

## Contribuições da Consulta Pública - Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas Mucopolissacaridose tipo II - 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?
28/08/2024	Profissional de saúde	Boa	<p>página 6: a regressão neurológica se consolida aos 6 anos de idade, apesar de iniciar precocemente nos casos graves. Página 6: iniciar a frase... Nesses pacientes de forma atenuada, não há como prever, em idade precoce, se o paciente apresentará ou não regressão neurológica. retirar a parte final... forma grave da doença ou forma atenuada. página 7: acrescentar... Existe uma TRE de segunda geração que atravessa a barreira hemato-encefálica, por infusão intravenosa, aprovada no Japão e em fase III de desenvolvimento clínico inclusive no Brasil, que está em fase de registro na ANVISA e poderá ser uma opção de tratamento para os pacientes neurológicos., ref: Okuyama, Torayuki et al. "A Phase 2/3 Trial of Pabinafusp Alfa, IDS Fused with Anti-Human Transferrin Receptor Antibody, Targeting Neurodegeneration in MPS-II." Molecular therapy : the journal of the American Society of Gene Therapy vol. 29,2 (2021): 671-679. doi:10.1016/j.ymthe.2020.09.039 página 22: benefício adicional... , sendo a triagem neonatal fundamental para que esse início precoce seja atendido.</p>	<p>Esta TRE de segunda geração mencionada acima, para ser inserida na página 7, já está em estudo clínico no Brasil desde 2018 e atualmente está recrutando pacientes para o estudo global de fase III. Esta terapia atravessa a barreira hemato-encefálica, por infusão intravenosa e foi aprovada no Japão em 2021 e está em fase final de registro na ANVISA, podendo ser uma opção de tratamento para os pacientes neurológicos, que hoje não tem nenhuma outra opção terapêutica.</p>
28/08/2024	Empresa	Boa	<p>Página 6: a regressão neurológica se consolida aos 6 anos de idade, apesar de iniciar precocemente nos casos graves. Página 6: iniciar a frase... Nesses pacientes de forma atenuada, não há como prever, em idade precoce, se o paciente apresentará ou não regressão neurológica. retirar a parte final... forma grave da doença ou forma atenuada. página 7: acrescentar... Existe uma TRE de segunda geração que atravessa a barreira hemato-encefálica, por infusão intravenosa, aprovada no Japão e em fase III de desenvolvimento clínico inclusive no Brasil, que está em fase de registro na ANVISA e poderá ser uma opção de tratamento para os pacientes neurológicos., ref: Okuyama, Torayuki et al. "A Phase 2/3 Trial of Pabinafusp Alfa, IDS Fused with Anti-Human Transferrin Receptor Antibody, Targeting Neurodegeneration in MPS-II." Molecular therapy : the journal of the American Society of Gene Therapy vol. 29,2 (2021): 671-679. doi:10.1016/j.ymthe.2020.09.039 página 22: benefício adicional... , sendo a triagem neonatal fundamental para que esse início precoce seja atendido.</p>	<p>Esta TRE de segunda geração mencionada acima, para ser inserida na página 7, já está em estudo clínico no Brasil desde 2018 e atualmente está recrutando pacientes para o estudo global de fase III. Esta terapia atravessa a barreira hemato-encefálica, por infusão intravenosa e foi aprovada no Japão em 2021 e está em fase final de registro na ANVISA, podendo ser uma opção de tratamento para os pacientes neurológicos, que hoje não tem nenhuma outra opção terapêutica.</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?
30/08/2024	Profissional de saúde	Boa	<p>"página 6: a regressão neurológica se consolida aos 6 anos de idade, apesar de iniciar precocemente nos casos graves. Página 6: iniciar a frase... Nesses pacientes de forma atenuada, não há como predizer, em idade precoce, se o paciente apresentará ou não regressão neurológica. retirar a parte final... forma grave da doença ou forma atenuada. página 7: acrescentar... Existe uma TRE de segunda geração que atravessa a barreira hemato-encefálica, por infusão intravenosa, aprovada no Japão e em fase III de desenvolvimento clínico inclusive no Brasil, que está em fase de registro na ANVISA e poderá ser uma opção de tratamento para os pacientes, neurológicos., ref: Okuyama, Torayuki et al. ""A Phase 2/3 Trial of Pabinafusp Alfa,, IDS Fused with Anti-Human, Transferrin Receptor Antibody, Targeting Neurodegeneration in, MPS-II."" Molecular therapy : the journal of the American Society of, Gene Therapy vol. 29,2 (2021):, 671-679. doi:10.1016/jymthe.2020.09.039 página 22: benefício adicional..., sendo a triagem neonatal fundamental para que esse início precoce seja atendido., Esta TRE de segunda geração mencionada acima, para ser inserida na página 7, já está em estudo clínico no Brasil desde 2018 e atualmente está recrutando pacientes para o estudo fase III. Esta terapia atravessa a barreira hemato-encefálica, por infusão, intravenosa e foi aprovada no Japão em 2021 e está em fase final de registro na ANVISA, podendo ser uma opção de tratamento para os pacientes neurológicos, que hoje não tem nenhuma outra opção, terapêutica."</p>	<p>Esta TRE de segunda geração mencionada acima, para ser inserida na página 7, já está em estudo clínico no Brasil desde 2018 e atualmente está recrutando pacientes para o estudo fase III. Esta terapia atravessa a barreira hemato-encefálica, por infusão, intravenosa e foi aprovada no Japão em 2021 e está em fase final de registro na ANVISA, podendo ser uma opção de tratamento para os pacientes neurológicos, que hoje não tem nenhuma outra opção, terapêutica.</p>
12/09/2024	Profissional de saúde	Muito boa	<p>"página 6: a regressão neurológica se consolida aos 6 anos de idade, apesar de iniciar precocemente nos casos graves. , , Página 6: iniciar a frase... Nesses pacientes de forma atenuada, não há como predizer, em idade precoce, se o paciente apresentará ou não regressão neurológica. retirar a parte final... forma grave da doença ou forma atenuada. , , página 7: acrescentar... Existe uma TRE de segunda geração que atravessa a barreira hemato-encefálica, por infusão intravenosa, aprovada no Japão e em fase III de desenvolvimento clínico inclusive no Brasil, que está em fase de registro na ANVISA e poderá ser uma opção de tratamento para os pacientes neurológicos., ref: Okuyama, Torayuki et al. ""A Phase 2/3 Trial of Pabinafusp Alfa, IDS Fused with Anti-Human Transferrin Receptor Antibody, Targeting Neurodegeneration in MPS-II."" Molecular therapy : the journal of the American Society of Gene Therapy vol. 29,2 (2021): 671-679. doi:10.1016/jymthe.2020.09.039 , , página 22: benefício adicional..., sendo a triagem neonatal fundamental para que esse início precoce seja atendido., Esta TRE de segunda geração mencionada acima, para ser inserida na página 7, já está em estudo clínico no Brasil desde 2018 e atualmente está recrutando pacientes para o estudo fase III. Esta terapia atravessa a barreira hematoencefálica, por infusão intravenosa e foi aprovada no Japão em 2021 e está em fase final de registro na ANVISA, podendo ser uma opção de tratamento para os pacientes neurológicos, que hoje não tem nenhuma outra opção terapêutica., "</p>	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?
12/09/2024	Profissional de saúde	Muito boa	"página 6: a regressão neurológica se consolida aos 6 anos de idade, apesar de iniciar precocemente nos casos graves. Página 6: iniciar a frase... Nesses pacientes de forma atenuada, não há como prever, em idade precoce, se o paciente apresentará ou não regressão neurológica. retirar a parte final... forma grave da doença ou forma atenuada. página 7: acrescentar... Existe uma TRE de segunda geração que atravessa a barreira hemato-encefálica, por infusão intravenosa, aprovada no Japão e em fase III de desenvolvimento clínico inclusive no Brasil, que está em fase de registro na ANVISA e poderá ser uma opção de tratamento para os pacientes, neurológicos., ref: Okuyama, Torayuki et al. ""A Phase 2/3 Trial of Pabinafusp Alfa,, IDS Fused with Anti-Human, Transferrin Receptor Antibody, Targeting Neurodegeneration in, MPS-II."" Molecular therapy : the journal of the American Society of, Gene Therapy vol. 29,2 (2021):, 671-679. doi:10.1016/jymthe.2020.09.039 página 22: benefício adicional..., sendo a triagem neonatal fundamental para que esse início precoce seja atendido., Esta TRE de segunda geração mencionada acima, para ser inserida na página 7, já está em estudo clínico no Brasil desde 2018 e atualmente está recrutando pacientes para o estudo fase III. Esta terapia atravessa a barreira hemato-encefálica, por infusão, intravenosa e foi aprovada no Japão em 2021 e está em fase final de registro na ANVISA, podendo ser uma opção de tratamento para os pacientes neurológicos, que hoje não tem nenhuma outra opção, terapêutica."	Na
13/09/2024	Interessado no tema	Muito boa	Não	Otimo tema! Tem meu apoio.
14/09/2024	Interessado no tema	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?
16/09/2024	Profissional de saúde	Regular	<p>Creio que duas partes merecem ser revisadas: 1) Em relação ao diagnóstico, é fundamental incluir como pré-requisito que seja demonstrada a dosagem quantitativa elevada glicosaminoglicanos (GAGs). Isso é importante porque há casos em que se identifica a atividade deficiente da enzima iduronato sulfatase sem a elevação dos GAGs, o que se chama de pseudodeficiência (nesses casos, não se confirma o diagnóstico de mucopolissacaridoses). Da mesma forma, a ocorrência de uma alteração genética, para confirmar um diagnóstico, deve estar associada a uma elevação quantitativa dos GAGs. Assim, eu colocaria como pré-requisito para o diagnóstico a elevação quantitativa dos GAGs em um dos fluidos corporais (são usualmente medidos na urina mas podem ser medidos também no plasma ou no sangue em papel filtro), acompanhado de comprovação da deficiência da atividade de iduronato sulfatase em leucócitos OU da presença de uma mutação patogênica no gene IDS. Caso a deficiência enzimática tenha sido identificada no sangue em papel filtro, seria recomendável que fosse requerido deficiência enzimática + mutação patogênica. Quanto ao método de dosagem quantitativa dos GAGs, é importante mencionar que cada vez mais se emprega a determinação por espectrometria de massa in tandem, método que deveria constar ao lado da dosagem colorimétrica. Acho importante ressaltar que os métodos qualitativos (eletroforese ou cromatografia) não devem ser considerados, por estarem sujeitos a variações e erros de interpretação. 2) Em relação ao horizonte tecnológico, é importante mencionar a iminente disponibilização da terapia de reposição enzimática de segunda geração, capaz de atravessar a barreira sangue-cérebro e tratar as manifestações neurológicas da MPS II, presentes em cerca de 70% dos pacientes. Esse tratamento revolucionou o tratamento de MPS II no Japão, onde a medicação já está aprovada, e isso poderá acontecer também no Brasil, uma vez que a medicação está em análise pela ANVISA.</p>	Não tenho outros comentários
16/09/2024	Organização da Sociedade Civil	Muito boa	Sim, a SBGM tem uma série de sugestões para contribuir, que estão detalhadas no anexo.	Não
16/09/2024	Organização da Sociedade Civil	Muito boa	O relatório da CONITEC está bem mais abrangente. Depois de lê-lo, concordamos com a incorporação do medicamento IDURSULFASE ALFA para o tratamento de MPS-II	NÃO
16/09/2024	Paciente	Boa	Sou portadora do Angeodema Hereditário Estou tendo muita crise e não recebi minhas medicações	Preciso muito das minhas medicações da Angeodema Hereditário

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?
16/09/2024	Organização da Sociedade Civil	Regular	A Casa Hunter, uma instituição dedicada ao apoio de pacientes com doenças raras e seus cuidadores, nasceu em decorrência do diagnóstico de MPS Tipo II severa no filho de seu fundador. Desde então, a organização procurou abraçar todos os aspectos da jornada do paciente com doença rara, desde ações que facilitem o diagnóstico de uma patologia até o acesso a tratamento, quanto existente., , No caso da MPS Tipo II é de absoluta importância incluir neste PCDT a existência de uma Terapia de Reposição Enzimática (TRE) já existente dedicada à patologia, que consegue ultrapassar a barreira hematoencefálica. A medicação, inclusive, já foi aprovada pela agência reguladora do Japão. O estudo clínico Fase II desta medicação foi iniciado no Brasil em 2018 e, neste momento, encontra-se em Fase III., , Vale lembrar ainda que o estudo em questão encontra-se em fase de registro na Anvisa e oferece uma opção terapêutica para os pacientes neurológicos., ,	Os pacientes de Mucopolissacaridose dos Estados Unidos têm comemorado nos últimos dois anos um importante avanço neste grupo de doenças: a inclusão da patologia na Triagem Neonatal. Considerando os ganhos do diagnóstico precoce nas patologias raras multissistêmicas, progressivas e degenerativas como a MPS, é de fundamental a inclusão a documentação deste item no PCDT de MPS Tipo II.
16/09/2024	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	Regular	não	não
16/09/2024	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	Muito boa	A Takeda é uma líder biofarmacêutica global com 243 anos de história e presença no Brasil há mais de 70 anos. Nossos valores sólidos têm os pacientes no centro de todas as ações, as quais são orientadas por princípios éticos, de integridade, justiça, honestidade e perseverança. Temos o compromisso de proporcionar acesso formal aos nossos produtos e serviços, atuando de forma independente ou em colaboração com outras organizações e governos para encontrar soluções que tenham um impacto positivo, contínuo e significativo nos pacientes. Primeiramente, congratulamos o Ministério da Saúde pelo processo transparente e democrático de Avaliação de Tecnologias em Saúde liderado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec) que permeia, também, os processos de desenvolvimento e atualização dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas, beneficiando os pacientes, provendo saúde e qualidade de vida. Na ocasião desta contribuição, a Takeda tem como objetivo colaborar com o relatório preliminar apresentado elementos adicionais que possam ser relevantes para a avaliação da Conitec nesse processo atualização do PCDT de Mucopolissacaridose II.	Essa contribuição está contemplada no arquivo anexo.
16/09/2024	Profissional de saúde	Muito boa	sim	sim