

Contribuições da Consulta Pública - Formulário ATS - Migalastate para tratamento de pacientes doença de Fabry mutação suscetível - Conitec

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 19/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 19/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento muito caro e quase ninguém terá acesso ao tratamento sem o SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - O acúmulo de proteína que a falta dessa enzima faz é absurdamente devastadora, meu primo de 18 anos já perdeu o seu rim e o que foi transplantado também, outro que ainda é criança está quase cego por causa dessa doença e o SUS fazendo burocracia.	5ª - Sem condições de fazer o tratamento sem o auxílio do SUS.
Profissional de saúde 19/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As tecnologias evoluem e com o aumento de possibilidades de tratamento, aumenta também a esperança dos pacientes. Todas as vidas importam.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Migalastate., Positivo e facilidades: Ter o medicamento migalastate disponível aos pacientes é maravilhoso por ser mais uma opção terapêutica para uma doença grave e rara. Quanto mais terapias estiverem disponíveis, mais oportunidade de vida tem os pacientes. O fato de ser ingerido por via oral traz comodidade ao paciente. , Negativo e dificuldades: Acredito que a maior dificuldade nesse momento é o acesso ao medicamento.,	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.
Paciente 19/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Devido a dificuldade ao acesso, a inclusão ao SUS facilitaria a vida de nós pacientes.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Replagal, Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida., Negativo e dificuldades: O maior obstáculo desde do início do uso da medicação é a dificuldade de receber a medicação, o acesso ainda é um problema recorrente.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pessoas com doenças raras precisam de muita ajuda.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Não possui , Positivo e facilidades: Não possui , Negativo e dificuldades: Não possui	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 19/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim, como paciente, Qual: Não possui , Positivo e facilidades: Não possui , Negativo e dificuldades: Não possui	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 20/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do Migalastate oferece uma opção terapêutica inovadora para pacientes com mutações suscetíveis, proporcionando um manejo mais prático e melhorando a adesão ao tratamento. Contudo, é essencial garantir análise econômica robusta e critérios claros de elegibilidade.,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Migalastate, utilizado no manejo da Doença de Fabry para pacientes com mutações suscetíveis à terapia., Positivo e facilidades: O Migalastate demonstrou benefícios como estabilização da função renal e redução da hipertrofia ventricular esquerda, além de melhorar a adesão ao tratamento devido à administração oral e à redução dos efeitos gastrointestinais relatados em estudos como ATTRACT e FACETS., Negativo e dificuldades: O alto custo da tecnologia e a limitação para pacientes com mutações suscetíveis podem restringir seu impacto no SUS. Há também incertezas quanto à superioridade clínica em relação às terapias de reposição enzimática (TRE) já disponíveis.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Terapias de reposição enzimática (alfagalsidase e betagalsidase)., Positivo: Redução significativa dos níveis de GL-3 e estabilização da progressão da Doença de Fabry em pacientes elegíveis., Negativo: Dificuldades logísticas relacionadas à administração intravenosa e reações adversas associadas às infusões.	4ª - Sim, reforço a importância de considerar os dados apresentados nos estudos ATTRACT e FACETS sobre a eficácia e segurança do Migalastate.	5ª - Sim, resalto que a análise deve levar em conta os benefícios adicionais do tratamento oral para pacientes com mutações específicas, otimizando os recursos do SUS.
Profissional de saúde 20/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É importante que os pacientes tenham opções de tratamento disponíveis e que contribuam para sua qualidade de vida.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: MIGALASTATE, Positivo e facilidades: Pontos positivos: Oportunidade terapêutica para os pacientes e mais uma opção de tratamento para os médicos., , Negativo e dificuldades: Pontos negativos: Dificuldade no acesso ao medicamento	3ª - Não	4ª - NÃO	5ª - NÃO
Paciente 20/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, RÉMÉDIO DE ALTO CUSTO, DOENÇA PROGRESSIVA E GENÉTICA, QUE REDUZ O TEMPO DE VIDA DO PACIENTE.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse remédio é importante para salvar vidas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essencial termos mais opcoes de tratamento para doenca de Fabry.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - N/A	5ª - N/A
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

I

I

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Na nossa família estamos com muitos com diagnóstico positivo desta doença. E precisamos de apoio do estado para tratar essa doença e trazer .ais qualidade de vida para todos.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento de altíssimo custo e ajuda salvar vidas, super necessário a incorporação dele no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento muito caro e ele é usado de maneira contínua, ou seja, pra grande maioria da população o tratamento se torna inviável.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: corticoides, , Positivo: nada a declarar, Negativo: muitos efeitos colaterais	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Minha filha foi diagnosticada...eu e outra filha também testamos positivo p Fabry...se é a medição indicada, é não temos condições como outras pessoas também não tem condições de adquirir pois é alto custo..E justo que o SUS forneça..todo Cidadão tem direito a qualidade de vida..	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Imoglobulina, Pulsiterapia, Positivo: Apenas reações...não vimos melhoras, Negativo: Muito sofrimento...abaixar a imunidade..e não trás resultado	4ª - Minha filha já tem 4 anos sem qualidade de vida.	5ª - Uma medição mais de 50 mil..pra tonar um dia sin .outro não...realmente não temos condições
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Doença rara precisão de tratamento... ótimo medicamento	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Galafold 123mg, Positivo e facilidades: Posologia, Ausência de punções , Ausência de efeitos colaterais , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Evidencia pessoal	5ª - Imagino que medicação oral seja mais barato e menos agressivo.que infusoes a cada 2 semanas

I

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 22/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sabemos que a saúde é um direito do cidadão e um dever do Estado, priorizar a incorporação de drogas como o Migalstat é priorizar a Vida e a qualidade de vida de pacientes que não tem a quem recorrer se não ao Estado Maior.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Oportunidade de conhecer o mecanismo de ação do Alfagalsidase (infusional) para doença de Fabri., Positivo e facilidades: Devemos levar em consideração a qualidade de vida que é devolvida ao paciente., Permitir que o paciente não necessite realizar infusões, E poder realizar tratamento oral permite que ele tenha essa qualidade. O agravamento em um determinado período pode debilitar suas faculdades cognitivas dificultando sua locomoção. A droga Migalstat precisa estar disponível para os pacientes portadores de Fabri., Negativo e dificuldades: Não vejo aspecto negativo ou dificuldades, somente vejo facilidade e comodidade e maior adesão ao tratamento.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Alfagalsidase, Positivo: Melhora do quadro clínico, retardamento no avanço do agravamento., Negativo: Não precisar fazer infusões e poder administrar oralmente a droga faz toda diferença na vida do paciente	4ª - Não	5ª - Não.
Interessado no tema 22/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A possibilidade de fazer o tratamento oral vai ajudar o paciente a fazer um tratamento correto, eficaz e com mais qualidade de vida. Acredito que uma opção melhor de tratamento deve ser oferecida ao profissional de saúde para que possa utilizar nos pacientes que considera elegível ao tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 22/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que os remédios e procedimentos devem ser incorporados ao SUS já que tantas pessoas já foram diagnosticadas com a doença e estão à espera de medicamentos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que os procedimentos devem ser incorporados ao SUS já que a doença tem muitos portadores que necessitam de medicamentos e não tem acesso a ele devido ao custo dele	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Nenhum, Positivo e facilidades: Nenhum, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 27/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essas consultas públicas deveriam ocorrer para facilitar o acesso ao tratamento, e não burocratizar ainda mais o acesso ao tratamento. As doenas raras não são tão raras assim, pois atingem uma gama de pessoas que custam a conseguir o tratamento que muitas vezes é a única opção para salvar a vida do paciente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - não se aplica	5ª - o que podemos alegar é que se o medicamento estiver incorporado o estado não ficaria com o peso das demandas judiciais, além de poder garantir o aceso com menos burocracias e com mais segurança.
Interessado no tema 28/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, MEDICAMENTO DE ALTO CUSTO, NECESSÁRIO DE USO CONTINUO, PACIENTES COM QUALIDADE DE VIDA REDUZIDA,ÍNDICE DE MORTALIDADE GRANDE E É UMA DOENÇA MUITO SÉRIA.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Minha sobrinha foi diagnósticada com a Fabry, e a medicacao prescrita e o Migalastate	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todos tem o direito de ter momentos melhores e menos sofrível na vida.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Nenhum. Faz efeito..., Positivo: Melhora na locomoção e diminuição das dores e erupções na pele , Negativo: Nenhum...	4ª - Não	5ª - Nao
Paciente 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Preciso deste medicamento para viver mais tranquila. Não quero mais AVCs e outros problemas. Preciso tomar o Galafold para viver bem!	2ª - Sim, como paciente, Qual: Fabrazyme e Galafold., Positivo e facilidades: Não tive mais nenhuma intercorrência da doença., Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como paciente, Qual: Fabrazyme , Positivo: Não tive mais intercorrências , Negativo: Cefaleia.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Saúde é direito de todos e as pessoas não têm dinheiro para custear medicamentos de alto custo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/12/2024	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, Em anexo.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Em anexo., Positivo e facilidades: Em anexo., Negativo e dificuldades: Em anexo.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Em anexo., Positivo: Em anexo., Negativo: Em anexo.	4ª - Em anexo.	5ª - Em anexo.
Interessado no tema 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com a medicação incorporada no sus todos os pacientes terão mais facilidade de fazer o tratamento adequado para a doença	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Fabrazime, Positivo: Melhoras na qualidade de vida , Negativo: Nenhuma	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo ser vivo tem direito a tratar suas doenças.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Fica mais acessível para fazer o tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esta medicação oferecerá dignidade à parcela significativa de pacientes com Fabry que não tem condições de alcançar tratamento de outra forma, ou dependem de punções periódicas para conseguir tratamento menos eficiente.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Galafold, Positivo e facilidades: Minha efetiva experiência se limitou à constatação de que a mutação do meu filho é suscetível a esta medicação, além da consciência de que ela tem a capacidade de penetrar no cérebro, oferecendo mais proteção que as alternativas intravenosas. Minha esperança e sonho do meu filho é poder efetuar seu tratamento sem a necessidade de agulhas ou hospitais, experiências que são sempre difíceis., Negativo e dificuldades: Nenhuma com relação ao uso da medicação. O único resultado negativo é a tristeza dos pacientes de Fabry com mutação não suscetível, pois eles continuarão tendo acesso a tratamento para a doença exclusivamente através de agulhas e hospitais.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Replagal, Positivo: Diminuição de dores neuropáticas, habilidade de suar, consciência da proteção dos rins e coração do meu filho., Negativo: A necessidade de punção e visita a hospital a cada infusão são experiências difíceis e traumáticas. Risco periódico de hematomas e dores no local das punções. , As necessidades de armazenamento da medicação em baixas temperaturas dificulta o seu transporte e disponibilidade em uma vida ativa, restringindo muito a capacidade do paciente de viajar e se abster do local de tratamento por períodos longos de tempo.	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A alegria decorrente da incorporação desta medicação ao SUS não caberia em palavras, eu estaria reebendo a minha dignidade de volta! , Adeus às agulhas, adeus aos riscos inerentes a visitas hospitalares. Torço para que a medicação já esteja incorporada no meu aniversário de 12 anos.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Replagal, Positivo: Diminuição de dores neuropáticas, habilidade de suar e grande diminuição no nível de Lyso-Gb3., Negativo: Necessidade de punções doloridas, visitas a hospital que consomem horas a cada infusão, dificuldade de viajar livremente, pois sempre preciso retornar ao hospital onde tenho acesso à medicação.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Remédio oral muito mais fácil de ser usado	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Fabrazyme, Galafold , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fabrazyme , Positivo: , Negativo: Tem que ser feito por infusão quinzenal. Difícil profissional para fazer e muito tempo de espera e de infusão.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por ser uma doença rara e uma medicação cara, acredito ser muito importante ser acessível para quem não tem condições de pagar. Também acho importante ser comprimido, pois a criança que conheço com esta doença só tem 10 anos e todas vez que tem que fazer o tratamento com a outra medicação ele tem que ir ao hospital fazer, pois é intravenosa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação da medicação ao SUS será uma grande felicidade e liberdade para a vida do meu neto	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Replagal, Positivo: Proteção para os órgãos do meu neto, bem como redução das dores e a habilidade de suar, Negativo: A necessidade de punções é sempre traumática para o meu neto, e as visitas ao hospital dificultam suas estadias para me visitar	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 31/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pelo alto custo do medicamento a maioria dos portadores de fabri não tem acesso e ficam sem tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 31/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Será uma grande felicidade ver o meu sobrinho-neto poder se manter em dia com o seu tratamento sem precisar pela tristeza e dor de punções periódicas.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Replagal, Positivo: Diminuição das dores neuropáticas e capacidade de suar, Negativo: Os dias de infusão são sempre uma tristeza, às vezes meu sobrinho neto fica triste e choroso dias antes de precisar ir punccionar o braço para o tratamento.	4ª - Não	5ª - Sei que meu sobrinho-neto será um homem grande, o tratamento com Galafold será ainda mais barato do que com o Replagal à medida que ele crescer.
Interessado no tema 31/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser inserido pois os pacientes têm o direito de ter acesso a outras opções de medicação e que possam facilitar e melhorar a sua qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não,	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 31/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 02/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que tem que ser incorporar no sus pois vai ajudar muito os pacientes com doença de fabry que tem muitas complicações pois a doença é multi sistêmica	2ª - Sim, como paciente, Qual: Com replagal , Positivo e facilidades: Somente experiência boa o medicamento ajuda muito , Negativo e dificuldades: Somente experiência boa o medicamento ajuda muito	3ª - Sim, como paciente, Qual: Com a gabapentina para as dores , Positivo: Tem ajudado muito com as dores , Negativo: Não tem pontos negativos	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 02/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Hoje não tenho nenhum tratamento, mesmo com 26 anos e com diagnóstico à 5 anos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Acredito que com este medicamento nós pacientes teremos uma vida mais digna	5ª - Hoje não tenho condições de comprar os medicamentos de reposição então esse seria uma ajuda gigantesca para todos os pacientes
Interessado no tema 02/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "Esse é uma doença classificada como ""rara"" , mas isso se dá pelos insignificantes números de diagnóstico da mesma, o que caso contrário seria muito provável que teríamos um número de pacientes muito maior que o computador. Tenho contato com cinco pessoas diagnosticadas com a doença, entre elas meu filho de 2 anos e minha esposas de 34 anos, estamos há exatos 2 anos procurando iniciar o tratamento de ambos e ainda não conseguimos acesso a nenhum tipo de tratamento (seja particular ou por meio do IGEIM), enquanto o tempo passa, só agrava a saúde da minha esposa e filho e as internações em hospitais só se acumulam sem uma solução. Por isso que um tratamento ser incorporado ao SUS é de necessidade urgente para que pacientes tenham alguma alternativa, alguma sombra de esperança em ter uma possibilidade de ter uma vida razoável saudável e sem comprometimento devido o tempo de inoperância de tratamento."	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vidas precisam de ajuda	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 03/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "De acordo com os estudos atuais sobre o uso do Migalastate: , ""Em pacientes com experiência em ERT com doença de Fabry e uma variante GLA tratável , a troca para migalastate HCl 150 mg em dias alternados foi segura e bem tolerada ao longo de 30 meses, demonstrando estabilidade durável e de longo prazo da função renal no grupo geral de pacientes e redução no LVMi em pacientes com hipertrofia ventricular esquerda. Poucos pacientes apresentaram novos eventos clínicos associados à doença de Fabry durante o período de extensão de rótulo aberto de 12 meses do migalastate."" , É necessário que se atualize as tecnologias disponíveis, sempre ofertando o melhor medicamento que trará o controle da doença, dos sintomas e a maior qualidade de vida, além de minimizar os custos efetivos com os pacientes, uma vez que a doença fica controlada."	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Sim	5ª - Não
Interessado no tema 03/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado no SUS. A incorporação do migalastate ao SUS ampliaria as opções terapêuticas para a Doença de Fabry, oferecendo uma alternativa oral eficaz e segura, alinhada às necessidades individuais dos pacientes e potencialmente melhorando a adesão ao tratamento e os resultados clínicos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 03/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A inclusão do tratamento será de grande benefício aos portadores da doença de fabry pois o custo do tratamento da mesma é extremamente elevado o que impossibilita a maioria dos portadores a realizar qualquer tipo de tratamento além disso a inclusão do medicamento aumenta a qualidade de vida dos portadores da doença para que possam ter uma vida normal e realizar suas atividades do dia a dia com qualidade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Germain DP, et al. The effect of migalastat on clinical outcomes in males and females with Fabry disease: A , phase III randomized trial. FACETS., Hughes DA, et al. Migalastat versus enzyme replacement therapy in Fabry disease: Analysis of the ATTRACT , stud	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ele facilitará a vida e o tratamento das pessoas portadoras de doença de Fabry, dando a elas mais expectativa de vida e produtividade.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Nenhuma. , Positivo e facilidades: Não obtive uso deste medicamento., Negativo e dificuldades: Não obtive uso deste medicamento.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Não obtive uso deste medicamento. , Positivo: Não obtive uso deste medicamento. , Negativo: Não obtive uso deste medicamento.	4ª - O tratamento com migalastat é essencial para o manejo da Doença de Fabry, especialmente devido ao comprometimento cardíaco e à mutação p.N215S. O uso precoce da medicação pode prevenir complicações graves, estabilizar a função cardíaca e melhorar a qualid	5ª - Não tenho capacidade técnica para isto.

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 03/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo o medicamento que traz qualidade de vida e alívio para pacientes de uma doença tão rara é cruel como a doença de fabry deveria ser ofertado a essas pessoas o mais rápido possível.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Migalstate, Positivo e facilidades: Resultados positivos, melhora no quadro geral e não mudou em nada a rotina dos pacientes quanto a trabalho e escola, puderam continuar suas atividades normalmente., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fabrazyme e Replagal, Positivo: Todos tem resultados positivos se usados conforme prescrição médica e para mutações suscetíveis., Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como o diagnóstico da doença de Fabri é feito na infância, a opção de medicações orais é altamente positiva para evitar infusão intravenosas demoradas e com mais dificuldade de logística para o paciente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tendo esse medicamento no SUS vai ajudar	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 04/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Minha opinião se baseia principalmente no fato de que existem evidências abundantes de que, para pacientes com mutações suscetíveis, a terapia com migalastate traz benefícios comparáveis aos observados com a terapia de reposição enzimática, com a vantagem de ser uma droga oral que pode ser armazenada a temperatura ambiente administrada em casa, sem necessidade de infusões periódicas, cadeia de frio e viagem a centro de saúde para receber o tratamento.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: "Ao longo da minha trajetória profissional e científica tive a oportunidade de acompanhar o desenvolvimento de moléculas orais que podem resultar na diminuição do acúmulo de substratos que ocorre nas doenças lisossômicas e está diretamente ligado à sua fisiopatologia. A maioria dessas moléculas atua inibindo competitivamente a síntese de substratos. O migalastate, no entanto, tem um mecanismo de ação particular, que é o de ""proteger"" da sua inativação precoce, permitindo seu tráfego até o lisossomo. Inúmeros estudos realizados ao longo de muitos anos confirmaram que, para pacientes com mutações específicas, esse efeito resulta em aumento da degradação do substrato e benefícios comparáveis ou até superiores aos observados com a terapia específica convencional (terapia de reposição enzimática). Uma grande vantagem, que percebi desde que comecei a tratar os primeiros pacientes com essa estratégia, é o fato de ser uma medicação oral que pode ser armazenada à temperatura ambiente. Isso resulta tanto em maior comodidade para o paciente como em menor impacto logístico para o sistema de saúde, pois não exige a infusão intravenosa periódica ao longo de várias horas de um produto que requer cadeia de frio e administração em condições específicas, usualmente em um centro de saúde, exigindo deslocamento do paciente, por vezes por longas distâncias. ", Negativo e dificuldades: A principal dificuldade é que é um tratamento indicado apenas para pacientes que tenham mutações específicas, que sejam suscetíveis à ação do migalastate. Estima-se que em torno de 1/3 dos pacientes com doença de Fabry sejam candidatos ao tratamento com migalastate em nosso país.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: agalsidase alfa e agalsidase beta como prescritor, conheço também pegunigalsidase alfa. , Positivo: Todas as terapias de reposição enzimática para doença de Fabry são efetivas para reduzir o acúmulo de substrato nos tecidos, mas seu efeito é mais intenso quando a administração se dá em fases mais precoces da doença, quando ainda não houve dano irreversível aos órgãos-alvo. Os principais benefícios do tratamento são redução da progressão da doença, com retardo do surgimento de complicações e aumento da expectativa de vida. A principal vantagem da terapia de reposição enzimática é que se aplica a qualquer paciente com doença de Fabry, independente da mutação apresentada. , Negativo: O principal ponto negativo da terapia de reposição enzimática é a necessidade de infusões intravenosas quinzenais de um produto que exige cadeia de frio e cuidados especiais para sua administração, usualmente realizada em um centro de saúde, o que pode implicar em uma viagem longa para os pacientes a cada 15 dias.	4ª - Participei da elaboração de um consenso internacional sobre tratamento com migalastate para doença de Fabry, construído com metodologia Delphi, da qual resultou uma publicação que envio em anexo.	5ª - Considerando que os resultados do tratamento entre terapia de reposição enzimática e migalastate, para os pacientes com mutações suscetíveis, são comparáveis, a opção com migalastate deve ser considerada, desde que os custos sejam também comparáveis.
Paciente 04/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Fabrazyme, Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Uma alternativa terapêutica para uma doença metabólica rara de frequência elevada e altíssima morbimortalidade associada as alterações renais, cardiológicas, cerebrais e comprometimento sistêmico grave e progressivo	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Como a alfa galsidase, beta galsidase e migalastat, Positivo e facilidades: Tratamentos indicados para Doença de Fabry. Migalastate indicado como terapia oral para pacientes com Doença de Fabry e atividade enzimática residual, formas não clássicas e com variantes genéticas responsivas (suscetíveis) , Negativo e dificuldades: identificar o paciente com doença de Fabry com indicação correta para migalastat	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Terapia de reposição enzimática TRE, Positivo: A TRE mostra-se segura e eficaz no tratamento de pacientes com Doença de Fabry todas as formas e fenótipos , Negativo: Necessidade de ambiente adequado para realizar infusões quinzenais	4ª - arquivo anexado	5ª - Arquivo anexado

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes com a doença de Fabry merecem o direito a vida e saúde e acesso a um tratamento de qualidade. A migalastate tem muitas vantagens com relação a tratamentos alternativos (como a reposição enzimática) porque é mais fácil de ser aplicado, sem a necessidade de visita regular a uma unidade de saúde. Esse fato por si só já simplifica o acesso e realização do tratamento, além de trazer uma liberdade para o paciente de realizar o tratamento no conforto de sua própria casa e até mesmo poder realizar viagens sem comprometer o tratamento. Com o tratamento adequado que a migalastate traz, é possível para os pacientes controlarem seus sintomas e viver sem medo de sofrer um mal súbito que possa ter sequelas ou até morte. Isso permite a eles ter uma vida normal, com sonhos e responsabilidades de estudo, trabalho, família e também com direito ao lazer e qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 04/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 05/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Facilitar adesão de jovens a partir de 12 anos com variante suscetíveis, expectativa de estabilidade clínica da doença	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: Boas adesão, Baixa ocorrência de eventos adversos, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Agalsidase Alfa e Agalsidase Beta, Positivo: Estabilidade Clínica da doença, Negativo: Dificuldade em acesso a centros de infusão em localidades mais afastadas de grandes centros	4ª - J Inherit Metab Dis. 2024 Jul 19. doi: 10.1002/jimd.12771 - Doenças raras requerem que toda a evidência disponível seja avaliada e não apenas ensaios clínicos randomizados	5ª - Não
Profissional de saúde 05/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Doença de Fabry é uma doença grave, limitante e ameaçadora de vida. Sendo uma doença com tratamento disponível, importante que os pacientes tenham o direito de ser tratados. A terapia com migalastate tem o benefício de ser oral e poder ser usada em determinadas mutações consideradas suscetíveis . A autonomia do médico na hora da prescrição é fundamental, sendo importante as opções terapêuticas para a escolha, após discussão entre o médico e seu paciente.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Beta agalsidase, Positivo: manutenção da função renal pelos pacientes, Negativo: não observei resultados negativos	4ª - Não	5ª - Não

I

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 05/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Quando foi diagnosticado a filha de Uma amiga, o médico prescreveu a medicação Meligastate por ser o indicado para quem produz enzimas boas porém insuficientes. Então esse é a medição que muitos na mesma condição necessitam, sendo de alto custo e todos tem direito a vida. O SUS deve fornecer a medicação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que irá ajudar pessoas com essa situação com certeza.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por ser um medicamento de altíssimo custo e muito necessário para salvar vidas, ele deve ser incorporado ao SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pagamos impostos altos, o mínimo que devemos ter é o direito de viver bem e ter segurança em tratamento de saúde, principalmente quando se trata de doenças raras e com alto custo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A liberação do medicamento pelo sus vai ajudar pacientes e limitar a progressão da doença	2ª - Sim, como paciente, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: As dores nas articulações e no corpo melhorou de forma considerável , Negativo e dificuldades: A dificuldade para ter acesso, mesmo com todos os exames positivos	3ª - Sim, como paciente, Qual: Uso de corticoide , Positivo: Nenhuma, pois só fez ganhar mas peso , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que o medicamento em questão deva ser incorporado ao SUS, pois além de ter eficácia, segurança e melhoras no quadro clínico nos pacientes que sofrem com a doença de fabry, comprovados, a comodidade posológica, de ser uma terapia oral, trás a possibilidade dessa pessoa manter uma vida normal, sem precisar interromper suas atividades diárias para realizar seu tratamento. , E como sabemos, quando se trata de uma doença rara, progressiva, e potencialmente fatal, a disponibilização de opções terapêuticas é essencial para garantir um tratamento adequado e equitativo para a necessidade dessa pessoa.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Migalastate , Positivo e facilidades: Ao longo dos meus 15 anos trabalhando em uma associação de pacientes que acolhia pessoas acometidas pela doença de fabry, fui capaz de perceber, por meio de relatos dos pacientes e familiares o ganho na qualidade de vida com o uso do medicamento em analise. , Negativo e dificuldades: A maior dificuldade que posso relatar é em questão a dificuldade no acesso ao tratamento em questão, que ainda não se encontra disponível no SUS, fazendo necessário um processo judicial para aqueles que tem indicação a esse tratamento, terem acesso ao mesmo, o que muitas vezes leva um tempo longo e prejudicial ao quadro clínico desse paciente.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Experiência com as TRE como alfa-galactosidase e beta-galactosidase., Positivo: Para os pacientes que tem indicação a TRE, ao longo do meus 15 anos de trabalho em uma organização de pacientes, por meio dos relatos dos pacientes e familiares em uso das TRE, fui capaz de perceber um ganho na qualidade de vida., Negativo: Acredito que o grande problema também seja em relação ao acesso, incluindo a dificuldade de encontrar centros de infusão desses tratamentos, uma vez que ainda não existe um código para reembolso no SUS	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento Migalastat tem melhor eficácia e sendo incorporado no SUS os pacientes de Fabry terão melhor acesso e tratamento	2ª - Sim, como paciente, Qual: Migalastat, Positivo e facilidades: Utilizo o migalastat há mais de 2 anos e obtive melhora de alguns sintomas relacionados a Fabry, melhora de alguns resultados de exame de sangue e urina, não tive efeito colateral e o remédio é fácil de tomar, só basta atenção e organização pra tomar nos dias e horário certo., Negativo e dificuldades: Inicialmente a dificuldade e burocracia de receber os medicamentos, depois a demora em receber novas remessas para dar continuidade ao tratamento, ficando por vezes semanas/meses sem consumir o medicamento aguardando mais caixas.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que tem q ser incorporado rapidamente ao sus, já tem tempo que aguardo esta medicação e cada dia que passa sem a medicação tenho problemas de saúde irreversíveis que não teria se tivesse tomando a medicação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Minha amiga foi diagnosticada com a doença de Fabry. O médico prescreveu o migalastate para w ela volte a reproduzir enzimas e possa assim ter qualidade de vida. A VIDA É UM DIREITO DE TODOS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medicação migalastate pode trazer melhor qualidade vida e salvar vidas. É uma medicação de alto custo, prescrita por especialista	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que esse medicamento alcançaria um numero muito maior de doentes que necessitam de tratamento para a Doença de Fabry que é a que eu trato com muito menos burocracia e sem a necessidade de um processo longo e cansativo judicial para que possam salvar suas vidas.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Galafold 123mg Migalastate, Positivo e facilidades: Impedimento do avanço da Doença de Fabry., Negativo e dificuldades: No inicio um pouco de tontura e enjoo.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Direito do cidadão, frente a constituição	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, sus é para todos. super necessario e seguro.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - nao	5ª - nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Saúde é direito de todo cidadão. O portador desta doença sofre muito com os sintomas Fabry. É muito triste!!!	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fabrazyme , Positivo: Melhora dos sintomas da doença , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes dependem do medicamento para terem qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muitas pessoas necessitam desse medicamento e sendo pelo SUS poderão ter um tratamento digno.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como paciente essa medicação deve ser incorporado sim no SUS.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida. , Negativo e dificuldades: Até o momento não houve pontos negativos.	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Se o médico responsável receitou o Meligastate, por ser o melhor no quadro do passante. Todo cidadão tem direito a uma qualidade de vida. Saúde e o direito de todos. Sendo uma medicação de alto custo deve sim ser fornecida pelo SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Já que é uma doença existente e com possível fator de cura nada mais justo do que o paciente que possui a doença, ter a oportunidade de tratamento e uma perspectiva de vida maior!!!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica (SBGM), reforçando seu compromisso com a comunidade de pacientes, familiares e cuidadores de doenças genéticas e de doenças raras e em alinhamento com evidências científicas atualizadas, vem, por meio deste, manifestar sua contribuição à Consulta Pública Consulta Pública Conitec/SECTICS nº 99/2024 - Migalastate para pacientes adultos e adolescentes de 12 anos ou mais, com diagnóstico confirmado de doença de Fabry e que possuam uma mutação suscetível., , Em relação à redação do PCDT atual, ao passo que elogiamos a inclusão de mais uma alternativa terapêutica para a Doença de Fabry (DF) em relação ao PCDT anterior, trazemos algumas sugestões de melhorias e correções no texto, CONTRIBUIÇÃO ESTA QUE ESTÁ DETALHADA NO ANEXO.;	2ª - Não	3ª - Não	4ª - SIM, CONTRIBUIÇÃO ESTA QUE ESTÁ DETALHADA NO ANEXO.;	5ª - NÃO.
Paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sim deveria ter no sus eu preciso da enzima tenho a doença de fabry	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao
Profissional de saúde 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Trata-se de medicação aprovada há vários anos, não só no Brasil como em diversos outros países no mundo, com resultados positivos no controle da doença e melhoria da qualidade de vida dos pacientes, comprovados não só pelo relato dos profissionais de saúde e pacientes como também por estudos, tais como o anexado nesta contribuição.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Migalastate (Galafold), Positivo e facilidades: Os pacientes em uso da medicação apresentam boa resposta ao tratamento, com melhora dos sintomas e interrupção da progressão da doença, relatando diversos aspectos de melhora na qualidade de vida, além da facilidade e comodidade no uso, por ser oral e não demandar o deslocamento frequente para as clínicas de infusão que muitas vezes ficam em outras cidades., Negativo e dificuldades: a única dificuldade apresentada atualmente pelos pacientes é a dificuldade no acesso ao medicamento, e por esse motivo a incorporação é necessária, pois contribuiria para uma manutenção contínua e segura do tratamento	3ª - Não	4ª - O estudo enviado em anexo (Renal and multisystem effectiveness of 3.9 years of migalastat in a global real-world cohort) é um estudo recente, multicentrico, que mais uma vez evidencia os bons resultados da terapia no controle da doença.	5ª - "Alem da comodidade posológica, a administração oral reduz os custos relacionados a infusão endovenosa de medicamentos, libera ""cadeiras"" nos centros de infusões para outros pacientes, além de evitar as potenciais complicações dos procedimentos infusionais"
Profissional de saúde 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É uma ótima opção para pacientes suscetíveis. Principalmente por ser administrado por via oral.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Alfagalsidade e Betalgasidase, Positivo: Estabilização das lesões de órgãos como rins e coração., Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Quando há uma doença matando pessoas, e que precisam de medicamentos de difícil acesso. Este medicamento deve ser oferecido pelo SUS, garantindo direto de tratamento a quem necessita.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do migalastate no SUS é uma medida estratégica para melhorar o cuidado aos pacientes com Doença de Fabry, oferecendo uma alternativa eficaz e prática, promovendo maior adesão ao tratamento e alinhando o sistema de saúde às inovações terapêuticas globais., , , , , , ,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: Um dos grandes diferenciais do migalastate é sua administração oral, o que representa uma alternativa conveniente e menos invasiva em comparação à terapia de reposição enzimática, que exige infusões intravenosas regulares. Essa facilidade melhora a adesão ao tratamento e promove maior conforto ao paciente, especialmente para aqueles que têm dificuldade em acessar centros de infusão ou que desejam maior independência em sua rotina de cuidados. Além disso, o migalastate não introduz proteínas externas no organismo, reduzindo o risco de respostas imunológicas adversas, como a formação de anticorpos contra a enzima, que pode ocorrer na terapia de reposição enzimática. Ao longo dos estudos clínicos, o migalastate demonstrou ser eficaz na redução do acúmulo de Gb3, especialmente em tecidos renais e cardíacos, e em preservar a função desses órgãos. Essa preservação reflete diretamente na qualidade de vida do paciente, que apresenta menor progressão dos sintomas e das complicações associadas à doença. Portanto, o migalastate não só amplia as opções terapêuticas disponíveis para pacientes com Doença de Fabry, como também oferece uma abordagem personalizada e centrada nas necessidades individuais, promovendo benefícios clínicos e sociais significativos., , , , , , , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso pela questão de custo.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Fabrazyme , Positivo: o tratamento reduz os sintomas sistêmicos da doença, como dor neuropática, fadiga crônica e intolerância ao calor, melhorando significativamente a qualidade de vida dos pacientes., Negativo: Por ser uma proteína exógena, há o risco de desenvolvimento de anticorpos contra a enzima, o que pode reduzir sua eficácia em alguns pacientes. Além disso, o regime de infusões regulares pode representar um desafio logístico e emocional, especialmente para pacientes que moram longe de centros de saúde ou têm dificuldade em manter a rotina de tratamento.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Migalastate, fabryzime e replagal, Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida e facilidade de uso, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fabryzime e replagal , Positivo: Melhoras gerais, Negativo: Nenhuma	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu sou portador da doença de fabry e estou muito precisando do medicamento galafold	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é indispensável para mim pois sou portadora de Fabry e não consegui o medicamento, e não tenho condições financeiras para pagar pelo medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento e o dispensável para minha família que e portadora de doença de fabry, o medicamento pode melhorar a qualidade de vida e nas atividades diárias que estão se tornando cada dia mais difíceis. Não temos condições financeiras pra manter o tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não tenho condições

I

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 06/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muito necessário ter o medicamento para quem precisa, principalmente por ser uma doença pouco conhecida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Remédio de valor muito alto! Qualidade de vida para os pacientes! Viver bem!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é muito caro e os pacientes precisam dele para ter uma vida mais descente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é de altíssimo custo e pode salvar vidas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Este medicamento é de custo elevado, de uso contínuo, e também muito necessário para salvar vidas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É uma doença raríssima e seu medicamento é de alto custo, sendo muito necessário para salvar vidas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, o medicamento tem um custo muito alto, porem salva inúmeras vidas. É dever do estado zelar pelos cidadãos e disponibilizar esse medicamento é cumprir esse dever.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O remédio deve ser incorporado ao sus devido o seu alto custo anual, não sendo tangível para a maioria da população brasileira.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por ser um medicamento muito caro, é fundamental que ele seja incorporado ao SUS para a melhora da qualidade de vida da população em geral que possa a vir ser acometida com a Doença de Fabry.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: Melhora do quadro da doença de Fabry, Negativo e dificuldades: Não observei resultados negativos	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para q seja acessível a todas as classes sociais sem distinção d e poder aquisitivo os	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Nao
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A facilidade de ser uma medicação oral aliado a redução de custos ao SUS por causa do paciente não precisar se deslocar para fazer infusoes além de reduzir o quantitativo de pacientes fazendo infusoes/ o difícil armazenamento de drogas infusionai, resolveriam muitos gargalos atuais desta doença.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: Resolveu a dificuldade de transporte que o paciente tinha para fazer infusoes frequentes se deslocando até o centro de referência , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não sou profissional da saúde	5ª - Não sou profissional da saúde
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A luta de pacientes que têm doença de *Fabry* no Brasil tem sido muito difícil. Muitos estão sem medicamentos. Devido esta situação, pacientes estão morrendo ou tendo os sintomas da doença agravados.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: Melhora significativa nas dores e com isso um retorno às atividades cotidianas e até laborais e uma melhora cognitiva, social e emocional da pessoa. , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todos os recursos desde que viáveis, devem ser usados para dar qualidade de vida às pessoas portadoras de doenças difíceis ou raras.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A OPORTUNIDADE DE NOVAS TECNOLOGIAS DEVEM OFERECER AOS PACIENTES MELHORES TRATAMENTOS A FIM DE REDUZIR TEMPO DE TRATAMENTO, QUALIDADE DE VIDA E DESOSPITALIZAÇÃO.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: MIGALASTATE, Positivo e facilidades: MELHORA DA QUALIDADE VIDA, Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O ESTADO DE E PRIORIZAR MEIOS GARANTIDORES PARA TRATAMENTO DE DOENÇAS, TODO O CIDADÃOS TEM O DIREITO CONSTITUCIONAL	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: FABRAZYME , Positivo: Melhora na qualidade de vida e redução do avanço da doença , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os remédios estão cada vez mais caros e a população mais pobre. É importante que a sociedade por meio dos impostos que paga ajude as pessoas que têm essa doença a ter uma esperança de uma vida melhor.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todos tem direito à saúde.,	2ª - Sim, como paciente, Qual: Replagal, Positivo e facilidades: Melhora nas dores , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, , A incorporação do Migalastate ao rol de tratamentos disponíveis é fundamental para atender às necessidades dos pacientes com doenças raras, como a Doença de Fabry, trazendo benefícios tanto clínicos quanto sociais. Entre os aspectos mais relevantes, destacam-se: , , 1. **Alternativa terapêutica eficaz e menos invasiva:** O Migalastate oferece uma opção inovadora de tratamento oral, diferente das terapias intravenosas existentes, promovendo maior comodidade, especialmente para pacientes que enfrentam dificuldades de acesso a centros de infusão. , , 2. **Adesão ao tratamento:** Por ser administrado em casa, o medicamento melhora significativamente a adesão ao tratamento, reduzindo interrupções e potencializando os resultados clínicos. , , 3. **Melhora na qualidade de vida:** Pacientes relatam benefícios diretos, como maior autonomia, menor desgaste emocional e físico, além de uma rotina mais próxima da normalidade. , , 4. **Abordagem personalizada:** O Migalastate é especialmente indicado para pacientes com mutações suscetíveis, o que reforça a importância de uma medicina de precisão que atenda às necessidades específicas de cada indivíduo. , , 5. **Redução de custos indiretos:** Com menos deslocamentos para tratamento, menor necessidade de internações e maior estabilidade clínica, o Migalastate também reduz o impacto financeiro sobre os pacientes, suas famílias e o sistema de saúde. , , A incorporação do Migalastate representa um avanço no cuidado integral aos pacientes, destacando-se como uma solução que combina inovação, acessibilidade e melhora significativa na qualidade de vida. É essencial que tecnologias como essa sejam consideradas para ampliar o acesso a tratamentos eficazes e humanizados.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Todos, Positivo e facilidades: A partir da nossa experiência com o Migalastate, observamos resultados significativos no bem-estar e na qualidade de vida dos pacientes. Entre os principais aspectos positivos relatados estão:, , Eficácia no manejo da doença: Muitos pacientes indicaram uma melhora nos sintomas relacionados à doença, como redução de dores, maior tolerância às atividades diárias e estabilização de alguns marcadores clínicos., , Facilidade de uso: Por ser um tratamento oral, o Migalastate representa uma alternativa mais prática e menos invasiva em comparação a outras opções terapêuticas, o que melhora a adesão ao tratamento e proporciona maior comodidade., , Impacto psicológico positivo: A redução da necessidade de internações e procedimentos invasivos trouxe uma sensação de autonomia e normalidade à rotina dos pacientes., , Integração à rotina: A possibilidade de utilizar o medicamento em casa e durante atividades diárias eliminou a dependência de deslocamentos frequentes a centros especializados, o que é um benefício importante, especialmente para pacientes que residem em locais mais distantes., Negativo e dificuldades: O único resultado negativo é a demora na entrega da medicação por parte do MS	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Como associação de pacientes com todas as terapias disponíveis o , Positivo: , , A experiência com outros medicamentos, produtos e procedimentos tem mostrado como a incorporação de tecnologias diversificadas é essencial para atender às necessidades variadas dos pacientes. Entre os resultados positivos observados, destacam-se: , , 1. **Maior personalização do tratamento:** A diversidade tecnológica permite que cada paciente tenha acesso a terapias mais adequadas ao seu perfil clínico e às suas condições individuais, aumentando a eficácia dos tratamentos. , , 2. **Melhor qualidade de vida:** Procedimentos avançados e medicamentos inovadores ajudam a minimizar sintomas, reduzir complicações e proporcionar maior conforto aos pacientes. , , 3. **Ampliar opções terapêuticas:** Ter acesso a múltiplas tecnologias possibilita abordar doenças raras e complexas de maneira mais abrangente, especialmente quando combinadas, atendendo a diferentes estágios e manifestações da doença. , , 4. **Redução de barreiras no acesso:** A adoção de novas tecnologias, como tratamentos orais, dispositivos móveis e terapias domiciliares, diminui as dificuldades de locomoção e acesso a centros especializados, beneficiando pacientes de regiões remotas. , , 5. **Promoção de autonomia:** Tecnologias menos invasivas e mais fáceis de administrar permitem que os pacientes mantenham uma rotina ativa, com menor dependência de cuidadores ou infraestrutura hospitalar. , , Portanto, a diversificação e a incorporação de novas tecnologias no cuidado à saúde são indispensáveis para promover tratamentos mais humanizados, eficazes e acessíveis, gerando benefícios para os pacientes, suas famílias e toda a sociedade., Negativo: Somente a demora a entrega por parte do governo	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Que nunca falte meu medicamento	2ª - Sim, como paciente, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: O sistema nervoso ficou mais controlado, dormi melhor, Negativo e dificuldades: Não tenho	3ª - Sim, como paciente, Qual: Replagal, Positivo: Uma grande melhora, Negativo: Com o Replagal fiquei com um desconforto intestinal	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que seja de grande ajuda para todos os pacientes que necessitam de algo para melhorar a sua qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A inclusão de mais uma alternativa para o tratamento de pacientes portadores da Doença de Fabry com a presença de mutações suscetíveis, cuja apresentação é ORAL, pode em muito contribuir para a melhora da aderência ao tratamento e qualidade de vida dos pacientes	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: MIGALASTATE, Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - o Migalastate representa um avanço significativo no tratamento da doença de Fabry, que apresentam mutações suscetíveis, oferecendo uma abordagem terapêutica que é conveniente, eficaz e segura.	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo cidadão tem direito a saúde* *que a medicação irá amenizar o sofrimento de muitos pacientes com doença de Fabry*...	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acho que para ter um alcance maior, e ajudar no tratamento de vários pacientes	2ª - Sim, como paciente, Qual: Galafold, Positivo e facilidades: Melhorar a qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tenho certeza que Migalastate(Galafold®) deve ser incorporado ao SUS. Todos os tratamentos devidamente registrados pela ANVISA, DEVEM estar disponíveis no SUS. É preciso ter todas as opções de tratamento à disposição das pessoas acometidas por uma doença, seja esta Fabry ou qualquer outra, para que seja respeitada sua especificidade, pois é sabido que nem todos respondem igualmente ao mesmo tratamento. Com isso se torna garantido o direito à equidade.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Para Doença de Fabry, temos duas opções já incorporadas ao SUS, somente aguardando publicação de PCDT, sendo Alfagalsidade(Replagal®) e Betagalsidase, (Fabrazyme®), estas duas opções são aquelas que temos também bastante experiência pelo tempo em que muitos dos pacientes estão fazendo uso e estão no mercado., Positivo e facilidades: Migalastate(Galafold®) chega trazendo a inovação de um produto que não depende de internação em hospital dia para sua administração, é de uso ORAL, facilitando a adesão do paciente a um tratamento regular. Pacientes já em tratamento com Migalastate(Galafold®), relatam melhor otimização do tratamento, além de melhora na qualidade de vida, que é o que estudos mostram que Migalastate(Galafold®), melhora a função cardíaca e renal.Migalastate(Galafold®) não é um tratamento que cobre todos as pessoas que trazem a doença de Fabry, é necessário que o paciente tenha uma mutação suscetível para fazer o uso dele., , Negativo e dificuldades: Os pacientes de Doença de Fabry que estão em tratamento com o produto Migalastate(Galafold®), relatam que a falta do medicamento é o maior efeito negativo para sua saúde e qualidade de vida, o que mostra exatamente o que as associações de pacientes tem evidenciado por todos estes anos de trabalho para garantir o recebimento contínuo de seu tratamento pelo órgão provedor.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Para Doença de Fabry, temos duas opções já incorporadas ao SUS, somente aguardando publicação de PCDT, sendo Alfagalsidade(Replagal®) e Betagalsidase, (Fabrazyme®), estas duas opções são aquelas que temos também bastante experiência pelo tempo em que muitos dos pacientes estão fazendo uso e estão no mercado., , , Positivo: Além de outros benefícios referenciados por médicos especialistas, o Migalastate(Galafold®), traz a inovação de ser um medicamento administrado por via ORAL, o que traz uma melhora na qualidade de vida para estas pessoas que não precisam fazer uso de bomba de infusão e nem depender de um hospital para receber a seu tratamento, levando seu remédio por onde quer que vá. Para a sociedade, vale dizer que são leitos hospitalares que estarão disponíveis para ser ocupados por outras pessoas com outras necessidades., Negativo: Todos os resultados negativos recaem sobre o fato de que se faz necessário o atendimento contínuo do tratamento para estas pessoas. Que não falte o remédio e que o paciente possa ter a tranquilidade de saber que seu remédio está garantido.	4ª - NÃO	5ª - NÃO
Profissional de saúde 19/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como profissional de saúde faço acompanhamento de alguns pacientes com Doença de Fabry e tenho observado que com o uso do Migalastate eles tem relatado melhora dos sintomas físicos como as dores e cognitivos como melhora da memória, o que tem possibilitado o retorno as atividades laborais, esportivas e do dia a dia e por consequência vejo uma resposta muito importante do ponto de vista emocional e psicológico. Um outro ponto positivo e muito importante é ser um medicamento oral facilitando uso a qualquer momento e local., E é mais uma opção terapêutica	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: Como pontos positivos percebo tanto uma melhora física como cognitiva., Medicamento oral facilitando uso a qualquer momento e local., É mais uma opção terapêutica, Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso ao medicamento	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Alfagalsidase, Positivo: É mais uma opção terapêutica, Negativo: Pacientes continuaram com os sintomas da doença., Medicamento infetável para quem tem fobia de agulha é um ponto negativo considerável, além de ter que se deslocar a um hospital/clínica para a infusão da medicação 2 vezes no mês, aumentando custos do paciente com deslocamento.	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 19/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A doença de Fabry acomete inúmeros sistemas do corpo que prejudicam muito a saúde. O remédio é via oral, impede a evolução da doença e evita sequelas severas.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: Não evolução da doença de Fabry e fácil administração do remédio por ser via oral, Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa enzima é de extrema necessidade	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Não
Paciente 19/12/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento deve ser liberado pelo SUS em virtude de muitas pessoas precisarem do mesmo para a sua saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Fabry é uma doença muito grave e precisa ser testada na sua totalidade	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: Melhora dos sinais e sintomas da insuficiência cardíaca, menos tosse menos edema, menos taquicardia, menos cansaço, estabilização e manutenção da disfunção sistólica FÉ, nines de ureia e creatininas também. Melhora da função renal, mais disposição , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não enviar documentos pessoais	5ª - O Estado deve sim arcar com os custos de todas as doenças que pioram a qualidade de vida dos brasileiros
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Não tenho opinião formada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento migalastate é de altíssimo custo e se destruído gratuitamente pode salvar vidas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento caro. Muito necessário ao tratamento dos oacuentes. Sem ele a expectativa de vida cai bastante d k aumento das comodidades devido a doença. Deve ser incorporada ao SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento de fácil administração, sem efeitos colaterais e que impede a evolução da doença	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: Fácil administração da medicação, paciente não precisa fazer mais as infusões, melhora clinica do paciente, não progressão da doença de Fabry. , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fabrazyme e Replagal, Positivo: Nenhuma, Negativo: Inúmeras infusões e acessos venosos, muito tempo para fazer a aplicação das medicações	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 07/01/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, O Migalastate deve ser incorporado ao SUS pois vai trazer uma melhora na qualidade da vida dos pacientes por não terem que ficar se deslocando para centros de tratamentos e ficarem por muitas horas recebendo as suas infusões. Com esse novo comprimido os pacientes poderão levar seu dia a dia normalmente e tomar as cápsulas de acordo nos horários e dias conforme , sua prescrição médica.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Sim, utilizo o Fabrazyme 35mg diluído em soro e no meu caso admistrado em 4 horas oque é muito demorado., Positivo: Utilizo o Fabrazyme 35mg desde 2008 e após o início do meu tratamento minha vida mudou para melhor. Nunca mais tive crises de dores nas mãos e nos pés e nunca mais tive crises de diarreias diárias. Isso trouxe uma total melhora na minha qualidade de vida., Negativo: Não tive nenhuma experiência negativa com o tratamento com o Fabrazyme 35mg	4ª - Não	5ª - Nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo cidadão deve ter acesso a saúde e o estado deve garantir este direito	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é de altíssimo custo e a alternativa mais eficaz para pacientes com a doença de Fabry que possuam uma mutação suscetível. Sem o seu uso, o paciente tem sua expectativa e qualidade de vida degradadas em curto espaço de tempo. Tendo a saúde como um direito fundamental é necessário que esse tratamento seja coberto pelo SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Em relação a custo benefício : nos resultados obtidos, é estimado que a RCEI de migalastate em , comparação com cuidado padrão/melhores cuidados em saúde apresente um valor entre R\$ 2.519.168 e R\$ 2.558.640, por ano de vida salvo e entre R\$ 6.223.166 e R\$ 16.801.189 por ano de vida ajustado pela qualidade, resultados obtidos , com as idades iniciais de 48 e 16 anos, respectivamente, se considerado PMVG sem impostos. Com PMVG 18%, os valores , variam entre R\$ 3.478.103 e R\$ 3.528,693 por ano de vida salvo e entre R\$ 8.592.047 e R\$ 23.170.998 por ano de vida , ajustado pela qualidade. Acredita-se que o valor real seja um número intermediário entre os apresentados, uma vez que , o início do tratamento na prática clínica possivelmente ocorra em uma idade entre 16 e 48 anos. Além disso, para estes , 60, resultados foi considerada eficácia equivalente entre migalastate e TRE (HR 1,00). Considerando o valor de eficácia , utilizado pelo proponente entre migalastate e TRE (HR 0,42), a RCEI variaria de R\$ 1.261.274 a R\$ 1.268.784 por ano de , vida salvo e de R\$ 3.476.659 a R\$ 9.700.721 por ano de vida ajustado pela qualidade com PMVG sem impostos. Com , PMVG 18%, os valores seriam de R\$ 1.740.356 a R\$ 1.753.630 por ano de vida salvo e de R\$ 4.805.212 a R\$ 13.385.441 , por ano de vida ajustado pela qualidade., A Doença de Fabry é uma doença rara e complexa, que envolve complicações em diversos sistemas do corpo , humano. Desta forma, é esperado que pressupostos tenham de ser feitos para ser possível desenvolver um modelo , econômico que consiga capturar a história natural da doença, e que muitas vezes dados específicos para Doença de Fabry , , especialmente de pacientes brasileiros, sejam inexistentes. Em vista disso, compreende-se que algumas decisões tomadas , pelo demandante durante a elaboração do modelo são necessárias para que a análise possa ser executada. Por outro , lado, algumas limitações importantes também foram notadas, por vezes em parâmetros críticos, que podem reduzir a , robustez	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - nos resultados obtidos, é estimado que a RCEI de migalastate em , comparação com cuidado padrão/melhores cuidados em saúde apresente um valor entre R\$ 2.519.168 e R\$ 2.558.640, por ano de vida salvo e entre R\$ 6.223.166 e R\$ 16.801.189 por ano de vida ajust

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do Migalastate ao SUS será ótima, trará economia de tempo para os pacientes que não terão que se ausentar ao trabalho por muitas horas para se tratarem e terão uma melhoria na sua qualidade de vida.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Fabrazayme 35mg, Positivo e facilidades: Meu marido passou a fazer o tratamento para doença de Fabry no ano de 2008 com o Fabrazayme e desde então não sofreu mais com dores nas mãos e nos pés e com crises de diarreias matinais diariamente., Negativo e dificuldades: A única coisa ruim é que no caso dele a infusão demora muito tempo, ele iniciou o tratamento fazendo a administração em 4:40 horas e hoje em dia esta em 3 horas. Com esse novo comprimido o tratamento será muito melhor, sem perder tempo para ir as clínicas para tomar o remédio.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fabrazayme 35mg, Positivo: Meu esposo não sofre mais com calor e frio excessivo, não sente mais dores nos pés e nas mãos e também não tem mais crises de diarreias diárias., Negativo: O tempo de infusão do Fabrazayme é muito grande 4 horas.	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por estarmos recebendo a demanda de pacientes adolescentes (a partir de 12 anos), nós temos a esperança de que esse jovem se torne um adulto menos comprometido com a DF.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não tenho essa contribuição, até pq o PCDT de DF é muito recente.	5ª - Não nos compete.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é de alto custo. Muitos pacientes e suas famílias não tem como custear esse tratamento. Essa medicação trás melhorias significativas para o paciente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nenhuma.	5ª - Nenhuma
Organização da Sociedade Civil 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Doença de Fabry, infelizmente, ainda é diagnosticada tardiamente no país. Nas regiões mais remotas, conforme pesquisa realizada com o apoio da Casa Hunter, podemos encontrar pacientes que levam 10 ou mais anos para alcançar o diagnóstico. , Soma-se a isso, a dificuldade de acesso ao tratamento, mesmo a TRE, incorporada pelo Sistema Único de Saúde, devido a escassez dos centros de referência, que demandam muitas vezes, horas de deslocamento para ter acesso à terapia., A incorporação de uma terapia oral proporcionará uma importante conquista de bem estar e autonomia aos pacientes, itens fundamentais para a vida do paciente e mesmo dos cuidadores, além da economia proporcionada pela retirada da aplicação de infusões.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Respondido no item 12 meu posicionamento.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Migalastate, Positivo e facilidades: As moléculas de chaperona são aminoácidos que se ligam ao domínio catalítico de a-, Gal A e promovem seu dobramento e transporte adequados para o lisossomo. As, mesmas moléculas em doses mais altas podem atuar como inibidores de a-Gal A., O Migalastate é uma chaperona administrado oralmente, que consiste em um análogo, da galactose terminal de GB3, estabilizando as formas mutantes susceptíveis da enzima, a-Gal A., Ensaios clínicos e estudos mostraram que aproximadamente 30 a 50% das variantes, patogênicas descritas até o momento são respondedoras ao Migalastate e seu uso no, tratamento foi associado a uma diminuição significativa no índice de massa ventricular, esquerda e melhora da taxa de filtração glomerular, como também, boa resposta clínica, aos sintomas gastrointestinais em pacientes com doença de Fabry., No ambulatório de Doença de Fabry do Instituto do Coração, Incor, 30% dos pacientes, acompanhados possuem variante genética respondedora a Migalastate., A incorporação do medicamento ao SUS beneficiará pacientes adolescentes, jovens,, adultos que não conseguem optar pela administração endovenosa do tratamento e, enfrentam efeitos colaterais da medicação intravenosa e poderiam se beneficiar da, medicação oral, uma vez que possuem variantes genéticas com resposta clínica ao, fármaco sugerido., Negativo e dificuldades: Adesão do paciente devido ao alto custo da medicação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Fabrazyme, Replagal., , Positivo: Melhora dos sintomas gastrointestinais e acroparesias, estabilização dos eventos isquêmicos cerebrais e da hipertrofia cardíaca em exames de imagem., Negativo: O paciente não aderir ao tratamento pelo fato da via de administração ser endovenosa a cada 15 dias.	4ª - Respondido no item 12.	5ª - NÃO SE APLICA

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "A chaperona migalastate tem se apresentado como uma opção de tratamento para a Doença de Fabry em casos selecionados com variantes genéticas susceptíveis (amenable) a ação da chaperona. Na literatura pode-se observar efeitos benéficos principalmente em pacientes com a forma mais tardia da doença chamada "late-onset" e nas variantes missense com mistargeting da enzima para a mitocôndria, situação na qual a chaperona poderia corrigir o defeito e fazer a enzima ir para o lisossomo. Claramente então poderia ser idealmente empregada nos casos de variante genética susceptível à ação da chaperona. Importante é ser uma opção de tratamento em casos especiais, pois sua administração é via oral o que facilita o tratamento do grupo selecionado de pacientes com variante genética susceptível que morem em locais com maior dificuldade de administração endovenosa rotineiramente e aqueles com dificuldades de acesso venoso e que apresentam reação mais grave à infusão das enzimas. Importante é ressaltar que a medicação se aplica a casos com variantes genéticas específicas."	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Replagal, Fabrazyme, Positivo: resposta benéfica para os pacientes tanto em termos clínicos, como melhora dos marcadores da doença, Negativo: São medicamentos cuja administração é por via endovenosa, a cada 2 semanas	4ª - Não	5ª - Não
Empresa 07/01/2025	1ª - Não tenho opinião formada, Primeiramente, a Sanofi Medley Farmacêutica Ltda parabeniza a CONITEC e os órgãos envolvidos, e reconhecemos o benefício da proposta de ampliação da população atendida, antes somente fenótipo clássico, agora também abarcando pacientes com fenótipo não clássico. Entretanto, observando o texto do relatório preliminar de recomendação emitido e as intervenções verbais ocorridas durante a 135ª Reunião Ordinária da CONITEC, realizada no dia 08 de novembro de 2024, entendemos que alguns aspectos levantados pela comissão poderão se beneficiar de esclarecimentos e informações complementares. Nossa contribuição completa, com todos os esclarecimentos e informações complementares, encontra-se em anexo à presente contribuição.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não é possível assumir eficácia similar entre as TRES e migalastate, pois não existem estudos clínicos comparativos entre as drogas e dados de mundo real também não suportam tal pressuposto. Vide contribuição completa em anexo.	5ª - É importante manter a consistência com as análises anteriores realizadas pela CONITEC na incorporação das TRE. A análise de custo-minimização entre migalastate e as TRES (pacientes clássicos) é tecnicamente infundada. Vide contribuição completa em anexo.



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Trata-se de uma opção ao tratamento do paciente com esta patologia, que agrega alguns aspectos muito importantes para o paciente com a doença de Fabry: Aceitação por parte do paciente, trata-se de um medicamento oral, a molécula Migalast possui uma característica muito importante, pois, o seu tamanho ultrapassa a barreira hematoencefálica e com isso pacientes com comprometimento do SNC, passam a ter um medicamento que atua nesta região. Por fim não podemos negligenciar questões críticas relacionadas as dificuldades enfrentadas pelos pacientes e seus acompanhantes, como custo da mobilidade urbana e o tempo que esses não podem dedicar aos seus afazeres (Profissionais e sociais), por só terem como opção drogas infusionais.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não. Já exemplifiquei em minha contribuição na pergunta 19.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 07/01/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, Acho necessário a inclusão da medicação pelo sus	2ª - Sim, como paciente, Qual: Fabrizyme , Positivo e facilidades: Melhora nas dores , Negativo e dificuldades: Não tive	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sim o SUS deve fornecer o Miligastate, pois existem muitas pessoas que precisam dessa medicação específica indicada para o quadro de doença de Fabry. É direito do brasileiro.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medicação deve ser incorporada ao SUS pois vai facilitar aos portadores ter acesso ao tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As vezes falta a medicação	2ª - Sim, como paciente, Qual: Fabrizyme , Positivo e facilidades: Melhora nas dores causadas pela doença , Negativo e dificuldades: Nao tive	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É uma doença que necessita de atenção e os portadores normalmente não têm condições.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Atualmente as TRE são todas infusionais o que acarreta sobrecarga dos serviços de saúde e custos em relação ao tempo dispendido para infusão, A opção Via oral contorna essa limitação nos pacientes suscetíveis, Medicação segura e eficaz e com custo benefício semelhante ou melhor que demais ainda com o desconto oferecido pelo laboratório	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: alfa galactosidase alfa e beta, Positivo: Estabilização da doença, Melhora dos sintomas neurológicos, Melhora dos parâmetros cardiológicos e renais, Negativo: Nenhum	4ª - Effects of Current Therapies on Disease Progression in Fabry Disease: A Narrative Review for Better Patient Management in Clinical Practice. Adv Ther. 2024 Dec 5. ,	5ª - Renal and multisystem effectiveness of 3.9 years of migalastat in a global real-world cohort: Results from the follow-up Fabry Pathfinders registry. J Inher Metab Dis. 2024 Jul 19.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Considerando os altos valores de medicamentos e tratamento, somados à gravidade da doença, é de extrema importância agregar o remédio ao SUS., A expectativa e a qualidade de vida da pessoa com a doença é bastante reduzida., Há também o fato que há poucas pessoas com a doença (menos de 3000), portanto, adicionar o remédio a rede SUS não implicaria em um grande impacto econômico e postergaria a vida de pessoas que possuem uma doença da qual não possuem culpa por a possuírem.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Cada paciente com Fabry reage de uma forma com o tratamento. Ter uma outra opção irá beneficiar esses pacientes	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Replagal, Fabrazyme, Positivo: É administrado por via oral, não sendo necessário internamento ou uso de medicação intravenosa. Único tratamento que consegue atravessar a barreira hemato-encefálica. melhorando a condição cardíaca e sistema nervoso central, Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Necessito do medicamento para o meu tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vai auxiliar muitas pessoas no tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

I

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por se tratar de uma doença auto imune, e com uma chance enorme de conviver com a doença mas de forma menos impactante, essa medicação é importantíssima. Principalmente por ser de auto custo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que vai beneficiar muitas pessoas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Já expus anteriormente todos os motivos. A TRE atualmente disponibilizada é essencial, mas há o risco de contrair infecções e contaminações não só no âmbito da pandemia de covid-19, mas em qualquer época. No caso, meu ex-parceiro contraiu sepse justamente deste modo, tendo sido quase fatal. A exposição de tais pacientes ao ambiente hospitalar justifica perfeitamente a incorporação do migalastate para pacientes com mutação compatível se isso pode não só reduzir chances de complicações que causarão prejuízo (e eventual morte), mas também prejuízo ao próprio Estado, que precisará arcar com novos custos de seu tratamento pós-infecção/contaminação (e eventual morte), sobretudo após a redução de quase 50% do preço (ao Governo) inicialmente apresentado em 2021.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Alfagalsidase e betagalsidase, assim como migalastate., Positivo e facilidades: Quando, em 2021, o parecer desfavorável do Conitec afetou o acesso tanto à TRE quanto ao migalastate com custeio público, meu ex-parceiro, portador de Fabry e agora já falecido inclusive em decorrência de complicações da doença (cardiovasculares, infarto, embora também fosse transplantado renal), houve grande preocupação. Infelizmente, ele não viveu o suficiente para ver a incorporação, finalmente, da TRE ao SUS. Entretanto, possuía mutação compatível com o tratamento por migalastate, que também fez uso pouco antes da interrupção da TRE em 2021, porém não conseguiu manter devido ao alto custo financeiro ao consumidor. Cabe ressaltar que, durante a pandemia de covid-19, vivi com meu parceiro em sua residência, entre 2020 e 2022, e acompanhei de perto sua batalha para continuar tendo acesso a outras medicações de alto custo que ainda estavam disponíveis para, pelo menos, o tratamento sintomático. A maior preocupação, devido a fazer parte de um grupo de risco (por ser imunossuprimido e possuir idade próxima à expectativa de vida média dos pacientes homens com a doença, aprox. 40~45 anos), era de eventuais infecções e/ou contaminações (não somente com a covid-19, embora fosse a maior preocupação à época) no trajeto ao hospital para a aplicação das medicações., Encontro no relato da paciente do presente caso uma situação similar, muito embora já não no contexto da pandemia de covid-19, pois o aspecto mais positivo é justamente poder fazer uso do medicamento (no caso, migalastate) em casa, via oral, sem necessidade de tamanha exposição a demais complicações e contaminações no trajeto e no ambiente hospitalar, que podem ser muito mais graves em tais pacientes (sobretudo quando já imunossuprimidos devido às medicações para controle da dor crônica, em especial os corticoides em dose elevada), exigindo novos custos., A análise econômica é necessária, mas também deve-se analisar o custo que pode advir da exposição dos pacientes a tais hospitais que podem lhes contaminar., Negativo e dificuldades: "Infelizmente, meu ex-parceiro não pôde custear por tanto tempo o tratamento particular com migalastate, além de ter feito uso por pouco tempo considerando a interrupção do fornecimento da TRE com alfagalsidase e betagalsidase com custeio do Estado, assim como a migalastate (por processo judicial, como relatou a paciente também do presente caso). Os atrasos relatados por ela também foram observados por meu ex-parceiro à época, no caso do custeio do Estado de ambas as opções de tratamento. Quando interrompido, não podendo custear por conta própria, não levou muito tempo (da interrupção em 2021	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Alfagalsidase e betagalsidase, Positivo: Por ter feito uso de tais medicamentos (em TRE) por mais tempo, até a interrupção do custeio pelo Estado, é provável que a apresentação de sintomas mais graves, inclusive cardíacos (como o próprio infarto) pudesse ter ocorrido mais cedo caso a terapia não fosse disponibilizada antes. Entretanto, em 2021, após ser interrompida, não é possível saber se as complicações que conduziram ao infarto ocorreram por avanço da idade próxima à idade de risco, por avanço da doença após a interrupção de um dos poucos tratamentos possíveis ou qualquer outro motivo., Negativo: Precisar deslocar-se para ir até o hospital e correr risco de contrair infecções e contaminações não só no âmbito da pandemia de covid-19, mas em qualquer época. No caso, meu ex-parceiro contraiu sepse justamente deste modo, tendo sido quase fatal. A exposição de tais pacientes ao ambiente hospitalar justifica perfeitamente a incorporação do migalastate para pacientes com mutação compatível se isso pode não só reduzir chances de complicações que causarão prejuízo (e eventual morte), mas também prejuízo ao próprio Estado, que precisará arcar com novos custos de seu tratamento pós-infecção/contaminação (e eventual morte), sobretudo após a redução de quase 50% do preço (ao Governo) inicialmente apresentado em 2021.	4ª - N/A. Entretanto, cabe ressaltar que a crítica sobre o demandante não ter acrescentado estudos da literatura cinzenta na RSL, tampouco de estudos ainda em revisão e não publicados, é completamente inaceitável pois há risco de alto viés em ambos os casos.	5ª - A análise econômica do medicamento em si é necessária, mas também deve-se analisar o custo que pode advir da exposição dos pacientes a tais hospitais que podem lhes contaminar. Além disso, já houve redução de quase 50% no custo de venda para o Estado.

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
		para as tentativas de custeio próprio em 2022 e, em seguida, o falecimento) até ocorrer o infarto., O principal aspecto negativo refere-se ao custo financeiro elevado para o paciente, mas que é inferior ao custo para o Estado considerando o preço máximo de venda para o Governo e a nova proposta orçamentária apresentada pelo demandante, conforme já disposto no próprio relatório atual: ""R\$ 2.256,66 por cápsula na primeira submissão e R\$ 1.500,00 por cápsula na submissão atual"". Ou seja: o medicamento está mais barato para o Estado na versão atual da proposta, e ""[...] na comparação entre migalastate e TRE, como o pressuposto adotado pelo demandante de eficácia igual entre estes medicamentos, o custo é reduzido em cerca de meio milhão de reais"" (p. 11 do relatório preliminar atual do Conitec, no resumo executivo). Por outro lado, para o TRE, o maior aspecto negativo é precisar deslocar-se aos hospitais para receber a dosagem, não por mera vaidade ou apenas por desconforto, mas porque tais pacientes são muito mais suscetíveis, em geral, a infecções e contaminações, sobretudo quando já imunossuprimidos, e tendem a ter efeitos graves decorrentes de eventual quadro do tipo. Portanto, o tratamento com migalastate para quem possui mutação compatível é, inclusive, uma forma de reduzir eventuais custos do próprio Estado com internações e complicações devido à exposição desses pacientes."			
Interessado no tema 07/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

