionado no dossiê uma avaliação de proporção de peso mediano da população brasileira ou elegível.</p> <p>5ª - Um produto que possui negativas no Canadá, e não possui processos de ATS, em países como Reino Unido, Escócia e Austrália. , Não é plausível a incorporação de uma medicação de altíssimo custo, com baixo nível de evidências em detrimento de outras doenças crônicas com maior prevalência no Brasil</p>
27/12/2022	Interessado no tema	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. , Sem o medicamento disponível no SUS, apenas é ofertado os tratamentos com o avanço da DOENÇA, como Hemodiálise que com essa doença rara atingem toda família...</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
27/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Como assistente social que trabalha diretamente com pacientes renais crônicos, evidencia-se a urgência do fornecimento do medicamento pelo SUS, uma vez que o não tratamento da doença acarreta do tratamento através de hemodiálise, desencadeando inúmeras limitações ao paciente e que poderiam ser evita</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
29/12/2022	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>
30/12/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. MINHA OPINIÃO, BASEADA NA EXPERIENCIA DE ACOMPANHAMENTO DE MUITOS PACIENTES PORTADORES DE DOENÇA DE FABRY, É PELA INCORPORAÇÃO DA TERAPIA DE REPOSIÇÃO ENZIMATICA PELO SUS. SABEMOS DOS IMPACTOS NEGATIVOS ASSOCIADOS A AUSENCIA DE TRATAMENTO PARA AQUELES PACIENTES COM FABRY QUE TEM INDICAÇÃO DE TERAPIA</p> <p>2ª - POR SER UMA DOENÇA RARA, NUNCA TEREMOS EVIDENCIAS CIENTIFICAS ROBUSTAS SOBRE O TRATAMENTO, POREM BASEADO NA MINHA EXPERIENCIA PESSOAL E NAS EVIDENCIAS DISPONIVEIS EM LITERATURA, OS BENEFICIOS DO TRATAMENTO SÃO IMENSURÁVEIS. CABE AQUI SALIENTAR QUE NEM TODOS OS PACIENTES NECESSITAM DO TRATAMENTO.</p> <p>3ª - DEVEMOS AVALIAR O CUSTO COMPARANDO A INCORPORAÇÃO DA MEDICAÇÃO EM DETRIMENTO DAQUELES PACIENTES NÃO TRATADOS QUE EVOLUEM COM SEQUELAS GRAVES. O IMPACTO DO NÃO TRATAMENTO SUPLANTA O CUSTO DA TERAPIA DE REPOSIÇÃO ENZIMATICA. DIALISE, APOSENTADORIA PRECOCE, AVC E ACOMETIMENTO CARDIACO SÃO EXEMPLOS.</p> <p>4ª - O IMPACTO CONFORME ESCREVI ACIMA DEVE SER LEVADO EM CONTA COMPARANDO-SE A INCORPORAÇÃO COM A PESSIMA EVOLUÇÃO DAQUELES PACIENTES COM INDICAÇÃO DE TERAPIA E QUE ACABAM NÃO SENDO TRATADOS. OUTRO PONTO IMPORTANTE É QUE A JUDICIALIZAÇÃO DA DROGA TRAZ IMPACTOS AINDA MAIORES EM COMPARAÇÃO COM INCORPORAÇÃO</p> <p>5ª - É NITIDA A MELHORA CLINICA DOS PACIENTES QUE INCIAM A TERAPIA DE REPOSIÇÃO ENZIMATICA, POR ISSO SOLICITO A AVALIAÇÃO GLOBAL DO PROBLEMA, NÃO SE ATENDO APENAS AO CUSTO DA DROGA. MUITOS OUTROS CUSTOS (SOCIAIS, PSICOLOGICOS, ETC) ESTÃO EMBUTIDOS NO UNIVERSO DOS PACIENTES COM DOENÇA DE FABRY.</p>