

Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Hidroxiureia tratamento pacientes doença falciforme (SS, Sbeta0 e SD Punjab), entre 9 e 24 meses de idade - Conitec

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
08/01/2024	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A doença falciforme é de alta prevalência entre a população mais carente do Brasil, é uma doença debilitante e que frequentemente leva a morte das pessoas precocemente. A hidroxiureia é uma droga modificadora da história natural da doença e que melhora significativamente a qualidade de vida e expectativa de vida dos pacientes. Alguns estudos têm demonstrado que o produto é seguro para ser utilizado em bebês a partir de 9 meses de vida, e o tratamento de início precoce traz mais qualidade de vida e melhora os desfechos clínicos. 2ª - não 3ª - A hidroxiureia diminui a frequência das crises vaso-oclusivas, reduz o tempo de internação dos pacientes, reduz o uso de opióides e outros medicamentos, promovendo uma redução de custos para o SUS, ao final de toda avaliação. 4ª - não 5ª - não
09/01/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. É um tratamento importante para pessoas portadoras de Anemia Falciforme, que pode contribuir na saúde dessa população 2ª - . 3ª - . 4ª - . 5ª - .

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
09/01/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Meu filho tem 1 ano e 9 meses e tem anemia falciforme (SS). Ele ainda não faz uso da Hidroxiureia porque não se enquadra nos requisitos de gravidade ou progressão da doença, para que possamos entrar com o pedido do medicamento da farmácia de alto custo. A Hidroxiureia é um medicamento caro e precisa pego em farmácias de alto custo pelo SUS. Todos os hematologistas com os quais o meu filho já passou por consulta explicam que a Hidroxiureia é extremamente benéfica para o controle da doença e preservação de órgãos, principalmente nessa fase dos bebês. Espero muito que meu filho possa fazer o uso do medicamento logo. 2ª - Sim. A Hidroxiureia é extremamente benéfica para o controle da doença e preservação de órgãos, principalmente nessa fase dos bebês. Eles estão muito sucessíveis as crises de sequestro esplênico do baço, um quadro muito grave (que pode levar a morte), e o medicamento pode evitar e reduzir a ocorrência desse quadro. 3ª - "A Hidroxiureia é um medicamento caro e de uso contínuo. Muitas famílias não tem condições de comprar. , E que tem como comprar, pode correr alguns riscos: não ter recursos financeiros no futuro. Porém, o paciente estará com boas taxas pelo uso do medicamento e não vai se enquadrar nos requisitos do SUS para as farmácias de alto custo. Resumindo: não terá dinheiro para comprar o remédio e estará ""saudável demais"" para o SUS." 4ª - Os pacientes de falciforme tem mais gastos com saúde: medicação, suplementação, exames contínuos, deslocamentos para os centros de referência. Infelizmente, muitos pacientes de falciforme estão longe dos grandes centros e longe da assistência médica, o que deixa o gasto com os cuidados muito alto. 5ª - Liberem a Hidroxiureia para o tratamento de pacientes com doença falciforme (SS, Sbeta0 e SD Punjab), entre 9 e 24 meses de idade, sem sintomas. Vocês podem salvar a vida de muitas crianças.
12/01/2024	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A Doença Falciforme é uma patologia genética e hereditária caracterizada pela alteração da morfologia da hemácia que resulta em hemólise precoce e fenômenos vasooclusivos. A morbimortalidade está aumentada nesta população, bem como uma redução importante na qualidade de vida. A Hidroxiuréia é a única medicação oral disponível para o tratamento desta doença e com resultados já bem consolidados quanto eficácia e segurança, mesmo na população pediátrica. 2ª - A HU é a primeira medicação que deve ser utilizada no tratamento da doença falciforme, associada a prevenção/tratamento precoce de infecções. O uso precoce da HU previne complicações crônicas futuras, melhora qualidade de vida e sobrevida desta população 3ª - A relação custo/benefício é favorável para o uso de HU 4ª - não 5ª - não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
12/01/2024	Empresa	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. levantamos um ponto a ser considerado nessa incorporação. Além dos pacientes com doença falciforme SS, Sbeta0 e SD-Punjab, as crianças com doença falciforme Sbeta+ graves (aquelas com hemoglobina A abaixo de 10%, tais como os subtipos moleculares IVS-I-110 G>A, IVS-I-5 G>C e IVS-I-5 G>A presentes na população brasileira) também se comportam clinicamente como SBeta0 (Oliveira EL et al. Clinical, laboratory, and molecular characteristics of a cohort of children with hemoglobinopathy S/beta-thalassemia. Hematol Transfus Cell Ther. 2023 Dec 19:S2531-1379(23)02598-1. doi: 10.1016/j.htct.2023.11.002, Viana MB et al. Severe clinical picture in a cohort of six Brazilian children with hemoglobin Sβ-thalassemia IVS-I-5 G>A. Blood Cells Mol Dis. 2024 Jan, 104:102795. doi: 10.1016/j.bcmd.2023.102795, Belisário AR et al. Hb S/β-Thalassemia in the REDS-III Brazil Sick Cell Disease Cohort: Clinical, Laboratory and Molecular Characteristics. Hemoglobin. 2020 Jan, 44(1):1-9. doi: 10.1080/03630269.2020.1731530). Portanto, entendemos que o tratamento com Hidroxiureia deva ser para pacientes com doença falciforme (SS, Sbeta0, SD Punjab e Sbeta+ grave) entre 9 e 24 meses de idade sem sintomas e complicações, conforme recente literatura brasileira publicada e anexada a esta contribuição. 2ª - O impacto positivo que o uso da hidroxiureia tem na morbidade, qualidade de vida e mortalidade do paciente com doença falciforme já foi vastamente demonstrado. Além disso, o uso precoce da hidroxiureia a partir de 9 meses de vida, independente da sintomatologia do paciente, pode evitar as complicações da doença em longo prazo, mostrando ser custo-efetiva em relação ao não tratamento medicamentoso., , Estamos de acordo com as evidências clínicas utilizadas., 3ª - "A ABHH coloca-se à disposição para contribuir de forma técnica e científica. , ," 4ª - A ABHH coloca-se à disposição para contribuir de forma técnica e científica. 5ª - Entendemos como adequada a avaliação realizada, os parâmetros escolhidos e os comparativos. Ressalto que custos indiretos como dias de trabalho perdidos (pacientes ou cuidadores), transporte, alimentação e insumos não estão aqui contabilizados., , , A busca por tecnologias comprovadamente eficazes, com resultado positivo na qualidade de vida das pessoas afetadas e que levam a economia devem ser enquadradas como prioridade e buscadas continuamente. ,
14/01/2024	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A doença falciforme e a doença genética mais comum no Brasil. conforme a idade aparecem sequelas que tem impacto na qualidade de vida e com alto grau de hospitalização e sequelas graves.Sabidamente a hidroxiureia diminui estas sequelas e melhora a qualidade de vida 2ª - Já estão anexadas 3ª - O impacto para a população ativa e imensurável.Alem de diminuir custo com a saúde, teremos uma população economicamente ativa e trabalhando,e principalmente com qualidade de vida 4ª - Vide resposta anterior 5ª - Nao

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
15/01/2024	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A Doença falciforme é uma doença de alta morbimortalidade. Ela cursa com quadro de hemólise intravascular, estado inflamatório crônico, vasculopatia proliferativa, hipercoagulabilidade, levando a uma série de complicações crônicas e agudas. Dentre as agudas: infecções, Síndrome torácica aguda, AVC, sequestro esplênico, priapismo, anemia. E as crônicas: danos em órgãos alvo, levando a redução do tempo de sobrevida., O único medicamento capaz de modificar a história natural da doença disponível é a Hidroxiúrea Ela tem ação sobre a indução da síntese de hemoglobina fetal, redução da hemólise, aumento da liberação de óxido nítrico (NO), redução da contagem de leucócitos, reticulócitos e plaquetas, redução da interação entre eritrócitos e endotélio. , O estudo do BABY HUG, publicado no Lancet em 2011, mostrou a redução de eventos a partir dos 9 meses de vida e com baixa toxicidade. , Um estudo publicado em 2022 na European Journal Hematology, analisou o uso da HDU na faixa pediátrica por 10 anos, em crianças acima de 9 meses, mostrando sua eficácia e viabilidade, justificando o uso mesmo em pacientes assintomáticos. , A redução de eventos agudos, internações, necessidade transfusional e complicações a longo prazo que podem levar a incapacidades e mortalidade precoce, justifica o uso precoce da medicação para a prevenção e tratamento da doença falciforme em todos os pacientes acima de 9 meses, mesmo que assintomáticos. , 2ª - Referência: Eur J Haematol 2022 Nov, 109(5):465-473. doi: 10.1111/ejh.13827. Epub 2022 Sep 2., Ten-year longitudinal analysis of hydroxyurea implementation in a pediatric sickle cell program, Vivian Phan 1, Ju Ae Park 2, Robin Dulman 1, Angela Lewis 1, Noravy Briere 1, Bailey Notarangelo 1, Elizabeth Yang 1 3, PMID: 35811388 DOI: 10.1111/ejh.13827, , Pediatr Blood Cancer 2019 Sep, 66(9):e27816. doi: 10.1002/pbc.27816. Epub 2019 Jun 3., Prospective longitudinal follow-up of children with sickle cell disease treated with hydroxyurea since infancy, Ronay Thomas 1, Robin Dulman 1 2, Angela Lewis 1, Bailey Notarangelo 1, Elizabeth Yang 1 2 3, PMID: 31157521 DOI: 10.1002/pbc.27816, , Lancet 2011 May 14, 377(9778):1663-72. doi: 10.1016/S0140-6736(11)60355-3., Hydroxycarbamide in very young children with sickle-cell anaemia: a multicentre, randomised, controlled trial (BABY HUG), Winfred C Wang 1, Russell E Ware, Scott T Miller, Rath V Iyer, James F Casella, Caterina P Minniti, Sohail Rana, Courtney D Thornburg, Zora R Rogers, Ram V Kalpatthi, Julio C Barredo, R Clark Brown, Sharada A Sarnaik, Thomas H Howard, Lynn W Wynn, Abdullah Kutlar, F Daniel Armstrong, Beatrice A Files, Jonathan C Goldsmith, Myron A Waclawiw, Xiangke Huang, Bruce W Thompson, BABY HUG investigators, PMID: 21571150 PMID: PMC3133619 DOI: 10.1016/S0140-6736(11)60355-3 3ª - Impacto na redução de complicações a curto e longo prazo, internamentos, mortalidade. , Aumento a vida útil, redução da necessidade de afastamento da escola e do trabalho por melhora da qualidade de vida. 4ª - não 5ª - não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
15/01/2024	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Doença Falciforme é associada com significativo risco de morbidade e mortalidade precoce. Avanços com a triagem neonatal, profilaxia com penicilina, vacinações contra pneumococo e cuidado integral tem melhorado a sobrevida em crianças com doença falciforme. O uso de Hidroxiuréia (HU) tem se mostrado efetivo em reduzir frequência de crise vasclusiva (VOC) Síndrome torácica aguda (STA), frequência de transfusões (TX) e morte em múltiplos estudos randomizados controlados inclusive em crianças lactentes como visto no estudo Baby-Hug., NHLBI liberou novo guideline em 2014 onde recomenda HU para uso disseminado nas crianças acima de 09 meses, independente do grau de severidade da doença para reduzir complicações relacionadas a doença, após vários estudos publicados mostrando o impacto na prevenção das lesões orgânicas quando início precoce. Importante salientar que o início precoce do hidroxiuréia pode reduzir a carga de dor experimentada pela criança ao longo da vida. (Dampier C, Ely B et al 2014), Estudos em andamento no centro de referência de Cincinnati desde 2014 avaliam o uso precoce de HU desde seis meses de vida e um dos aspectos já publicados mostra que crianças com doença falciforme tratadas com HU desde idade precoce tiveram performance cognitiva similar quando comparado com controles não afetados de mesma faixa etária. Recente meta-análise avaliando cognição em doença falciforme ao longo da vida, mostrou que crianças em idade escolar que não começaram precocemente HU tem redução significativa nos índices avaliados quanto a performance cognitiva. Quanto aos eventos adversos relacionados a uso da medicação são manejáveis uma vez que existe monitoramento laboratorial e são em geral de leve intensidade. Outro aspecto importante a ser mencionado é quanto a adesão ao tratamento, pois quanto maior a exposição ao medicamento maior é o aumento da Hb F, o que protege dos efeitos deletérios da vasculopatia falciforme, hemólise e stress oxidativo. 2ª - Crescentes indícios do fator neuroprotetor do HU começam a ser vistos, já que crianças lactentes e em idade pré escolar que não iniciaram HU quando comparados a seus pares não afetados tem crescente deficiências cognitivas reforçando o início precoce universal do uso de HU nas crianças com doença falciforme objetivando prevenir mais do que melhorar complicações a curto e longo prazo. (Karkoska K et al 2022, Knight LMJ, King AA et al 2021, Heitzer AM, Longoria J et al 2021), Outro aspecto importante a ser mencionado é que o uso crônico do HU é seguro quanto a toxicidade desde que monitoramento seja feito regularmente com realização de exames laboratoriais. Ainda quanto a segurança importante mencionar que vários trabalhos mostraram a ausência de efeitos mutagênicos e carcinogênicos relacionados ao uso de HU a longo prazo (Ware R et al 2021, Torous DK, Avlasevich S, et al 2023) 3ª - Com todos estes dados discriminados temos o desenvolvimento neuropsicomotor das crianças que começarão o uso precoce da HU não comprometido e assim seu desempenho escolar será adequado e a inserção social poderá ser realizada sem prejuízos cognitivos. A qualidade de vida será melhor do que outros pacientes que iniciaram uso tardio da HU, já que terão reduzidos eventos de CVO ou outras complicações agudas ou crônicas e impactará em menor grau de absenteísmo escolar. Seus pais terão menor ausência de dias de trabalho e isto terá impacto econômico. 4ª - Não 5ª - Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
15/01/2024	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. em anexo 2ª - em anexo 3ª - em anexo 4ª - em anexo 5ª - em anexo
27/12/2023	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A medicação é a única com alto grau de evidência científica na melhora do status performance e na sobrevida do paciente com doença falciforme 2ª - Evidências são visíveis no nosso cotidiano pois acompanhamos mais de 300 crianças sendo que muitas não podem fazer uso pela indisponibilidade da formulação de 100mg 3ª - O uso precoce nas crianças acima de 2 anos vai reduzir as crises vasooclusivas , reduzir a necessidade transfusional e consequentemente as idas ao hospital. 4ª - Redução das idas aos serviços de saúde e redução dos internamentos que geram, Custos para estado e consequentemente a união 5ª - Torcer para que seja liberada e iniciada distribuição para crianças
29/12/2023	Profissional de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A incorporação da medicação para esse público é de grande importância para avançarmos no tratamento da doença falciforme no país e reduzirmos ainda mais a morbimortalidade da doença. Isso devido aos benefícios em termos de qualidade de vida que a medicação proporciona aos pacientes que estão usando-a. Sabendo que algumas intercorrências da doença podem ocorrer bem cedo, faz-se mister a introdução do medicamento com opção terapêutica de forma precoce. 2ª - não. 3ª - O paciente tendo uma vida de qualidade desde a infância terá condições melhores de inserção escolar, aprendizado e, consequentemente, formação profissional. De forma a ter uma vida produtiva e independente de benefícios sociais, tendo condições de manter sua subsistência. 4ª - Com a garantia da qualidade de vida a esses pacientes haverá o impacto direto na redução de custos com intervenção em urgências, emergências e internações, bem como tratamento de maior complexidade devido as sequelas que a doença pode acarretar. 5ª - Devemos buscar ampliar e facilitar o acesso dos pacientes a essa medicação de suma importância ao tratamento. A distribuição do medicamento pelos hemocentros é um ponto a ser considerado nessa direção.