

Contribuições da Consulta Pública - Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas Hemoglobinúria Paroxística Noturna - Conitec

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
30/10/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
30/10/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Importante incorporação para os doentes com HPN.	Dados consolidados em benefício do uso.
30/10/2024	Interessado no tema	Muito boa		
30/10/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
30/10/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim	Incluir medicamentos que tem ação em C3, esse PCDT esta incompleto	Os Medicamentos que hoje o SUS dispõe tratam o mesmo paciente, os pacientes que falham a esse tratamento de C5 ficam sem opção. O PCDT deve contemplar medicamento que age em C3.
30/10/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Ficaria muito feliz se for aprovada a disponibilidade de sensor para meu filho de 9 anos com DM1	Com o sensor seria muito mais fácil para controlar a glicose do meu filho, principalmente na madrugada
30/10/2024	Profissional de saúde	Ruim	Os inibidores de C5 Eculizumabe e Ravulizumabe, são essencialmente inibidores de C5. No próprio texto, incluído aqui no Protocolo de PCDT, no que se refere a Hemólise Extra Vascular, se reconhece que em 25% a 50% dos pacientes tratados com Eculizumabe, devido à deposição de fragmentos de C3 na superfície das hemácias, que são fagocitadas por macrófagos no baço e no fígado. Essa, Hemólise Extra Vascular, pode reduzir os benefícios clínicos do medicamento e explica a presença de um teste de Coombs positivo para C3d em pacientes em uso de eculizumabe. Assim avaliando opções terapêuticas, é fundamental, que seja incluído no protocolo um inibidor de C3 e q hoje disponível no Brasil há a Pegecatoplana, medicamento que atua na Hemólise Intra e Extra vascular, controla os Níveis de HDL, promove o aumento de HB, reduz Reticulócitos, melhora a fadiga e é administrado via Subcutânea. Não podemos deixar de reconhecer a falha terapêutica provocada pelos inibidores de C5, precisamos ter a opção de tratamento.	Reforço, precisamos considerar a inclusão de opções terapêuticas no caso de falha de Eculizumabe, e neste momento dispomos no Brasil da Pegectacoplana, inibidor de C3 que trata a Hemólise Intra e Extra Vascular (Inclui no anexo, estudo Pegasus, comparando Pegecatoplana X Eculizumabe).
30/10/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
30/10/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
30/10/2024	Profissional de saúde	Boa		
31/10/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
31/10/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		Incorporar o ravulizumab é mais que fundamental para o tratamento adequado dos pacientes que sofrem dessa terrível patologia.
31/10/2024	Paciente	Muito boa	"Sim, gostaria de incluir informações no texto., 1. Página 12-13 - Terapias de suporte, Em uma pesquisa em outros artigos e páginas internacionais de hematologia, são citadas outras terapias de suporte inclusas para pacientes de HPN, como por exemplo é citado nesse artigo com diversas referências no Standard Therapies: https://rarediseases.org/rare-diseases/paroxysmal-nocturnal-hemoglobinuria/ como exemplo: fatores de crescimento artificiais (sintéticos), terapias imunossupressoras, fatores de crescimento, como o fator estimulador de colônias de granulócitos (G-CSF), tratamento com andrógenos, como o danazol. Essas terapias estimulam a medula óssea a produzir células vermelhas e brancas., , 2. Página 15 e 16, O tratamento com Eculizumabe e Ravulizumabe é indicado também para menores de 14 anos como mostram as seguintes referências, "" Tanto a alta prevalência de hemólise quanto o alto risco de trombose devem justificar o tratamento precoce com eculizumabe para pacientes pediátricos com HPN. """, https://doi.org/10.1182/blood.V116.21.2231.2231 , "" O ravulizumabe teve um perfil de segurança aceitável, sem novos sinais de segurança identificados, e proporcionou inibição imediata, completa e sustentada do complemento terminal, traduzindo-se em benefício clínico para pacientes pediátricos com HPN"" https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2023012267 , , 3. Página 18, vacinas disponíveis no CRIE, o que ficou confuso é que na tabela não especifica se essas vacinas também serão necessárias e atualizadas para os pacientes de HPN, se elas se tornaram vacinas obrigatórias como é o caso das vacinas de meningite e pneumonia. E também não cita a respeito de intervalos de reforço fora as vacinas de meningite e pneumo., , Página 20, Alguns exames ficaram faltando como funções hepáticas como bilirrubinas, TGO, TGP, FA. Em casos de exames muito alterados pode ser feita biópsia na medula óssea para verificar celularidade da medula."	Não, o texto ficou excelente.
31/10/2024	Interessado no tema	Boa		
31/10/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Fundamental a incorporação urgente do Ultomiris com objetivo de garantir um tratamento mais avançado, de melhor posologia (Soliris é realizado a cada quinze dias, o que encarece o sistema e limita a vida dos pacientes).	O tratamento com Ultomiris também consegue superar a hemólise de escape que ocorre em alguns pacientes portadores de HPN em uso de Soliris, ou seja, pode levar a uma resposta aprimorada sobre o próprio Soliris
31/10/2024	Paciente	Muito boa	Nao	"Gostaria muito que os ""doutos"" da lei tivessem empatia pelo sofrimento de nos pacientes que passamos quando nos falta medicação ou nao temos medicação adequada"
01/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
01/11/2024	Interessado no tema	Boa		
01/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Doença muito rara e grave, mas com tratamento confere uma boa sobrevida e melhora da qualidade de vida aos pacientes	
01/11/2024	Organização da Sociedade Civil	Muito boa		
01/11/2024	Interessado no tema	Boa		
01/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Possibilita adequado manejo para pacientes com quadro de HPN que não tem facilidade em controle de hemólise com Eculizumabe ou não tem fácil acesso ao serviço de saúde especializado.	
01/11/2024	Paciente	Muito boa	Estou muito feliz por saber que estamos aplicando recursos, tratamentos e consequentemente promovendo qualidade de vida a nós pacientes, principalmente aos menos favorecidos de recursos. , Tanto eculizumabe quanto ravulizumabe são as únicas opções terapêuticas existentes para tratamento da HPN, isso já deveria ter acontecido a muito tempo., Além de termos o direito a vida e a saúde, acho de grande valia terem incluído nessa preliminar as opções de vacinas indicadas para pacientes com deficiências do complemento, eu sofri de muita agonia, medo e insegurança quando iniciei meu tratamento com eculizumabe em 2022 já que nenhum médico queria me receitar vacinas contra pneumonia pré tratamento com o anticorpo, a maioria dos médicos não sabiam muito bem da doença, e mesmo quando tinha algum conhecimento, só indicava a vacina meningocócica, eu sabendo um pouco das bactérias encapsuladas por ter estudado biotecnologia, sabia que seria bom ter as vacinas pneumocócicas nas quais acabei não tomando.	Acredito que seja necessário explicar por qual motivo foi retirado terapias ou procedimentos antes existentes no SUS, como o caso da não incorporação da meningocócica B, que no meu caso, tomei antes de iniciar o tratamento.
01/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
01/11/2024	Profissional de saúde	Muito ruim	Liberação para menores de 14 anos e paciente acima de 10 kg	
01/11/2024	Interessado no tema	Muito boa	Hemina no SUS totalmente necessário.	Acho absurda a Hemina não estar no SUS. Uma medicação que determina a vida da pessoa e na falta dela a morte. É cara mas tem remédios muito mais caros que são incorporados no SUS. Não entendo o porque não está.
02/11/2024	Profissional de saúde	Ruim	Em bula esse medicamento pode ser usado em crianças acima de 10kg. Eles precisam entrar no PCDT	Apesar de mais raro temos crianças menores com o diagnóstico em nosso serviço
02/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
02/11/2024	Paciente	Muito boa	A qualidade de vida melhora e muito, não precisando me ausentar do trabalho ou da vida social e ir ao hospital ser medicado	Tomara que essa nova medicação seja aprovada
03/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
03/11/2024	Paciente	Muito boa	Os pacientes precisando ser mais bem atendidos, os profissionais não têm esclarecimento da Porfíria	Não temos acesso a medicamentos específicos, raros, muito caro
03/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
03/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
03/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
03/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	"Gostaria que fosse incluído no texto a possibilidade de utilização de doses maiores do que a dose padrão de manutenção de Eculizumabe em situações de hemólise de escape. , Gostaria que fosse alterado o critério de inclusão: ""Hemólise adquirida com teste de Coombs negativo (para pacientes virgens de, tratamento com anti-C5)"" , pois apenas a presença de hemólise sem repercussão em anemia mesmo com clone >10% não configura situação em que seja necessário a utilização de tratamento anti-C5., Sugiro a alteração do critério de interrompimento de tratamento: ""Redução de menos de 30% na necessidade de transfusões no primeiro ano de, tratamento, comparado ao período de um ano que precedeu o início do tratamento, "" uma vez que a necessidade transfusional pode ser multifatorial., Gostaria que fosse incluída a possibilidade de utilização de anticoagulantes orais diretos no tratamento anticoagulante em casos de trombose associada à HPN."	Gostaria de sugerir que fossem definidos centros de referências estaduais para acompanhamento dos pacientes com HPN, além da avaliação de novas prescrições de tratamento com Eculizumabe ou Ravulizumabe e para coleta de dados e pesquisa científica. Acredito também que deveria se definir uma distância máxima entre o domicílio do paciente e o local de infusão de tratamento anti-C5.
04/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		
04/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	População com uma doença rara, grave, que vai se beneficiar muito com uma política nacional de tratamento
04/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
04/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Indicação de tratamento em HPN subclínica durante a gestação	
04/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	O uso de ravulizumabe melhora a adesão, reduz vindas ao centro, menos hemólise de escape, controle mais rápido e mais eficaz do LDH e menor número de transfusões. Só tem a trazer benefícios	Não
04/11/2024	Paciente	Boa		
04/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Gostaria de ressaltar a importância na adesão ao tratamento com o aumento do intervalo das doses quando se compara o ravulizumabe com o eculizumabe. Isso proporcionará melhor resposta pelos pacientes, obviamente, bem como possibilitará ao paciente com HPN novas possibilidades de qualidade de vida.	Não
05/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Tamanho de clone não é necessário para definir indicação de tratamento para HPN	
05/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não tenho sugestão para alterar	Sem comentários adicionais
05/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
05/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
05/11/2024	Profissional de saúde	Boa	Na revisão sobre classificação da HPN, importante ressaltar que clones tipo I, II e III se relacionam a expressão específica de CD59 em eritrócitos, A repetição da exclusão de crianças para uso de ic5: ambos tem acao comprovada em crianças e, mesmo sendo evento raro nessa faixa etária, continua sendo catastrófico quando presente, Critérios de inclusão, sugere-se retirar a classificação GRAVE de anemia aplásica, pois há casos de anemia aplásica NÃO GRAVE que devem utilizar ic5, Critério de inclusão para grávidas: retirar o termo INTERCORRENCIA GESTACIONAL. Independente se teve ou não previamente, a gravidez com a HPN acresce maior risco de trombose e óbito materno-fetal, com indicação urgente de início de ic5, deixando como sugestão uso somente de eculizumabe pela falta de dados ainda de ravu. Uso de anticoagulantes: a recomendação atual é que se use anticoagulante com sinais de alta atividade de doença e clone HPN acima de 50%, ou seja, deixar claro no texto tal ponto de corte. Deixar ainda em aberto qual anticoagulante usar, pois atualmente baseado em opinião de expert, já se pode usar outras classes que não AVK, como os DOAC's, Profilaxia ATB: incluir PEN-V-ORAL e outras penicilinas. Para pacientes em IC5, considerando risco de infecção meningocócica, deve-se fazer vacinação meningocócica ACWY e incluir MENINGO B! Grave não ter no PCDT, RISCO! Critério de interrupção persistência de hemólise: lembrar que com ic5 pode-se ter HEMOLISE EXTRAVASCULAR que não significa insucesso de ic5 e sim uma consequência farmacológica deste, ou seja, paciente pode ter ainda sinais de hemólise por esta causa, onde a retirada de IC5 será deletéria. Ainda, na grande maioria dos casos, persiste com certo grau de hemólise mesmo com uso de ic5. Monitoramento: haptoglobina é importante porém não é amplamente disponível no SUS, complica assistência e renovação de apac. Diretrizes claras de infusão de medicamentos fora do âmbito exclusivo de centros infusores, infusão simples para centralizar em centros específicos!	Parabens pela evolucao no texto e no PCDT como um todo, apesar de ainda constar algumas coisas graves, a saber: ausencia de vacinacao meningocócica B, persistir com criterios de interrupcao persistencia de hemolise, a qual deve ser analisada com cautela pela variedade de diagnosticos, pois na grande maioria dos casos, suspender ic5 é deleterio especialmente se nao ha outro inibidor de complemento (proximal) que possa substituir o ic5.
05/11/2024	Paciente	Muito boa		
05/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	ficou muito boa a inclusão do Ravulizumab como opção terapêutica
05/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
05/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Observo a dificuldade que alguns pacientes têm em fazer a infusão no hospital onde trabalho.O hospital fica na Zona da Mata e temos pacientes do Sul de Minas., Outra questão é que a autorização de dispensação ocorre no primeiro dia útil e alguns pacientes precisam fazer a infusão nos primeiros dias do mês.,.	
05/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	A inclusão Ravulizumabe é imprescindível para espaçar a administração, repercutindo em melhora da qualidade de vida, principalmente de pacientes que residem longe do centro de infusão.	
05/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
05/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
06/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	não	não
06/11/2024	Profissional de saúde	Regular	Os critérios de inclusão colocam pacientes acima de 14 anos. Isso não faz sentido, visto que: crianças menores de 14 anos também apresentam a doença com a mesma gravidade do adulto e tanto o eculizumabe, como o ravilizunabe foram estudados em crianças pequenas e a bula registrada na Anvisa autoriza o uso para crianças acima de 10Kg e isso ocorre por volta de 1 ano de idade. Assim todos devem ter direito ao acesso aos medicamentos, que deveria ser incorporado para pacientes acima de 10 Kg ou 1 ano de idade	Ajustar a faixa etária para inclusão de crianças a partir de 10 Kg, não impacta em custo, visto que o evento é muito raro e elimina a necessidade de judicialização
06/11/2024	Paciente	Muito boa	Não, todos os pontos abordados estão de acordo com o que me foi passado no início do meu tratamento com Ravulizumabe.	Sou paciente com recente troca de medicação (eculizumabe para ravulizumabe) e posso dizer que estou me sentindo bem melhor. Tenho efeitos colaterais da medicação, mas me sinto mais disposta e com certeza o fato de ter mudado o período de 15/15 dias para 8 semanas proporciona melhor qualidade de vida ao paciente.
07/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	QUERO COMO MÉDICO E PAI DE UM PACIENTE COM HPN SALIENTAR A IMPORTÂNCIA DO USO DO RAVULIZUMABE PARA PROPORCIONAR AOS PACIENTES UMA MAIOR LIBERDADE DURANTE O TRATAMENTO.	GOSTARIA DE AGRADECER AO GOVERNO POR SE PREOCUPAR EM EVOLUIR COM AS OPÇÕES TERAPÊUTICAS NO HPN, POIS OS PACIENTES PRECISAM DESSE APOIO E DE ATITUDES QUE MELHOREM A SUA QUALIDADE DE VIDA. MUITO OBRIGADO
07/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
07/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
07/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Concordo com o texto, porém em uma análise senti que algumas informações ficaram faltando como por exemplo o tratamento de suporte para a HPN envolve várias abordagens, incluindo: Fatores de Crescimento - Fator Estimulador de Colônias de Granulócitos (G-CSF), Terapias Imunossupressoras, Tratamento com Andrógenos, dependendo obviamente da necessidade clínica do paciente. A segunda informação faltando ou que não ficou clara, é sobre as vacinas fornecidas pelo CRIE, sabemos que para pacientes de HPN são fornecidas apenas Meningo ACWY e pneumo 23, não sendo contempladas as outras vacinas da tabela. Elas serão incluídas para os pacientes de HPN também?	O texto está perfeito, agradeço.
07/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	A redação está fabulosa, em análise com minha filha (paciente de HPN) verificamos que principalmente a questão da vacinação não ficou muito clara, pois sabemos que o CRIE oferece vacinas diferentes das vacinas de HPN que estão listadas na tabela. Os pacientes de HPN não estão contemplados nessa lista de pacientes que recebem vacinas de deficiente de sistema complemento, eles serão incluídos também? Pois isso gera confusão e não fica claro, além de prejudicar o paciente ao buscar uma vacinação no CRIE. Além desse fator, seria interessante incluir que existem outros tratamentos de suporte para os pacientes de HPN, como imunossupressores, andrógenos ou fatores de crescimento, para pacientes que estão tendo muitas alterações sanguíneas, os mesmos devem ser recomendados pelo médico hematologista responsável.	Não gostaria, agradeço o empenho para escreverem o PCDT ficou muito completo e concordo com o que está escrito.
07/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
07/11/2024	Paciente	Muito boa		
07/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
07/11/2024	Paciente	Muito boa		A disponibilização e aplicação do Ravulizumabe será um grande avanço para os pacientes.
07/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Nao	Nao

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
07/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Sou médico do ambulatório de Série Vermelha do HCFMUSP e reconheço que esse PCDT já melhorou imensamente a vida desses pacientes. Mas algumas coisas precisam de ajuste. A primeira coisa é a necessidade de um clone maior que 10%. Isso não faz sentido tendo em vista que o risco trombótico do paciente com clone entre 0,1 e 50% é muito parecido. Além de que na prática, o paciente grave, com trombose recorrente e clone menor que 10% é comum. Como segundo ponto, acredito na importância na incorporação do Ravulizumabe, tendo em vista que essa droga tem preço muito parecido ao eculizumabe, com tendência a melhor perfil farmacoeconomia tendo em vista menor número necessário de infusões. Além disso, a droga é muito mais cômoda tendo em vista que o paciente virá menos vezes ao serviço de saúde (redução de 26 para 7 infusões anuais) e tem uma tendência a menor hemólise de escape.	Sem mais
08/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Nao	Tenho um paciente fazendo uso do ravulizumab na saúde suplementar e após a primeira dose o paciente ja teve resposta completa clínico laboratorial.
08/11/2024	Paciente	Boa	Não	Não
08/11/2024	Profissional de saúde	Boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
08/11/2024	Paciente	Boa	<p>"Ao analisar o relatório detalhadamente, observei alguns pontos que poderiam ser incluídos para enriquecer o conteúdo:, , 7. Tratamento, , O tratamento com Eculizumabe e Ravulizumabe é indicado para menores de 14 anos, mas a posologia considera seguro seu uso a partir de 10 kg de peso. Seria importante incluir essa informação, ressaltando o potencial de salvar vidas, inclusive em pacientes pediátricos com HPN, que enfrentam alta prevalência de hemólise e risco elevado de trombose. O tratamento precoce com Eculizumabe, por exemplo, é altamente justificável nesses casos., , ""Tanto a alta prevalência de hemólise quanto o alto risco de trombose devem justificar o tratamento precoce com Eculizumabe para pacientes pediátricos com HPN"" (Fonte: https://doi.org/10.1182/blood.V116.21.2231.2231), , ""Ravulizumabe mostrou um perfil de segurança aceitável, com inibição imediata, completa e sustentada do complemento terminal, proporcionando benefício clínico significativo para pacientes pediátricos com HPN"" (Fonte: https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2023012267), , Referência adicional: Fronteiras Tratamento anti-complemento para hemoglobinúria paroxística noturna: tempo para inibição proximal do complemento? Um documento de posição do SAAWP da EBMT., , 7.1. Tratamento de Suporte, , O suporte terapêutico inclui fatores de crescimento sintéticos, terapias imunossupressoras, fator estimulador de colônias de granulócitos (G-CSF) e tratamento com andrógenos, como o danazol. Essas opções complementam o tratamento principal e poderiam ser detalhadas no relatório para orientação adicional., , Referências:, , Rare Diseases: https://rarediseases.org/rare-diseases/paroxysmal-nocturnal-hemoglobinuria/, , Blood Journal: https://doi.org/10.1182/blood-2005-04-1717"</p>	<p>7.4. Profilaxia contra Infecções Meningocócicas/sepse, , No que diz respeito à profilaxia, seria importante esclarecer se as vacinas da tabela CRIE serão obrigatórias para pacientes com HPN. Esse ponto é crucial, já que pacientes com deficiência do complemento necessitam de acesso a todas essas vacinas para uma proteção adequada., , 7.7. Tratamento em Populações Específicas, , Há pacientes que necessitam de doses aumentadas de Soliris para controlar a hemólise de forma mais eficaz. Esse ajuste posológico é uma prática relevante para casos específicos e merece menção., , Referências:, , Blood Journal - Modificação da Dose de Eculizumabe: https://ashpublications.org/blood/article/112/11/3441/60225/Modification-of-the-Eculizumab-Dose-to, , Blood Journal - Tratamento a Longo Prazo com Eculizumabe: https://ashpublications.org/blood/article/117/25/6786/24362/Long-term-treatment-with-eculizumab-in-paroxysmal, , , 8. Monitoramento, , Na seção de exames, sugiro incluir a avaliação de funções hepáticas, como bilirrubinas (total e frações), TGO/TGP, sódio (Na), potássio (K) e magnésio (Mg), para um monitoramento mais abrangente da saúde dos pacientes., , Com essas sugestões, acredito que o relatório poderia ser ainda mais completo e informativo para todos os envolvidos no tratamento e cuidado de pacientes com HPN.</p>
08/11/2024	Paciente	Boa	<p>Sim, gostaria de ressaltar que embora algumas pessoas com HPN com clone baixo, algumas apresentam sintomas sim, mesmo que em pequenas proporções mas que ainda assim as acomete. Então acredito que estas pessoas também devem ser assistidas por algum acompanhamento e/ou tratamento.</p>	<p>Neste momento não.</p>
11/11/2024	Paciente	Muito boa	<p>o atendimento médico pelo SUS, aos portadores de HPN que recebem os medicamentos, deve ser periódico, no mínimo a cada 8 semanas ou sempre que necessário por alterações na condição do paciente.</p>	<p>ampliar cada vez mais as campanhas de esclarecimentos, , manter o atendimento médico periódico aos pacientes que recebem o medicamento, , dar condições de passe livre do transporte urbano e interestadual para aqueles pacientes que precisam se deslocar para receber a medicação.</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
11/11/2024	Paciente	Boa	<p>O tratamento com Eculizumabe e Ravulizumabe é indicado também para menores de 14 anos nesse texto mas a posologia diz que é seguro para pessoas a partir de 10 kg de peso, então seria bom mencionar que diversas pessoas poderiam estar sendo salvas com o tratamento também. Sobre tratamentos de suporte: Fatores de crescimento artificiais (sintéticos), terapias imunossupressoras, fatores de crescimento - fator estimulador de colônias de granulócitos (G-CSF), tratamento com andrógenos, como por exemplo o danazol. Profilaxia contra infecções: Vacinas da tabela CRIE serão obrigatórias para pacientes de HPN? Não especifica se sim ou se não., É importante termos acesso a todas as vacinas que as pessoas que têm deficiências do complemento. , Tratamento em populações específicas; Também há pacientes que realizam o Soliris em doses maiores para tentar controlar a hemólise., MONITORAMENTO ¿¿, Como exames ficou faltando funções hepáticas como bilirrubinas, TGO/TGP, bilirrubina total e frações, Na, K, Mg,</p>	não
11/11/2024	Paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
11/11/2024	Profissional de saúde	Boa	Incluir detalhes sobre manejo das complicações esperadas com o uso do inibidor de C5 (hemólises de escape farmacocinetico, farmacodinamico e extra-vascular), incluir critérios de resposta clínica x dependencia transfusional,	Sugiro, como médica hematologista, a aprovação do protocolo para o tratamento da Hemoglobinuria Paroxística Noturna(HPN) com a disponibilidade em primeira linha terapeutica da medicação anti-C5 Ravulizumabe. Hoje, temos disponível a medicação Eculizumabe. , O Ravulizumabe (Ultomiris®) promove controle da hemólise intravascular e permite o aumento de intervalo de infusões para a cada 8 semanas, em um total de 7 infusões por ano. Comparado ao tratamento disponível atual (Eculizumabe) em que as infusões ocorrem a cada 2 semanas, a droga em questao facilita o controle da doença, diminui os custos da vinda do paciente ao sistema de saúde e, além disso, melhora sua qualidade de vida. , Em Literatura médica ficou claro a não inferioridade da medicação em relação ao Eculizumabe e o melhor controle das hemólises de escapes, o que reduz a ocorrencia de complicações da HPN e necessidade transfusional. , Estudos que baseio minha opinião técnica: Lee J.W et al. Blood 2019 Feb 7, 133(6):530-539., Kulasekararaj , AG et al. Blood 2019, 133(6):540-549) , , Sugiro também que tenhamos uma opção de medicação de inibição proximal do complemento disponível, a fim de controle das hemólises de escape e hemólise extra-vascular nos paciente que estao em uso de inibidores de C5. , A hemólise extra-vascular pode contribuir para a dependencia transfusional do paciente portador de HPN. , Atualmente, o estudo PEGASUS evidenciou excelente controle da hemolise extravascular e de escape do Pegcitacoplan quando comparado ao Eculizumabe. , , Considero que com Ravulizumabe em primeira opção terapeutica e algum inibidor de via de complemento proximal (atualmente Pegcitacoplan) o paciente portador de HPN estaria muitíssimo bem assistido. , ,
11/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Medicação para pacientes que se deslocam muitos km de ônibus para fazer o tratamento. No caso conhecido aqui são 800 km para tratar .	A qualidade de vida que aumenta bastante com o uso desse novo medicamento .
11/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
11/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Muito importante esta inclusão da conitec	
11/11/2024	Paciente	Muito boa	Eu como paciente venho a dizer que esse medicação tende a melhorar a nossa qualidade de vida,pós irar espaçar nossas idas as infusões que neste momento são de 15 em 15 dias,para infusões que serão a cada 2 meses,neste caso ela se mostra bem mais eficaz do que a medicação que usamos neste momento.	A medicação que usamos neste momento a (Eculizumabe)apesar de nos ajudar a algum tempo,já não está com um efeito tão satisfatório nos deixando ter um pouco de Hemolize e diminuído a nossa imunidade.Então é de suma importância a implantação desta nova medicação.
11/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não
12/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
12/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
12/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
12/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
12/11/2024	Profissional de saúde	Boa	Em anexo.	Em anexo.
12/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa	Não	Não
12/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Nao	Medicamento eficaz com baixo potencial de toxicidade e posologia mais confortável para o paciente
12/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		Tratamento importante nos pacientes com HPN
12/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		
12/11/2024	Interessado no tema	Muito boa	Sendo a HPN uma doença crônica podendo variar a quadros leves a graves, estou de acordo com a implantação das diretrizes.	
12/11/2024	Profissional de saúde	Boa		
12/11/2024	Interessado no tema	Muito boa	De acordo com o tecto.	O Ravulizumab traz melhora na qualidade de vida dos pacientes aumentando o tempo entre a a infusão das doses, sem perda da eficácia e sem aumento dos efeitos adversos.
13/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	GOSTARIA QUE NO PCDT NO CRITÉRIO DE INCLUSÃO OS EXAMES SOLCIITADOS PARA INICIAR PROCESSO SEJAM EVIDENCIADOS PERIODICIDADE QUE PODEMOS CONSIDERAR NO RECEBIEMNTO DOS MESMOS.	GOSTARIA DE AGRADECER OS MEMBROS DA CONITEC PELA APROVAÇÃO, POIS ESTA INCORPORAÇÃO VAI BENEFICIAR A ADEÇÃO DOS PACIENTES, CONSIDERANDO APLICAÇÃO A CADA 8 SEMANAS. FACILITANDO O ITINERÁRIO DOS PACIENTES AO LOCAL DE INFUSÃO.
13/11/2024	Profissional de saúde	Boa		
13/11/2024	Profissional de saúde	Boa		
13/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
13/11/2024	Paciente	Muito boa	Não	Sou paciente, saí do interior para morar em Salvador, especialmente por achar que viajar a cada quinze dias seria muito cansativo, principalmente por que são quase quinhentos quilômetros, mas vejo que nem todos tem onde ficar aqui na capital, Vai ser muito bom pra todos nós essa medicação a cada oito semanas, sendo que vai nos dar segurança e um.pouco de conforto. Melhor seria se descentralizasse e cada paciente tomasse a medicação no próprio município que moram.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
13/11/2024	Paciente	Muito boa	Que pacientes comecem ter acesso o mais rápido possível ao remédio para uma melhor qualidade de vida .	Diminuir bastante as viagens , eu viajo 800 km de ônibus para tomar o (soliris)
13/11/2024	Paciente	Muito boa	Não	Não
13/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
13/11/2024	Paciente	Muito boa		Na primeira versão do PCDT - HPN, havia a restrição de pacientes que tomavam doses especiais (ajustadas) de ECULIZUMABE. No meu caso, preciso receber 1.500mg/aplicação pois continuava tendo crises de forte hemólise com doses de 900mg ou 1.200mg. Assim, o Dr. Peter Hillmen - médico chefe da equipe que me acompanhou quando participei dos protocolos de aprovação do eculizumabe na Inglaterra - juntamente com minha médica no Brasil (Dr. Hilda Maria de Oliveira) decidiram prescrever 1.500mg de eculizumabe a cada duas semanas para o meu tratamento. E, desde então, essa dose estabilizou minha condição de saúde e melhorou minha qualidade de vida sensivelmente, sem qualquer efeito colateral. Fico feliz por saber que não há qualquer restrição neste sentido nesta segunda versão e por saber que foi incluída a nova opção de tratamento com o ravulizumabe, de tal forma que o meu hematologista poderá estudar a melhor opção para o meu caso.
13/11/2024	Profissional de saúde	Regular	Na proposta observo que incluíram apenas pacientes acima de 14 anos. Não concordo, uma vez que crianças menores de 14 anos também apresentam a doença, com a mesma gravidade do adulto e ambos (eculizumabe e ravulizumabe) foram estudados em crianças pequenas e a bula registrada na Anvisa autoriza o uso para pessoas acima de 10Kg. Assim todos devem ter acesso aos medicamentos, que deveria ser incorporado para pacientes acima de 10 Kg ou a partir de 1 ano de idade.	
13/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Acredito que a incorporação do ravulizumabe no sus representa grande avanço no tratamento dos pacientes com HPN, melhorando resultados e reduzindo custos.	
13/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Diversos pacientes enfrentam desafios logísticos para comparecer a centro de infusão para inibidor de complemento, ravulizumabe permite menos aplicações anuais
13/11/2024	Paciente	Muito boa	Gostaria que o SUS adotasse logo o ULTOMIRIS - ravulizumabe., Isso melhorará a qualidade de vida do paciente.	Gostaria que o SUS adotasse logo o ULTOMIRIS - ravulizumabe., Isso melhorará a qualidade de vida do paciente. Também reduzirá o custo para o governo federal.,

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
13/11/2024	Paciente	Muito boa	Seria interessante criar um projeto para treinar pessoas na aplicação do Eculizumabe/ Ravulizumabe em mais cidades de Minas Gerais, de forma a reduzir o deslocamento do pessoal que sai do interior para receber o medicamento em BH.	Eu fui diagnosticado com HPN no principio do ano, tive bastante sorte de ter conseguido meu diagnóstico no começo da doença antes de manifestar algum dos sintomas mais graves e por sorte moro em uma cidade vizinha de BH onde é feito a aplicação. Mas vejo que essa situação não foi a mesma para outras pessoas que fazem o tratamento comigo. Algumas pessoas tiveram diagnóstico tardio e precisam se deslocar por longas distâncias, fazendo viagens de 12 horas para poder receber o medicamento. A transição do Eculizumabe para Ravulizumabe vai ajudar muito na questão da qualidade de vida para quem precisa fazer longos deslocamentos.
13/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
13/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa		A troca do Eculizumabe pelo Ravulizumabe vai beneficiar os pacientes que precisam deslocar de outras cidades
13/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
13/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		A troca do Eculizumabe pelo Ravulizumabe vai beneficiar os pacientes que precisam deslocar de outras cidades
13/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
13/11/2024	Profissional de saúde	Boa	Seguem sugestões no documento anexo.	Seguem sugestões no documento anexo.
13/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	nao	nao
13/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
14/11/2024	Paciente	Muito boa	Não	Não
14/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não
14/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não.	Sou uma amiga de um paciente e na resposta da questão 12 dizer que a troca do Eculizumabe pelo Ravulizumabe vai beneficiar os pacientes que precisam se deslocar de outras cidades para receber o medicamento.
14/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		A troca do Eculizumabe pelo Ravulizumabe vai beneficiar os pacientes que precisam deslocar de outras cidades para receber o medicamento
14/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
14/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Trata-se de medicação indispensável para o tratamento adequado de pacientes com HPN. Muitos pacientes apresentam hemólise de escape com o tratamento atualmente disponibilizado. Ter outra opção disponível e que mitiga essas intercorrências é aumentar a excelência do serviço público.	Facilidade posológica que pode reduzir superlotação dos centros de infusão públicos.
14/11/2024	Profissional de saúde	Boa		
14/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		A troca do Eculizumabe pelo Ravulizumabe vai beneficiar os pacientes que precisam deslocar de outras cidades para receber o medicamento
14/11/2024	Paciente	Boa	nao	nao
14/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Essa proposta vai mudar a vida da minha família para melhor!! Meu marido tem HPN.
14/11/2024	Paciente	Muito boa	Gostaria de pedir atenção à alguns pontos que não foram citados e é importante: Uso tanto do Eculizumabe e Ravulizumabe conforme a bula, para os pacientes pediátricos também. Sendo que o Ravulizumabe é indicado também para pacientes menores de 14 anos, com peso acima de 10 quilos., Deixar claro que os pacientes com HPN terão acesso a todas as vacinas da tabela CRIE, que as pessoas com deficiências do complemento tem., Deverá contemplar casos específicos de pacientes com HPN que necessitam de uma dose maior do tratamento, desde que devidamente justificado pelo médico e histórico do paciente., Na próxima revisão também seria importante contemplar os exames de controle das funções hepáticas, como bilirrubinas, TGO/TGP, bilirrubina total e frações, Na, K, Mg., E também uma atenção especial para a criação de mais centros de tratamentos, objetivando ainda diminuir a distância que muitos pacientes tem que percorrer para realizar o seu tratamento.	Gostaria de pedir atenção à alguns pontos que não foram citados e é importante: Uso tanto do Eculizumabe e Ravulizumabe conforme a bula, para os pacientes pediátricos também. Sendo que o Ravulizumabe é indicado também para pacientes menores de 14 anos, com peso acima de 10 quilos., Deixar claro que os pacientes com HPN terão acesso a todas as vacinas da tabela CRIE, que as pessoas com deficiências do complemento tem., Deverá contemplar casos específicos de pacientes com HPN que necessitam de uma dose maior do tratamento, desde que devidamente justificado pelo médico e histórico do paciente., Na próxima revisão também seria importante contemplar os exames de controle das funções hepáticas, como bilirrubinas, TGO/TGP, bilirrubina total e frações, Na, K, Mg., E também uma atenção especial para a criação de mais centros de tratamentos, objetivando ainda diminuir a distância que muitos pacientes tem que percorrer para realizar o seu tratamento.
14/11/2024	Empresa	Boa	Vide documento anexo.	Vide documento anexo.
14/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	O tratamento dos pacientes com HPN com inibidores da C5 promovem uma melhoria clínica relevante, o que contribui para uma melhor qualidade de vida., Tive oportunidade de participar de estudo clínico com o Ravalizumabe e foi observado boa resposta com o tratamento. Acompanhamento de pacientes em uso de Eculuzumabe desde que era disponibilizado somente por demanda judicial e as respostas sempre foram positivas.
14/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
14/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
14/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
14/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		Não
14/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
14/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
14/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		Os pacientes serão muito beneficiados, tendo em vista que com Ravulizumabe a aplicação passa a ser a cada 8 semanas. Muitos pacientes saem de suas cidades e vão ao Hospital de Clínicas de Porto Alegre somente para aplicar o Eculizumabe, já que os Postos de Saúde não conhecem o medicamento e se negam a administrar.
14/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não se aplica
14/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
14/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
15/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
15/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
15/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
15/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
15/11/2024	Interessado no tema	Boa		
15/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
15/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	"No que tange ao item ""9. REGULAÇÃO/CONTROLE/AVALIAÇÃO PELO GESTOR"", especificamente no parágrafo segundo, que fala sobre o atendimento dos pacientes com a HPN se dar preferencialmente em estabelecimentos de saúde localmente designados como centro de referência, se faz necessária a menção da necessidade dos Estados em parceria com os Municípios implementar mais centros de referência para atender essa população com doença rara, tendo em vista o orçamento já disponibilizado pelo Ministério da Saúde para esses fins. Referida inclusão se faz necessária tendo em vista que existem pouquíssimos centros de referência em todo Brasil, fazendo com que os pacientes que moram fora de grandes centros tenham que se deslocar à longas distâncias para receber o tratamento, gerando menos conforto e qualidade de vida a eles, atrapalhando sua rotina de atividades e trabalhos, fazendo-o correr mais riscos de acidentes no trânsito, dando mais gastos para os municípios que disponibilizam o transporte e motorista para levar o paciente, além de outros."	Relato sobre a importância da implementação do ravulizumab em substituição ao eculizumab., Minha mãe foi diagnosticada com HPN em outubro de 2023, começando a fazer o uso do medicamento Eculizumab em junho de 2024. Desde então, ela tem apresentado melhora no seu quadro, especialmente quanto a hemólise, não necessitando fazer transfusões com frequência, como antes. Além disso, os sintomas indesejados da doença como fadiga, insônia e dores foram bastante amenizados, senão eliminados por completo. Contudo, a grande questão que afeta o tratamento é a da logística de aplicação, na qual prevê a necessidade de se dar em centros de referência, já que existe um número extremamente ínfimo de locais de aplicação dentro de cada Estado. No caso da minha mãe, por exemplo, ela se encontra residente em uma cidade no sul de Minas Gerais que fica a 400 km de distância do ponto de referência, que é Juiz de Fora/MG. Tendo que ficar a cada 15 dias exposta a 12 horas de viagem, sem contar o tempo de aplicação do medicamento que se dá em média de 40 minutos, mais atraso no trânsito. Devido as longas horas de viagem, possui gastos com alimentação, limitação nas atividades de rotina, desconforto dentro do veículo ao retornar após a medicação, devido aos efeitos colaterais do medicamento, entre outros. Portanto, a posologia do revulizumab que prevê aplicação a cada 8 semanas ajudará a melhorar a condição de vida da minha mãe e de todos os pacientes que sofrem com essa logística.,
15/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
15/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
15/11/2024	Paciente	Muito boa	Incluir a indicação de Eculizumabe e Ravulizumabe para crianças a partir de 10 kg, já que o tratamento pode salvar vidas nessa faixa etária., , Incluir terapias como fatores de crescimento sintéticos e tratamentos imunossupressores, , Esclarecer se vacinas contra meningite e outras infecções devem ser obrigatórias para pacientes com HPN., , , Sugerir incluir exames de função hepática (como bilirrubinas e TGO/TGP) no acompanhamento.	não
15/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
15/11/2024	Paciente	Boa	7.1. O tratamento com Eculizumabe e Ravulizumabe são indicados também para menores de 14 anos nesse texto mas a posologia menciona que é seguro para pessoas a partir de 10 kg de peso, portanto diversas pessoas poderiam estar sendo salvas com o tratamento também. , 7.4. As vacinas da tabela CRIE serão obrigatórias para pacientes de HPN? Pois não está especificado se são ou não são obrigatórias para esses pacientes, mas é importante os pacientes terem acesso a todas as vacinas., 7.7. Possibilidade de posologia diferente da posologia padrão. , 8.0. Exames que focaram de fora (faltando) mas necessários: funções hepáticas como bilirrubinas, TGO/TGP, bilirrubina total e frações, Na, K, Mg, Criação de mais centros de tratamentos, objetivando ainda diminuir a distância que muitos pacientes tem que percorrer para realizar o seu tratamento. , Poder do médico de cada paciente escolher a melhor terapia que atenda cada paciente específico., , , ,	Poder do médico de cada paciente escolher a melhor terapia que atenda cada paciente específico, e não o SUS definir e fornecer a medicação aleatoriamente a que estiver disponível naquela localidade, estado, cidade, centro de referência. Cada paciente reage de uma forma diferente a tratamentos diferentes, sendo o médico o responsável por essa avaliação e indicação do tratamento mais adequado.
15/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	não	Ravulizumabe diminui a necessidade transfusional, à ocorrência de hemólises de escape e melhora qualidade de vida.
15/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Gostaria de pedir atenção à alguns pontos que não foram citados e é importante: Uso tanto do Eculizumabe e Ravulizumabe conforme a bula, para os pacientes pediátricos também. Sendo que o Ravulizumabe é indicado também para pacientes menores de 14 anos, com peso acima de 10 quilos., Deixar claro que os pacientes com HPN terão acesso a todas as vacinas da tabela CRIE, que as pessoas com deficiências do complemento tem., Deverá contemplar casos específicos de pacientes com HPN que necessitam de uma dose maior do tratamento, desde que devidamente justificado pelo médico e histórico do paciente., Na próxima revisão também seria importante contemplar os exames de controle das funções hepáticas, como bilirrubinas, TGO/TGP, bilirrubina total e frações, Na, K, Mg., E também uma atenção especial para a criação de mais centros de tratamentos, objetivando ainda diminuir a distância que muitos pacientes tem que percorrer para realizar o seu tratamento.	Gostaria de pedir atenção à alguns pontos que não foram citados e é importante: Uso tanto do Eculizumabe e Ravulizumabe conforme a bula, para os pacientes pediátricos também. Sendo que o Ravulizumabe é indicado também para pacientes menores de 14 anos, com peso acima de 10 quilos., Deixar claro que os pacientes com HPN terão acesso a todas as vacinas da tabela CRIE, que as pessoas com deficiências do complemento tem., Deverá contemplar casos específicos de pacientes com HPN que necessitam de uma dose maior do tratamento, desde que devidamente justificado pelo médico e histórico do paciente., Na próxima revisão também seria importante contemplar os exames de controle das funções hepáticas, como bilirrubinas, TGO/TGP, bilirrubina total e frações, Na, K, Mg., E também uma atenção especial para a criação de mais centros de tratamentos, objetivando ainda diminuir a distância que muitos pacientes tem que percorrer para realizar o seu tratamento.
15/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
15/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Gostaria de pedir atenção à alguns pontos que não foram citados e é importante: Uso tanto do Eculizumabe e Ravulizumabe conforme a bula, para os pacientes pediátricos também. Sendo que o Ravulizumabe é indicado também para pacientes menores de 14 anos, com peso acima de 10 quilos., Deixar claro que os pacientes com HPN terão acesso a todas as vacinas da tabela CRIE, que as pessoas com deficiências do complemento tem., Deverá contemplar casos específicos de pacientes com HPN que necessitam de uma dose maior do tratamento, desde que devidamente justificado pelo médico e histórico do paciente., Na próxima revisão também seria importante contemplar os exames de controle das funções hepáticas, como bilirrubinas, TGO/TGP, bilirrubina total e frações, Na, K, Mg., E também uma atenção especial para a criação de mais centros de tratamentos, objetivando ainda diminuir a distância que muitos pacientes tem que percorrer para realizar o seu tratamento.	Gostaria de pedir atenção à alguns pontos que não foram citados e é importante: Uso tanto do Eculizumabe e Ravulizumabe conforme a bula, para os pacientes pediátricos também. Sendo que o Ravulizumabe é indicado também para pacientes menores de 14 anos, com peso acima de 10 quilos., Deixar claro que os pacientes com HPN terão acesso a todas as vacinas da tabela CRIE, que as pessoas com deficiências do complemento tem., Deverá contemplar casos específicos de pacientes com HPN que necessitam de uma dose maior do tratamento, desde que devidamente justificado pelo médico e histórico do paciente., Na próxima revisão também seria importante contemplar os exames de controle das funções hepáticas, como bilirrubinas, TGO/TGP, bilirrubina total e frações, Na, K, Mg., E também uma atenção especial para a criação de mais centros de tratamentos, objetivando ainda diminuir a distância que muitos pacientes tem que percorrer para realizar o seu tratamento.
15/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Boa		
15/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
15/11/2024	Interessado no tema	Boa		Gostaria de acrescentar que com o uso do celular, muitas pessoas estão passando mais tempo durante a evacuação em privadas, pois tenho notado queixas de dormência nas pernas e o motivo durante a anamnese e que, os pacientes durante a evacuação principalmente os que tem uma grau de sobrepeso e obesidade, apoiam os antebraços nas pernas próximo ao joelho para segura o aparelho celular e com isso colocam o peso do corpo na parte posterior da coxa travando a circulação e vindo a causar dormência com risco de embolia e trombose dia após dia, o risco de formação de trombo aumenta consideravelmente e se levar em conta HPN, que e extremamente silencioso poderá aumentar as chances de uma intercorrências, portanto evitar passar tempo desnecessário ou a mais no caso sanitário durante a evacuação, poderá diminuir as chances de intercorrência principalmente do tipo HPN
16/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
16/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
16/11/2024	Paciente	Muito boa		
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
16/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		O protocolo traz proposta terapêutica do uso de ravulizumabe, uma droga mais potente que o eculizumabe em termos de resposta, além de ser administrada em intervalos mais proplongados, o que proporcionaria melhor qualidade de vida para o paciente e melhora na logística de administração da droga nas unidades de saúde
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
16/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
16/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
16/11/2024	Profissional de saúde	Boa		
16/11/2024	Paciente	Muito boa		
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito ruim		
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
16/11/2024	Profissional de saúde	Boa		
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
16/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	salientar o benefício ao paciente / acompanhei no passado evolução de paciente com HPN utilizou eculuzimbe - importante melhora já no início do tratamento com , melhora de sua qualidade de vida e atualmente sem necessidade de terapeutica especifica -	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
16/11/2024	Profissional de saúde	Boa	"Gostaria de sugerir modificações no texto. A. Item 4 Diagnóstico da HPN - entendo como pertinente manter a hiperbilirrubinemia indireta como marcador laboratorial de hemólise, exceto se haptoglobina disponível em todo o território nacional de fato. B. Figura 1 - achei pouco clara. As causas adquiridas ou sabidamente não hereditárias se referem ao quadro acima ? Imagino ser referente à hemólise. desta forma, entendo ser pertinente modificar incluído abaixo do quadro desuspeita de HPN um com ""evidência de hemólise?"" , seguida por ""afastada causa hereditária"" , além de incluir a possibilidade de retorno à investigação de HPN caso não se identifique anemia hemolítica hereditária. C. item 5. Critérios de Inclusão - no item referente à trombose está que deve ser afastada causa hereditária ou adquirida de trombose, assim como neoplasia. Pergunto se isso de fato será exigido neste PCDT, dado que não há recomendação formal de investigação de neoplasia nos casos de tromboembolismo venoso. Esta investigação encarece demasiadamente o sistema e é extremamente extensa, devendo ser incluído não só exames de imagem como tomografias de tórax, abdômen e pelve, como também seria necessário fazer exames endoscópicos e tomografia de crânio. É obvio que a correta anamnese é importante, mas como está redigido sugere investigação laboratorial. Nos casos suspeitos de HPN, seja pela localidade da trombose (Budd-Chiari por exemplo), seja pela ausência da identificação de outros fatores provocadores e exclusão de SAAF, somados à evidência de citopenia com hemólise, é certamente mais barato fazer a imunofenotipagem. Para além disso, ainda é necessário comentar que a pesquisa de trombofilias hereditárias só está recomendada , tanto em PCDT quanto no meio acadêmico, em situações específicas dado que seu achado não modifica a conduta nem elimina a possibilidade de HPN como causa em situações já exemplificadas neste texto. D. item 7.3.2 - acima de 14 a ou mais de 10kg?"	De acordo com o restante do texto
16/11/2024	Paciente	Muito boa		
16/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
17/11/2024	Paciente	Regular	Poderíamos indicar o tratamento com Ravulizumabe para crianças a cima de 10 kg, conforme a bula do medicamento, a fim de controlar e reduzir os riscos inerentes, trombose, por exemplo., Gostaria de pedir para que se possa acessar o Ravulizumabe mas não em detrimento ao Eculizumabe, posto que, este podemos aumentar a dose conforme não ocorra o controle da hemólise com a dosagem protocolar. Pode-se, quem sabe, aumentar a sua dose, mais facilmente com o Eculizumabe., Precisamos ter acesso a todas as vacinas imprescindíveis, sobretudo para as meningites, e isso precisa ficar explícito no protocolo., Penso que precisamos de uma maior diversidade de medicações uma vez que a diversidade de respostas físicas à doença é bem grande tbm. , Grato. , ,	Não.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
17/11/2024	Organização da Sociedade Civil	Muito boa		
17/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
17/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		
17/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		
17/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
17/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
17/11/2024	Empresa	Muito boa	Congratulamos pelo texto completo e com diversas atualizações benéficas para o paciente com HPN, apenas algumas sugestões no documento em anexo.	Congratulamos pelo texto completo e com diversas atualizações benéficas para o paciente com HPN, apenas algumas sugestões no documento em anexo.
17/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
17/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Sugerir que o texto informasse com mais clareza a respeito da obrigatoriedade das vacinas necessárias para que as pessoas tem deficiência do complemento. 7.4	No aspecto monitoramento, ressaltar a importância de incluir exames de funções hepáticas. Bilirrubinas total e frações, TGO/TGP, K, Mg, Na.
17/11/2024	Empresa	Boa	Quanto a infusão da dose de manutenção de ravulizumabe a cada 8 semanas sugerimos permitir sua realização fora de um centro de infusão incluindo nos postos de atenção primária à saúde. Isso decorre do fato que os centros de infusão públicos são escassos no Brasil incluindo o fato que muitos bancos de sangue só fazem coleta sem salas de infusão e também não é possível utilizar a rede de oncologia que já está sobrecarregada.	Ressaltar a importância da vacinação pré eculizumabe e ravulizumabe além de um programa de apoio para a substituição do eculizumabe pelo ravulizumabe nos pacientes com doença estável por pelo menos 6 meses. Deste modo, deixamos o paciente e cuidadores seguros quanto à eficácia da troca e atingiremos a previsibilidade do impacto orçamentário utilizado na incorporação do ravulizumabe.
17/11/2024	Paciente	Muito boa	- Uso tanto do Eculizumabe e Ravulizumabe conforme a bula, para os pacientes pediátricos também. Sendo que o Ravulizumabe é indicado também para pacientes menores de 14 anos, com peso acima de 10 quilos. , - Deixar claro que os pacientes com HPN terão a	
17/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	incluir com mais clareza se pessoas com HPN vão ou não tomar as vacinas que estão no CRIE	na
17/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Contemplar com mais doses pacientes que precisam para o tratamento, desde justificado pelo médico	Criação de mais centros de tratamento, objetivando a distância que pacientes percorrem para se tratar.
17/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		
17/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
17/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Acho excelente a inclusão do Ravulizumab, os pacientes apresentam menor índice de hemolise, a posologia é muito melhor levando a melhor qualidade de vida
17/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
17/11/2024	Paciente	Boa		
18/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Não	Não
18/11/2024	Organização da Sociedade Civil	Muito boa		
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
18/11/2024	Interessado no tema	Muito boa	Nao	Nao
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	não tenho nada a acrescentar	não tenho
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		Parabéns, medida muito oportuna.
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
18/11/2024	Paciente	Muito boa		
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
18/11/2024	Interessado no tema	Muito boa	Não	Não
18/11/2024	Organização da Sociedade Civil	Muito boa		
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
18/11/2024	Organização da Sociedade Civil	Muito boa		
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
18/11/2024	Interessado no tema	Boa		
18/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
18/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
18/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		
18/11/2024	Profissional de saúde	Boa	Acredito que a indicação poderia seguir a bula dos medicamentos - especialmente peso maior que 10kg e a questão do clone intermediário sem aplasia, mas com trombose acaba deixando o paciente descoberto de tratamento já que somente a anticoagulação não funciona para este caso, aumentando a morbidade e o custo do paciente. Deixo anexo a coorte de que embora confirme que geralmente temos a correlação entre clone e sintomas, temos exceções que se beneficiam do tratamento. Minha proposta é incluir os dados clínicos de maneira mais adequada.	
18/11/2024	Paciente	Muito boa	Fiz alguns comentários na questão número 12.	Sou portador de HPN, uma doença rara e crônica que afeta a produção das células sanguíneas, tornando-as vulneráveis ao ataque do próprio sistema imunológico. Isso pode causar sintomas como anemia severa, trombozes, fadiga extrema e até complicações mais graves., , Por ser uma condição delicada, o acompanhamento médico e o tratamento adequado são essenciais para garantir minha qualidade de vida. Medicações específicas, como os inibidores de complemento, ajudam a controlar os sintomas e prevenir complicações. Além disso, o tratamento me permite ter energia e disposição para levar uma vida mais próxima do normal, incluindo trabalhar, estudar e estar ao lado da minha família e amigos., , É fundamental que as pessoas compreendam a importância desse cuidado, tanto para a saúde física quanto emocional de quem vive com HPN. O tratamento não é apenas um suporte médico, mas uma chance real de viver com dignidade e esperança.
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Gostaria de alterar o seguinte: Se ja tem imunofenotipagem para HPN com clone superior a 10% e LDH superior a 1,5x, não tem necessidade de cinetica do ferro ou Coombs direto, já que tem diag firmado e também na HPN podemos encontrar carencia de ferro devido a perda de ferro na urina que alguns paciente apresentam. Quanto ao Coombs direto, se já tem diag firmado de HPN, nao vejo a necessidade da exigencia do Coombs direto. , Sobre os critérios, existem pacientes com LDH bastante elevado, superior a 1000, porem nunca teve trombose, não apresenta anemia pois trata-se de HPN clássico, com uma boa resposta medular e não apresenta sintomas que signifique atividade de doença. O problema é que esse paciente pode fazer evento trombótico a qualquer momento. Não devemos esperar que faça o evento trombótico para o início do bloqueador de C5. Essa doença é silenciosa e se o paciente tem evidencias de hemólise a qualquer momento pode fazer quadros de obstrução da microcirculação (AVC, isquemia mesentérica, trombose em sítios atípicos, enfim eventos que ameaçam a vida),	Sobre a necessidade de espera de 6 meses de uso do Eculizumabe para o início do Ravulizumabe. Isso não é necessário. O estudo 301 que foi com paciente virgem de bloqueador de complemento iniciou o Ravulizumabe logo no início, sem a administração prévia do Eculizumabe por 6 meses. a resposta foi eficaz e segura.
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	De acordo com o novo pcdt e incorporação do uso de ravulizumabe para tratamento da hpn, o que vai facilitar o manejo dos pacientes.
18/11/2024	Paciente	Muito boa	Não	
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		Ravulizumabe tem excelente resposta terapêutica na HPN
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Devemos enquanto cidadãos contribuir para melhorar a assistência dos nossos cidadãos, a HPN e uma doença grave e fatal e já atendi pacientes que terminaram morrendo pela enfermidade, portanto tudo que vem pra melhorar a saúde dos usuários sus sou favorável	Acredito que o medicamento utilizado com mais espaçamento de tempo permitirá aos doentes melhor aceitação em trabalho, já que muitos dizem que o patrão reclama das faltas constantes, bem como os gastos com transporte que para as pessoas mais simples pode ser dispendioso, o Ultomoris sendo utilizado de 15/15 dias vai trazer grandes benefícios a esses doentes
18/11/2024	Empresa	Boa	Sim, todas as sugestões estão descritas no parecer que segue anexo. Não foi possível descreve-las neste item pois o espaço destinado não comporta a descrição de todas elas. Por favor atentar-se para parecer que segue anexo.	Sim, todas as sugestões estão descritas no parecer que segue anexo. Não foi possível descreve-las neste item pois o espaço destinado não comporta a descrição de todas elas. Por favor atentar-se para parecer que segue anexo.
18/11/2024	Profissional de saúde	Boa		
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
18/11/2024	Paciente	Boa	Aumentar as opções já existentes. só Eculizumabe já não está sendo suficiente	Atender crianças também
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa	Tudo que possa melhorar o atendimento clínico do paciente, é muito bem vindo	Seria muito bom se não houvesse tanta burocracia.
18/11/2024	Interessado no tema	Muito boa	Tudo ok.	Tudo ok,
18/11/2024	Interessado no tema	Regular	Gostaria de sugerir a inclusão de informações que destacassem a situação atual da tecnologia anterior, eculizumabe, que se encontra em domínio público, com diversas patentes expiradas, permitindo a entrada de medicamentos biossimilares. Esses biossimilares estão atualmente em processo de registro no Brasil, o que deve fomentar a concorrência e possibilitar uma significativa redução nos custos., A preferência pela molécula ravulizumabe, que ainda não possui biossimilares no mercado, implica na manutenção e extensão do monopólio da empresa originadora. Isso pode levar à continuidade de elevados gastos públicos, mesmo após a introdução dos biossimilares de eculizumabe. , Pesquisei nas chamadas públicas de laboratórios oficiais e verifiquei que houve empresas selecionadas para projetos de parceiras de desenvolvimento produtivo para o eculizumabe, o que levaria a uma redução dos preços de fornecimento para o governo e a produção nacional desta tecnologia. , Gostaria de propor que o eculizumabe seja mantido como opção de primeira linha, aproveitando a iminente redução de preços com a entrada dos biossimilares e a possível nacionalização do processo produtivo. O ravulizumabe poderia ser reservado para casos específicos onde o uso de eculizumabe não seja adequado, priorizando a redução sustentável dos custos em saúde pública.	Não
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	A inclusão do ravulizumab no PCDT para hemoglobinúria paroxística noturna permite melhor manejo dos pacientes portadores dessa entidade, principalmente aqueles que moram a longas distâncias dos centros de infusão, uma vez que a possibilidade de realização do medicamento ravulizumab ser a cada 6 semanas melhora a aderência ao tratamento, além de diminuir as hemólises de escape, uma vez que há estabilidade do nível sérico do medicamento, em comparação com a necessidade de aplicação de eculizumab ser quinzenal após a fase de infusão semanal.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
18/11/2024	Paciente	Regular	Sim, gostaria de comentar sobre alguns aspectos como paciente. O tratamento o Ravulizumabe é indicado também para menores de 14 anos, a posologia diz que é seguro para pessoas a partir de 10 kg de peso. Deixar essas crianças de fora pode custar muitas vidas. , No texto não foi mencionado os outros tratamentos de suporte com andrógenos, como por exemplo o ladogal que já fiz uso e que, junto do Soliris, normalizou as minhas taxas sanguíneas. , Também não ficou claro no texto se iremos tomar todas as vacinas disponíveis para quem tem deficiência no sistema de complemento. , Um ponto muito importante que foi deixado de fora é o ajuste de dose para quem necessita e não somente para grávidas. Infelizmente cada caso é um caso e tem mtos pacientes que precisam de uma dose de inibidores maior para suspender a hemólise. , Em relação ao monitoramento da doença sinto que faltaram os exames q monitoram o fígado, bilirrubinas, Mg, k, Na., E também muitos pacientes tem reclamado da distância para os centros de tratamento. Se pudessem implementar ou capacitar outros lugares para tomarmos nossa medicação seria ótimo	Vou enviar os links para os artigos científicos que sustentam as minhas falas., , https://doi.org/10.1182/blood.V116.21.2231.2231 , https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2023012267 , , https://rarediseases.org/rare-diseases/paroxysmal-nocturnal-hemoglobinuria/ , https://doi.org/10.1182/blood-2005-04-1717 , , https://ashpublications.org/blood/article/117/25/6786/24362/Long-term-treatment-with-eculizumab-in-paroxysmal ~, , https://ashpublications.org/blood/article/112/11/3441/60225/Modification-of-the-Eculizumab-Dose-to , ,
18/11/2024	Empresa	Boa	Informação no anexo desta contribuição	Informação no anexo desta contribuição
18/11/2024	Organização da Sociedade Civil	Boa	Esta proposta de alteração é boa, pois o PCDT para HPN precisa de atualização. No entanto, alguns pontos merecem atenção, caso não seja neste momento, que seja em uma próxima atualização, entre eles: Uso tanto do Eculizumabe e Ravulizumabe conforme a bula, para os pacientes pediátricos também, o Ravulizumabe é indicado também para pacientes menores de 14 anos, com peso acima de 10 quilos., Explicitar que os pacientes com HPN terão acesso a todas as vacinas da tabela CRIE, tal qual as pessoas com deficiências do complemento tem., Também seria importante contemplar os exames de controle das funções hepáticas, como bilirrubinas, TGO/TGP, bilirrubina total e frações, Na, K, Mg., criação de mais centros de tratamentos, objetivando diminuir a distância que muitos pacientes tem que percorrer para realizar o seu tratamento., ,	Importante que a efetivação das incorporações e atualizações se dêem de forma mais célere.
18/11/2024	Profissional de saúde	Boa	Comentado no arquivo anexo	NA
18/11/2024	Profissional de saúde	Boa		POSSIBILIDADE DE NO FUTURO UMA NOVA AVALIAÇÃO DA CONITEC E CONSULTA PÚBLICA PARA A POSSIBILIDADE DE DISPONIBILIZAÇÃO DE OUTROS AGENTES TERAPÊUTICOS, TAIS COMO PEGCETACOPAN, DANICOPAN , IPTACOPAN E CROVALIMABE PARA PACIENTES PORTADORES DE HPN CLÁSSICA / HEMOLÍTICA COM INDICAÇÃO DE TRATAMENTO.
18/11/2024	Organização da Sociedade Civil	Boa	Incluir paciente com idade menor a estabelecida e de peso inferior.	Importante as vacinas e verificar hepáticas

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Sugiro reavaliar os critérios de inclusão de tratamento com inibição de C5, aguardando surgimento de alterações como disfunção renal, hipertensão pulmonar, trombose venosa, pois são complicações graves, com impacto em qualidade de vida e potencialmente fatais.,	Como profissional de saúde que acompanha pacientes com HPN, a incorporação de Ravulizumabe pode proporcionar uma incrível melhora na qualidade de vida dos pacientes, tanto pela comodidade da posologia a cada 2 meses, tanto pela diminuição da hemólise de escape. Assim, os pacientes apresentarão menos fadiga, menor risco de trombose e níveis mais estáveis de Hemoglobina., Indiretamente, será reduzido o custo desse tratamento, por proporcionar menor número de infusões por ano e menos complicações clínicas, e consequentemente menos exames, menos internações., Indiretamente, reduzirá os custos com o transporte do paciente aos centros de infusão.
18/11/2024	Organização da Sociedade Civil	Boa	Os pacientes de HPN do mundo inteiro encontram-se num momento privilegiado, com o aparecimento de opções terapêuticas inovadoras e de comprovada eficácia. Além do Eculizumabe e do Ravilizumabe, seguem aprovados pelos órgãos regulatórios europeu (EMA) e norte-americano (FDA): o Pegcetacoplan e o Iptacopan. O primeiro deles, inclusive, também já foi aprovado pela Anvisa., , A não menção a esses medicamentos, no Protocolo Clínico nega aos médicos e também aos pacientes e familiares o conhecimento de alternativa terapêutica.	"Um ponto relevante a ser mencionado é a manutenção Teste de Coombs para acompanhamento da HPN. Trata-se de um exame comprovadamente eficaz para diferenciar a doença de outras autoimunes, mas estudos revelam a possibilidade de pacientes positivarem por conta do próprio tratamento., , Vale destacar ainda que - conforme o exibido na série ""Viver é Raro"" , no episódio sobre HPN, estamos diante de uma doença marcada pela presença de fadiga extrema e cujos pacientes muitas vezes enfrentam problemas trabalhistas por conta de deslocamento para tratamento infusional. A retirada da aplicação da escala FACIT do PCDT vigente, empobrece a análise de um dos principais fardos da patologia. É importante rever este tópico., , Cabe a nós, sociedade civil, buscar sensibilizar o governo sobre esta questão (fadiga), entre outras, de modo a demonstrar o impacto físico, emocional e financeiro não só ao paciente e sua família, mas também ao governo, responsável pela infraestrutura necessária ao tratamento."
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	Não	Não
18/11/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
18/11/2024	Profissional de saúde	Boa	<p>O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é um documento bem elaborado e essencial para a implementação do ravulizumabe, trazendo avanços significativos no tratamento dessa condição rara. No entanto, acredito que algumas questões podem ser aprimoradas para ampliar o impacto positivo sobre os pacientes., , Um ponto importante é o uso de eculizumabe e ravulizumabe em pacientes pediátricos. O protocolo menciona o uso para menores de 14 anos, mas seria relevante especificar que ambos são seguros para crianças com peso acima de 10 kg, beneficiando um maior número de pacientes pediátricos. Estudos destacam que o tratamento precoce com eculizumabe reduz complicações graves, enquanto o ravulizumabe apresenta segurança e eficácia sustentadas para essa população., , No manejo, destaco a necessidade de reforçar o papel de terapias de suporte, como fatores de crescimento granulocitários (G-CSF), imunossupressores e tratamentos com andrógenos (ex.: danazol), que podem oferecer suporte adicional. Em relação à profilaxia de infecções, é essencial garantir o acesso às vacinas da tabela CRIE, considerando a vulnerabilidade imunológica dos pacientes com HPN., , Quanto ao monitoramento, seria importante incluir exames de função hepática (bilirrubinas, TGO/TGP) e eletrólitos (Na, K, Mg) para um acompanhamento mais abrangente. Além disso, casos específicos de doses ajustadas de eculizumabe, devidamente justificadas, também deveriam ser contemplados., , Por fim, sugiro que futuras revisões do PCDT considerem a expansão de centros de referência para facilitar o acesso ao tratamento e promover mais equidade. Apesar dessas sugestões, o protocolo é robusto e representa um avanço indispensável para os pacientes. Sua aprovação é essencial, especialmente para garantir a implementação do ravulizumabe, que já demonstrou ser uma terapia eficaz e segura.</p>	
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa		
18/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		
18/11/2024	Paciente	Muito boa	Não	Não
18/11/2024	Interessado no tema	Muito boa		

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
18/11/2024	Profissional de saúde	Regular	Gostaria que a incorporação fosse mais ampla, incluindo pacientes sintomáticos, não só aqueles com anemia com hemoglobina < 10g/dL. Muitos pacientes com HPN clássica sem qualquer falência medular, podem apresentar muitos sintomas relacionados a musculatura lisa, scavenger de oxido nítrico, ou seja, relacionado a hemólise intravascular, mas não desenvolvem anemia, inclusive com LDH > 1,5 x o limite superior da normalidade. Esses pacientes tem risco aumentado de fenômenos trombóticos, mesmo sem anemia significativa, mas com outros sinais de alta carga de doença., Referência, Höchsmann B, Peffault de Latour R, Hill A, Röth A, Devos T, Patriquin CJ, Chou WC, Jain D, Zu K, Wu C, Lee JW. Risk factors for thromboembolic events in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH): a nested case-control study in the International PNH Registry. Ann Hematol. 2023 Nov, 102(11):2979-2988. doi: 10.1007/s00277-023-05402-3. Epub 2023 Sep 5. PMID: 37668788, PMCID: PMC10567964.	O teste de Coombs pode ser positivo em pacientes previamente transfundidos devido a aloimunização, já que o teste só consegue ver anticorpos ligados a parede da hemácia. Muitos pacientes podem deixar de se beneficiar do tratamento pela presença do teste positivo, mesmo que esse não seja o culpado pela hemólise e sim o complemento. Sugiro retirar a restrição de negatividade do Teste de Coombs para início de tratamento. Deixar claro que a exclusão é se a anemia for hemolítica auto-imune, pois fica bem mais clara a contra-indicação. Além disso, o teste de Coombs pode ser positivo em uma parcela da população que não tem hemólise., Referência: Zarandona JM, Yazer MH. The role of the Coombs test in evaluating hemolysis in adults. CMAJ. 2006 Jan 31, 174(3):305-7. doi: 10.1503/cmaj.051489. PMID: 16446468, PMCID: PMC1373708.
18/11/2024	Paciente	Muito boa		
18/11/2024	Profissional de saúde	Boa	Tenho uma paciente com HPN que faz tratamento com eculizumabe há 11 anos, com ótimos resultados, porém com necessidade de uso quinzenal da medicação, o que a limita para viagens fora de seu domicílio por conta da medicação: A incorporação do ravalizumabe irá atender essa demanda de períodos mais longos de intervalo entre uma aplicação e outra, sem comprometer eficácia.	O ravalizumabe tem farmacocinética mais previsível que o eculizumabe e menos chance de hemólise de escape.
18/11/2024	Interessado no tema	Muito boa	Não	A importância de oferecer acessibilidade ao tratamento dos inúmeros pacientes com HPN.

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	<p>O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) define a inclusão de pacientes no tratamento específico com inibidores de C5 com base na proporção do clone HPN, sendo excluídos aqueles com clones inferiores a 10%. No entanto, essa abordagem pode desconsiderar casos clínicos relevantes de pacientes com clones menores que apresentam evidências claras de hemólise, comprometendo o controle adequado da doença em situações específicas., Estudos têm demonstrado que, embora menos frequente, pacientes com clones HPN entre 1% e 10% podem apresentar manifestações clínicas típicas da HPN clássica, incluindo hemólise intravascular significativa, com desidrogenase láctica (DHL) elevada, anemia hemolítica sintomática e complicações tromboembólicas. A hemólise nesses pacientes está associada à ativação do sistema complemento, independente do tamanho do clone, o que reflete uma alta atividade da doença. Ignorar tais manifestações com base em um corte rígido de 10% pode levar ao subtratamento e ao aumento da morbimortalidade relacionada à HPN., Recomenda-se, portanto, que o limite do clone HPN para exclusão do tratamento seja revisado, sendo considerado inferior a 1%. Pacientes com clones entre 1% e 10% que apresentem evidências laboratoriais (DHL elevada, haptoglobina diminuída, reticulocitose) e clínicas de hemólise devem ser incluídos na categoria de HPN clássica, uma vez que o diagnóstico clínico-laboratorial prevalece sobre critérios estritamente quantitativos., Portanto, a adoção de um critério mais inclusivo, considerando pacientes com clones HPN inferiores a 10% que apresentem alta atividade da doença, contribuiria para um tratamento mais eficaz e equitativo, reduzindo complicações e mortalidade associadas à</p>	
18/11/2024	Profissional de saúde	Boa		<p>Gostaria de destacar:, - A importância da inclusão de novo inibidor de C5 (ravalizumabe) que poderá trazer mais qualidade de vida aos pacientes, dado o perfil posológico mais favorável e não inferioridade de resultados comparado ao inibidor de C5 em uso atual. (eculizumabe), - Importante considerar de forma mais clara e objetiva o tratamento da hemólise de escape, mesmo considerando que a maioria não será necessário tratamento, em situações específicas são necessárias doses extra de medicação inibidora de complemento (Ex cirurgias, gestação entre outras)., - Apesar da bula do novo inibidor de C5 considerar o peso de > 10kg para prescrição, o PCDT ainda faz referencia a idade de 14 anos como critério de inclusão, gostaria que esse critério (idade) fosse melhor esclarecido., - Não ha informações sobre inibidores de C3</p>
18/11/2024	Profissional de saúde	Muito boa	<p>A atualização do protocolo para Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) no sistema de saúde pública é crucial devido à natureza complexa e rara dessa desordem hematológica, que requer abordagens de tratamento personalizadas</p>	<p>A implementação de um protocolo atualizado que incorpore essas novas terapias e estratégias de inibição proximal do complemento pode melhorar significativamente os resultados hematológicos e a qualidade de vida dos pacientes. Por</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	O que você achou desta proposta de protocolo ou diretriz?	Você gostaria de alterar ou incluir alguma informação ao texto? Qual(is)	Gostaria de comentar sobre algum outro aspecto?
18/11/2024	Organização da Sociedade Civil	Regular	O Eculizumabe tem proporcionado um bom atendimento terapêutico aos pacientes de HPN. Aliado a ele, cita-se o Ravilizumabe, o Pegcetacoplan e o Iptacopan. Estes dois últimos incorporados pelos órgãos regulatórios europeu (EMA) e norte-americano (FDA). Isto põe o paciente HPN com boas perspectivas de tratamento. Cabe destacar que o o Iptacopan foi aprovado pela ANVISA, também. São medicamentos que poderiam ter sido citados no Protocolo em questão para dar melhores opções terapêuticas. É a sugestão.	Alguns exames são fundamentais para o acompanhamento da HPN, entre eles o Teste do Coobs que não consta no PCDT. Poderia constar, É a sugestão. O Teste contribui para diferenciar a doença de outras autoimunes. HPN é uma doença de fadiga extrema e cujos pacientes enfrentam problemas trabalhistas por conta de deslocamento para tratamento infusional. A ausência de aplicação da escala FACIT do PCDT vigente, empobrece a análise de um dos principais fardos da patologia, ou seja , a fadiga. Sugestão, rever este tópico.