

Contribuições da Consulta Pública - Formulário ATS - Pegcetacoplana adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidores - 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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 07/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Uma pessoa conhecida e sem recursos financeiros foi beneficiada com essa medicação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 07/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que essa medicação deve ser incorporada no SUS sim, principalmente para os pacientes que não respondem bem as medicações que bloqueiam C5, ter uma medicação que bloqueia C3 é uma ótima opção para os pacientes que seguem tendo hemólise de escape e precisando ficar fazendo transfusão com frequência. Além de ser uma ótima possibilidade para os pacientes que trabalham ou moram longe dos centros de aplicação do medicamento, ter essa possibilidade de fazer em casa é muito mais tranquilo.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumabe (Soliris)., Positivo: Me adaptei muito bem com essa medicação, minha LDH estabilizou, não apresente hemólise de escape e também não apresentei mais sintomas da doença como cólica abdominal (que sentia todo mês), estou bem com meu tratamento., Negativo: "A parte ruim dessa medicação é a cada 14 dias ter que ir para o hospital fazer o tratamento, com o passar das infusões as nossas veias vão ficando mais mach?s por isso. Por conta desse ""curto"" período de ação, acaba atrapalhando no trabalho ter que perder um período 2x ou 3x por mês."	4ª - Não se aplica.	5ª - Não se aplica.
Paciente 07/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Produto com tecnologia que melhora muito nossa qualidade de vida com o tratamento cotidiano	2ª - Sim, como paciente, Qual: Sensor Libre, Positivo e facilidades: Melhor controle de níveis glicemicos, com menos hipoglicemia e hiperglicemia, equilibrando com mais eficiência dentro da meta. Mais segurança entre as alimentações e correções. Melhor media da glicosilada, Negativo e dificuldades: Custo intangível	3ª - Sim, como paciente, Qual: Monitor accu chek active, Positivo: Precisão dos resultados, Negativo: Muitos furos nos dedos	4ª - Melhora significativa nos exames de hemoglobina glicosilada e sem crises severas de hipoglicemias	5ª - Custo farmacêutico equivalente ao praticado na farmácia com a solução já oferecida pelo sistema do SUS
Paciente 07/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Seria de grande ajuda para todos pois o custo é muito alto do produto nunca tive a oportunidade comprar	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Se estiverem usando em algum oais com validação de algum órgão responsável por validar o uso porque Não,,,, ???	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Canetas de insulina , Sensores de verificação de glicose , Positivo e facilidades: Melhor controle efetividade no tratamento , , Negativo e dificuldades: Único e exclusivamente o custo ser muito alto	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fita de HGT, Positivo: Única opção disponível mais barata que Vaz a verificação da glicose, Negativo: Perfurar o dedo do meu filho varias vezes ao dia,nao apresenta qualidade no tratamento, dolorido pro paciente ,doloroso para os pais,	4ª - Não possuo	5ª - Nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 08/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Li sobre o Pegcetacoplana e ele é mais moderno e tira o paciente da necessidade de transfusão e sentia fadiga do que o Eculizumabe que tem no SUS. Pode ser usado em domicílio e evita as viagens desgastantes do pciente para fazer infusão	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: E ulizumabe, Positivo: Salvou a vida na época do meu primo há 5 anos mas ele há 1,5 anos passou a conviver com anemia e precisando de transfusão , Negativo: Não alivia totalmente o paciente da anemia e outros sintomas, fadiga. Tem de ir fazer infusão 2 x por mês e mora muito distante	4ª - Nenhum	5ª - Nenhum

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 07/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O novo tratamento pode dar menos efeito colateral e menos gastos financeiros pela necessidade de locomoção e menos falta no trabalho.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Soliris eculizumabe, Positivo e facilidades: Iniciei o Soliris há 7 meses e minha hemoglobina subiu e meu HDL normalizou., Negativo e dificuldades: Dores musculares e articulares muito fortes nos braços e pernas e uma forte sensação de peso.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Antes do Soliris eu tomei corticoide e anticoagulante, Positivo: Melhorou muito a minha anemia e não tenho mais arritmia., Negativo: O corticoide me deu inchaço osteoporose e pressão alta, além das transfusões frequentes.	4ª - Não	5ª - -
Profissional de saúde 08/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Demanda não atendida.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: não., Positivo e facilidades: Não tenho experiência com os inibidores do complemento proximal, Negativo e dificuldades: Falta de acesso	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Muda a sobrevivência e a qualidade de vida dos pacientes, Negativo: Hemólise extra vascular ou falha ao tratamento e não ter outra opção terapêutica.	4ª - É o único inibidor do complemento proximal liberado no Brasil, os pacientes que apresentam hemólise extravascular ou não respondem ao eculizumabe (inibidor do complemento distal) não possui tratamento nenhum outro tratamento liberado no SUS.	5ª - Sou médica, minha contribuição é clínica
Paciente 08/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Teve ser incorporado ao SUS primeiramente porque é dever do estado garantir o direito à saúde, segundo porque mais opções de tratamento vão ajudar e muito a melhorar a qualidade e longevidade das pessoas com esta doença além é claro de oferecer mais esperança e confortável pois é uma medicação mais avançada.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumab Soliris , Positivo: Os melhores possíveis. Melhora na qualidade de vida e sintomas., Negativo: Atrasos na entrega, demora para chegar a medicação além de burocracias com ações judiciais.	4ª - Não.	5ª - Não.
Paciente 09/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Quanto mais tratamentos disponíveis para HPN mais pacientes terão acesso ao tratamento, cada medicação age de forma distinta em cada paciente, e cada tratamento se adequa melhor para cada paciente.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Vou mudar para outra medicação, Iptacopan (Fabhalta), Positivo: Ainda sem resultados , Negativo: Ainda sem resultados	4ª - Nada a declarar	5ª - Nada a declarar
Paciente 09/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Quanto mais formas de tratamento termos, para a HPN, vamos ter uma vida mais digna	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Soliris , Positivo: Melhora na qualidade de vida, retorno ao mercado de trabalho, ter uma vida o mais normal possível , Negativo: São sempre o alto custo e o difícil acesso	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 09/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Outra opção para o tratamento de pacientes com uma doença grave, com mecanismo de ação diferente, administração subcutânea, possibilidade de uso domiciliar permitindo maior conforto para o paciente e otimização de leitos no serviço de saúde	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumab, Positivo: Melhora significativa do quadro hemolítico apresentado pelo paciente, melhora da qualidade de vida, redução do risco de trombose, Negativo: Infusão endovenosa a cada 15 dias, necessidade de administração em serviço de saúde	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 09/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os estudos publicados por Peter Hilmen no NEJM mostram clara superioridade do pegcitacopan no tratamento dos pacientes com HPN em comparação ao uso de eculizumabe. Melhorando especialmente níveis de hemoglobina e hemólise de escape.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe, Iptacopan , Positivo: Com os inibidores de C5 os pacientes conseguem se manter melhores da hemólise e da anemia , Negativo: Porém ainda é um problema a normalização do Hb e a presença de hemólise de escape, além da posologia	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Paciente 09/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que pode ser fundamental para a minha vida, uma vez que o tratamento com o Eculizumabe, mesmo que fundamental, me parece que já não responde como no início do tratamento. Além do fato provavelmente aumentar a minha hemoglobina diminuindo a fadiga, reduzir ainda mais o LDH e minhas dores no corpo. Apoiará a minha qualidade de vida, sem que eu precise ir a cada 15 dias presencialmente no hospital, o que tbm sobrecarrega o SUS. No mais, é mais um grande sopor de esperança na busca por autonomia e dignidade.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: No início, corticóide Prednisolona. Atualmente faço uso de Eculizumabe., Positivo: Diminuição da hemólise, das dores no corpo, das dores estomacais e dos hematomas. Disposição a partir do aumento da hemoglobina. Enfim, é um medicamento fundamental para a minha vida. E assim espero com relação ao pegcetacoplana, Negativo: Sinto que o seu decaimento após uns 12 dias, volto a sentir mais dores no corpo e fadiga. Além disso, sinto coceiras no corpo, sobretudo nos pés, e penso que seu efeito está menos eficiente do que no início do tratamento. Minha hemoglobina não se mantém como em, setembro de 2022, no início do tratamento.	4ª - Sei dos benefícios, mas desconheço os riscos.	5ª - Não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 09/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Quanto mas medicamentos tiver que possa ajudar pessoas com HPN, as mesmas tem mas chances de uma vida longa e com o mínimo de qualidade, para ela e os familiares.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris , Positivo: Melhora na qualidade de vida , retardamento dos sintomas, Negativo: Não teve	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Profissional de saúde 09/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pegcetacoplana, a incorporação deste medicamento, trará inúmeros benefícios para os pacientes. Sendo o único inibidor de C3, promove controle da Hemólise intra e extra vascular. Assim sendo controla a Hemoglobina, reduz o risco de transfusões, melhora a qualidade de vida dos pacientes.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe e Pegcetacoplana indicados para o tratamento de HPN, Positivo e facilidades: Com Pegcetacoplana, ficou evidenciado a melhora da qualidade de vida dos pacientes. Ocorreu melhora da Anemia do paciente, anteriormente fazia uso de Eculizumabe e mantinha anemia (Necessitando eventualmente de transfusões). Como o paciente faz o uso de Pegcetacoplana em casa, o serviço no qual trabalho, conseguimos mais tempo para nos dedicar a outros pacientes., Negativo e dificuldades: Não ocorreram pontos negativos e nem mesmo dificuldades para o serviço e ou paciente	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Eculizumabe é um bom produto para HPN, no entanto, apresenta falha, como : anemia, necessidade de transfusões. Por isso se torna necessário um medicamento que possa tratar o paciente em caso de falha., Negativo: Eculizumabe apresenta, para alguns pacientes, falha terapêutica. Assim se torna necessário um medicamento, no caso há somente Pegcetacoplana, que trate pacientes em caso de falha do Eculizumabe	4ª - Os estudos científicos e de vida real, estudo Pegasus e estudo Prince, demonstram claramente que Pegcetacoplana irá beneficiar pacientes que apresentam falhas com o uso de Eculizumabe. com Pegcetacoplana há um aumento de Hemoglobina (Estudo Pegasus) de 3,84 mg/dl, redução de 85% do risco de transfusões comparados ao Eculizumabe.	5ª - Devido ao fato da Pegcetacoplana ter um custo de tratamento mais economico que Eculizumabe, no tratamento global há claramente uma economia. Outro ponto, o fato de redução de necessidade de transfusões, também reduz o custo de tratamento.

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 10/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medicação deve ser incorporado ao SUS por ser eficaz , segura e com melhores resultados em 1ª e 2ª linha. É uma medicação de de uso SC, o que a torna mais acessível e com menos eventos adversos.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: É uma droga eficaz e segura , porém para uma parte dos pacientes não é suficiente, permanecendo os sintomas e riscos da doença., Negativo: Medicação EV , uso hospitalar , quinzenal e contínuo. , Alguns pacientes mantém Hemólise de escape e extra-vascular. ,	4ª - , Neste estudo houve comprovação da superioridade d Pegcetacoplanem relação ao Eculizumabe, N Engl J Med 2021, 384:1028-37., DOI: 10.1056/NEJMoa2029073, Copyright © 2021 Massachusetts Medical Society	5ª - O impacto na economia desta medicação não se restringe ao preço da medicação, deve-se considerar a redução da necessidade transfusional, as internações em hospitais de grande porte e UTI e a redução do custo com o tratamento para o paciente que se deslocará menos para as infusões.
Profissional de saúde 10/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento de formulação subcutânea. O Peg bloqueia o C e dessa forma reduzindo hemólise extra vascular , ele mostra ser superior ao Eculizumabe	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, So temos uma opção e se perder resposta nao temos mais o que fazer , uma segunda opção é importante	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhora clinica importante, Negativo: Pode ter perda de resposta em alguns pacientes	4ª - 42251028587	5ª - Nao, mas ja assisti diversas aulas em congressos sobre estes medicamentos
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 10/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Principalmente para as crianças vai ser uma maravilha por que elas são as que mais sofrem a minha filha as vezes eu tenho que furar o dedo dela mais de 10 vezes por dia ela já não aguenta mais os dedinho estão parecendo peneira de tanto furo eu iria agradecer muito se ela ou outras crianças pudesse ter esse privilégio Deus toca no coração do governo presidente e também da empresa para nós ajudar Deus abençoe	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Insulinas fitas glicemia lancetas , Positivo: São bons mais judia muito no meu caso é minha filha que tem e vem sofrendo com tantas furada no dedo esse medicamento seria ótimo para ela eu gostaria muito que ela consiga o aparelho por ela está sofrendo muito com tanta picada nos dedos , Negativo: Não tive nada negativo	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 12/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes que mantêm hemólise com o Eculizabe precisam de outra alternativa de tratamento que atue na inibição do C5 para inibir a hemólise extra vascular.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizabe, Positivo: Ganho de qualidade de vida, independência transfusional, ganho de sobrevida, desospitalizacao , Negativo: Paciente precisa comparecer à unidade de saúde a cada 15 dias para tratamento por toda a vida. Quando não responde bem, ou quando perde a resposta ao tratamento, não temos disponíveis outras opções de medicamento.	4ª - Nao	5ª - menor custo da medicação frente ao Eculizumabe e Ravolizumabe.

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 14/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pacientes que respondem mal ao eculizumab não tem alternativa terapêutica nesse momento. Também não há doses adicionais disponíveis para tratamento de episódios de hemólise de escape.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplan, Positivo e facilidades: Efetividade., Negativo e dificuldades: Necessidade de treinamento do paciente e falta de mecanismo de avaliação da adesão.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumab., Positivo: Efetividade., Negativo: Posologia., Centralização dos serviços para infusão., Hemólise extravascular.	4ª - -	5ª - -
Profissional de saúde 14/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamentos novos com potencial redução de eventos de internação, e diminuição de morbimortalidade, devem ser incorporados o mais rapidamente possível ao roll de medicamentos disponíveis para utilização na pratica medica diaria.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - nao	5ª - nao
Interessado no tema 15/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Será uma oportunidade de tratar pacientes antes de chegar ao momento de um transplante	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 15/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Em pesquisas realizada a respeito sobre resultados positivos da medicação podemos encontrar melhora da hemoglobina, paciente fica sem realizar transfusão sanguínea, estabiliza LDH, além de ser a única medicação que faz bloqueio da via C3. Como facilidade seria o paciente realizar a medicação em casa, ótimo para os que moram longe, possuem imunidade baixa além de facilitar a vida de quem trabalha.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.
Paciente 15/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pois a partir do momento que é incorporado outro método de tratamento contra Hemoglobinuria paroxística noturna a pessoa que possui tal enfermidade terá um intervalo de tempo maior para fazer o uso de outra medicação pelas doses serem aplicadas em casa, ou apenas a cada 3 meses. A vida do paciente melhorará 100% por segurar mais tempo a medicação no organismo e a redução das Hemolises intravascular serem maiores.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumabe(Soliris), Positivo e facilidades: Positividade em redução da Hemolise intravascular, e sintomas associados à anemia. Melhoria na qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 15/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Nao tenho muito o que opinar. Pelo que li isso vai ser bom para a população brasileira.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - N/A	5ª - N/A
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 15/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É importante para os pacientes que poderão usar o medicamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica	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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - .	5ª - .
Paciente 16/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento que melhora muito a qualidade de vida dos pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Soliris, Positivo: Melhoria no estado clínico , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Conforme informação recebida de conhecidos envolvidos no tema e que possuem a doença, esse medicamento é o único disponível no caso do medicamento já incorporado no SUS pare de fucionar. Ou seja, se o medicamento que existe no SUS para de fazer efeito, o paciente não tem o que fazer. Como existem dois medicamentos para se usar no início e nenhum se os primeiros falham? E conforme informado, esse medicamento ainda é mais barato para o Governo do que os anteriores, então não há o que se discutir. Obrigado	2ª - Não	3ª - Não	4ª - nao aplicavel	5ª - nao aplicavel
Paciente 18/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É importante a incorporação do medicamento no SUS para que pacientes, como eu, que não conseguem o efeito totalmente satisfatório com o uso dos outros inibidores de complemento, terem uma outra medicação que se mostra mais eficiente, gerando uma melhora na qualidade de vida do paciente, resultando em menos internações e exposição a outros agentes como infecções, trombozes e agravamento dos órgaos que são atingidos pela doença.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumab e Crovalimab, Positivo: Melhora na qualidade de vida, aumento da hemoglobina, diminuição de infecções, melhora na disposição e fadiga, diminuição de dores musculares e gastrointestinais, risco reduzido de trombose. , Negativo: Tanto no uso do Eculizumab quanto Crovalimab ainda continuo tendo hemólise de escape, não conseguindo atingir os níveis normais no hemograma. O eculizumab ainda tem o dificultador de ser necessário se deslocar para um centro médico para realizar a aplicação a cada 15 dias.	4ª - Os estudos realizados mostram que os pacientes em uso da medicação pegcitacoplana obtiveram uma melhora significativa em sua saúde, comparados com outros inibidores de complemento.	5ª - Quanto maior a eficiência da medicação, menos os pacientes irão sobrecarregar o SUS com internações, UTIs, transfusões de sangue, isso sem mencionar que no uso do eculizumab há a necessidade de uma equipe multiprofissional para aplicação e um serviço equipado para realizar o procedimento. Deve-se levar em consideração, também, a contribuição do paciente para a sociedade, uma vez que, diminuindo os riscos de internações, o mesmo poderá trabalhar normalmente e reduzir afastamentos.
Paciente 18/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sei da melhora significativa da hemoglobina	2ª - Sim, como paciente, Qual: Pegcetacoplana / uma paciente que faz tratamento no mesmo hospital que eu. Vi a melhora significativa dela, que o caso é parecido com o meu. , Positivo e facilidades: Uma melhor qualidade de vida, sei da melhora significativa da hemoglobina , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumab , Positivo: Poça melhora , Negativo: Em questão que continuo tendo muita hemólise de preciso estar transfundindo	4ª - Sei de pacientes em uso da medição com uma melhora impressionante	5ª - Sei que é uma medicação que promete uma qualidade de vida melhor é uma melhora significativa na hemoglobina

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 18/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do pegcetacoplan no SUS é essencial para inúmeros pacientes que assim como eu não tiveram respostas boas com outras medicações. A aquisição por processo judicial é complicada e demanda tempo que muitos dos pacientes não tem. Não é uma questão de comodidade, mas da chance de uma vida com qualidade para muitas pessoas	2ª - Sim, como paciente, Qual: Pegcetacoplana, Positivo e facilidades: Fui diagnosticada com HPN em julho de 2021 e tive crise hemolítica e insuficiência renal aguda dialítica em dezembro do mesmo ano, precisei ser internada na UTI e fiz hemodiálise. Pela necessidade de transfusões e risco de trombose iniciei com o Eculizumab em janeiro de 2022, mas tive resposta parcial e ainda precisava de transfusões por causa de hemólise extravascular. Por isso comecei a usar o Pegcetacoplana (Empaveli) em junho de 2024, tive resposta completa e meu hemograma normalizou totalmente, desde então não precisei de nenhuma transfusão., No ultimo exame que fiz antes de começar com o Pegcetacoplan minha hemoglobina estava em 7,7, duas semanas após a primeira aplicação a hemoglobina já estava em 12,6., Antes do Pegcetacoplana eu ficava sem folego e cansada muito facilmente, mesmo fazendo coisas muito básicas ou caminhadas muito curtas. Eu era muito fraca, pálida e tinha os olhos amarelados por conta da hemolise. Agora não tenho mais nada disso, eu pareço outra pessoa, a diferença foi muito grande e muito rapidamente., As aplicações são duas vezes por semana e é muito simples, faço sozinha e em casa, nao tenho nenhum tipo de desconforto e é tudo muito fácil e tranquilo. A aplicação não causa nenhum tipo de dor ou desconforto, mas se causasse ainda valeria a pena, pois minha qualidade de vida melhorou muito., , Negativo e dificuldades: Nenhuma dificuldade ou ponto negativo nos resultados ou na aplicação da medicação	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumab, Positivo: Diminuição da quantidade de transfusões e do risco de trombose , melhora do LDH, aumento das plaquetas, Negativo: A resposta era parcial, eu ainda precisava fazer transfusões e me sentia cansada. A aplicação precisava ser feita no hospital	4ª - -	5ª - -
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, 0	2ª - Não	3ª - Não	4ª - 0	5ª - 0
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tudo que for preciso para melhorar a vida dos pacientes tem que ser liberado	2ª - Não	3ª - Não	4ª - há vasta documentação sobre mas n esta a venda ou sendo distribuído no Brasil	5ª - n sei o valo
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O remédio é um novo tratamento que promete melhor os episódios de hemólise que o paciente continua tendo mesmo com o Soliris melhorando assim sua qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris, Positivo: Melhora qualidade de vida, melhora na necessidade de transfusão de sangue e reduz o custo de hospitalização ., Negativo: -	4ª - -	5ª - -
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhoria de qualidade de vida daqueles que sofrem com a doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não tenho o que opinar.	5ª - Não tenho o que opinar.

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 18/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Este tratamento ajuda a melhorar os níveis de hemoglobina, reduzindo a necessidade de transfusões, e, o mais importante, pode ser administrado em casa via, injeção subcutânea, apenas duas vezes por semana. Isso significa menos tempo no hospital e mais qualidade de vida para quem ainda sofre com a hemólise.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - -	5ª - -
Interessado no tema 18/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tipo de câncer da leucemia mieloide crônica produz excessivos glóbulos brancos imaturos na medula óssea. Essa neoplasia tem chances de ser controlada com tratamentos adequados, principalmente com o uso de inibidores que podem transformar o prognóstico de muitos pacientes e a disponibilidade de diferentes opções terapêuticas, como os TKIs de segunda e terceira geração é muito importante pois aumenta as chances de um controle eficaz da doença em caso de falha ou intolerância ao tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Trata-se de uma nova opção para o tratamento daqueles pacientes que mostram resultado insatisfatório com o eculizumab	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumab, Positivo: Os trabalhos apontam para uma maior efetividade no combate à hemólise intra e extravascular, Negativo: Não se aplica	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento deve ser acessível a todos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 19/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, é um medicamento com aplicação mais fácil e é uma opção se a pessoa não responde bem ao soliris	2ª - Não	3ª - Não	4ª - N/A	5ª - N/A

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 14/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que a Pegcetacoplana - Empaveli deve SIM, ser incorporada ao SUS sem sombra de dúvidas porque é um medicamento que tem ótimos resultados já comprovados em estudos e é visível a melhora do paciente em poucas semanas de uso, além da segurança. Também podemos falar que pode ser aplicado em casa o que trás conforto e reduz os custos de deslocamento para outra cidade.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplana Empaveli, Positivo e facilidades: Foi percebido uma melhora dos sinais e sintomas, melhora em poucos dias de todos os exames de laboratório (Hemograma, Bilirrubina, Haptoglobina, LDH). A melhora da fadiga e disposição foi algo extremamente evidenciado logo nas primeiras semanas de tratamento. Outro ponto importante é a praticidade de fazer as infusões em casa, no horário desejado, isso ajuda muito na rotina e qualidade de vida. Além disso, reduz custo da família de deslocamento e alimentação para uso de outras terapias fora do domicílio e até mesmo do município ou estado com o TFD., Negativo e dificuldades: Não observei pontos negativos	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Não observado, Negativo: Queda constante dos níveis de hemoglobina, fadiga, infecções com eculizumabe, além da necessidade de deslocamento do paciente para uso da medicação em outra cidade o que é muito desconfortável além de dispendioso.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 14/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As taxas de resposta completa ou ao menos reversão completa com inibidores de C5 é frustra, variante entre 33-25% (evidencias colocadas abaixo), assim sendo, um significativo numero de pacientes mantem respostas inadequadas, gerando custos com infusao, multiplas transfusoes e sensivel perda de rendimento laboral e pessoal. Os inibidores proximais indicam consideravel resposta nesse grupo, podendo chegar a independencia transfusional à grande maioria dos pacientes, com sensivel aumento de qualidade de vida e potencialmente minimizacao de custos, nao apenas diretos como de infusao (a medicacao pode ser usada pelo paciente em casa com um treinamento basico) mas tambem transfusoes e outras medicacoes. Ademais, estudos de vida real e o fato dos trials clinicos terem ocorrido no apice da pandemia de covid 19 fortemente sugrem a segurança da droga, uma preocupação que era consideravel no inicio dos estudos	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplana, Positivo e facilidades: Os inibidores proximais tem taxas de resposta significativamente mais alta, tendo otimizacao de qualidade de vida e capacidade laboral na quase totalidade dos pacientes, minimizando tambem custos com transporte, infusao e transfusoes (esses ultimos em casos mais graves), alem de reduzir custos indiretos com perda de capacidade laboral. As taxas de resposta especificamente do remedio aqui discutido, em segunda linha, atingem independencia transfusional em mais de 90% dos pacientes e normalizacao dos niveis hemantimetricos em proximo de 35% daqueles que nao haviam atingido boa resposta com o padrao de tratamento., Negativo e dificuldades: A curva de aprendizado para uso do produto exige que as primeiras infusoes sejam monitoradas em regime hospitalar	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizuab, Ravulizumab, Crovalimab, Iptacopam (os ultimos 2 em regime de estudo clinico), Positivo: Mesmos, os inibidores proximais levam a respostas muito mais profundas e significativas, Negativo: Os inibidores de C5 tem excelentes resultados mas mantem boa parte dos usuarios em respostas parciais	4ª - Taxas de resposta aos atuais medicamentos padronizados, em primeira (e unica) linha: Debureau, PE., Kulasekararaj, A.G., Cacace, F. et al. Categorizing hematological response to eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: a multicenter real-life study. Bone Marrow Transplant 56, 2600–2602 (2021), Estudo PEGASUS: Raymond Siu Ming Wong, et al, Pegcetacoplan controls hemolysis in complement inhibitor–naïve patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Blood Adv 2023, 7 (11): 2468 2478. doi: https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2022009129 ., Estudo PRINCE: Raymond Siu Ming Wong, et al, Pegcetacoplan controls hemolysis in complement inhibitor–naïve patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Blood Adv 2023, 7 (11): 2468 2478. doi: https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2022009129 , , , ,	5ª - sem envio de documentos para estudos economicos
Interessado no tema 15/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acesso a melhor qualidade de vida na saúde de diversos pacientes que necessitam e não tem condições financeiras	2ª - Não	3ª - Não	4ª - .	5ª - .

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 19/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As evidências indicam que o uso da pegcetacoplane proporciona um maior aumento dos níveis de hemoglobina no sangue, em comparação ao uso do eculizumabe. Ainda na comparação entre esses dois medicamentos, 85% dos pacientes tratados com pegcetacoplane não necessitaram mais de transfusões de sangue e há uma redução na contagem de reticulócitos (hemácias imaturas que ainda não conseguem transportar oxigênio pelo corpo) com o uso da pegcetacoplane e um aumento com o uso de eculizumabe.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: 1, Positivo: 1, Negativo: 1	4ª - 1	5ª - 1
Profissional de saúde 20/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, lembrar da importancia de termos mais de um mecanismo de ação para tratar a patologia, não consigo entender, o motivo de incorporarem o novo tratamento para tratar hpv se ele vai agir na cascata imunologica do C5	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Hoje os pacientes apesar de possuírem dois medicamentos para tratar HPN, os dois são do mesmo mecanismo de ação, e infelizmente isso é muito restritivo, pois a partir do momento que o paciente começa a ter dificuldade de resposta para um tratamento não adianta mudar para o próximo medicamento disponibilizado, precisamos ampliar o mecanismo de ação. quando um paciente deixa de responder ao medicamento que age no C5 é necessário mudar para o C3 assim o paciente passa a ser realmente atendido em toda a complexidade da sua comorbidade. Principalmente agora que existe toda a complexidade em tratar um paciente com as novas regras disponibilizadas essa semana pelo ministerio da saude e pelo STF.	5ª - nao
Interessado no tema 20/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Único medicamento para pacientes que falham ao tratamento tradicional com medicamentos que tratam o C5 do complemento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - NA	5ª - NA

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 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplane visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: não se aplica, Positivo e facilidades: Infusões subcutâneas em casa 2 vezes por semana (30 minutos) e com isso Redução do custo de hospitalização / custo ambulatorial. Controle da hemólise intra e extra vascular (c5 e c3), por ser uma medicação que bloqueia o complemento proximal e Redução da fadiga porque reduz a anemia, aumentando os glóbulos vermelhos para o nível da normalidade. Controle da necessidade de transfusões. Menos risco de infecções., Negativo e dificuldades: não se aplica.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemólise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemólises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clínicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	4ª - nao se aplica	5ª - nao se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pode melhorar a vida de pacientes que necessitam do medicamento	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris, Positivo: menos episódios de hemólise, diminuição de dor, e aumento na qualidade de vida., Negativo: fadiga e dores persistentes, hemólise de escape, e a necessidade de deslocamento frequente ao hospital.	4ª - não se aplica	5ª - não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O acesso à esse medicamento não pode ser perdido. A condição digna de vida de milhares de pessoas depende disso. O Pegcetacoplan é incorporado em países como Canadá e Reino Unido, com excelente resposta. Também traz redução de custos hospitalares com menos internações e transfusões.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica.	5ª - Não se aplica.
Interessado no tema 20/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As evidências indicam que o uso da pegcetacoplane proporciona um maior aumento dos níveis de hemoglobina no sangue, em comparação ao uso do eculizumabe. Ainda na comparação entre esses dois medicamentos, 85% dos pacientes tratados com pegcetacoplane não necessitaram mais de transfusões de sangue e há uma redução na contagem de reticulócitos (hemácias imaturas que ainda não conseguem transportar oxigênio pelo corpo) com o uso da pegcetacoplane e um aumento com o uso de eculizumabe.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Precisa incorporar no sus	5ª - Precisa incorporar no sus

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 21/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes que perderam a resposta precisam ter outras opções de tratamento, e o Pegcetacoplana tem se demonstrado efetivo, seguro e confortável para os pacientes.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplana, Positivo e facilidades: Melhora significativa dos parâmetros hematológicos em comparação com o tratamento anterior, melhorando muito o quadro de fadiga e consequentemente melhora na qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Nenhuma dificuldade. Os pacientes alegam estarem muito satisfeitos com a facilidade na aplicação, comodidade em não precisarem se deslocar para os centros de infusão e resultados clínicos positivos	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhoraram a clínica do paciente se comparado ao quadro anterior ao tratamento., Negativo: Para alguns pacientes o eculizumabe acaba perdendo resposta.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento em avaliação é um avanço no tratamento da HPN, mais eficaz e completo, com menor custo de manutenção, proporciona melhor qualidade de vida aos pacientes, mais eficiente na redução de outros sintomas como a anemia e fadiga	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: É um medicamento eficaz, e que por muito tempo foi o unico medicamento disponível para o tratamento e controle da HPN, salvou muitas vidas, porém hoje existem no mercado medicamentos mais eficientes , com menor custo e que proporciona melhor qualidade de vida aos pacientes., Negativo: Necessidade de infusão a cada 14 dias.	4ª - não se aplica	5ª - não se aplica
Interessado no tema 21/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As evidências indicam que o uso da pegcetacoplana proporciona um maior aumento dos níveis de hemoglobina no sangue, em comparação ao uso do eculizumabe. Ainda na comparação entre esses dois medicamentos, 85% dos pacientes tratados com pegcetacoplana não necessitaram mais de transfusões de sangue e há uma redução na contagem de reticulócitos (hemácias imaturas que ainda não conseguem transportar oxigênio pelo corpo) com o uso da pegcetacoplana e um aumento com o uso de eculizumabe.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - não	5ª - não
Interessado no tema 22/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As evidências indicam que o uso da pegcetacoplana proporciona um maior aumento dos níveis de hemoglobina no sangue, em comparação ao uso do eculizumabe. Ainda na comparação entre esses dois medicamentos, 85% dos pacientes tratados com pegcetacoplana não necessitaram mais de transfusões de sangue e há uma redução na contagem de reticulócitos (hemácias imaturas que ainda não conseguem transportar oxigênio pelo corpo) com o uso da pegcetacoplana e um aumento com o uso de eculizumabe.	2ª - Não	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 23/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É necessário ter mais opções de tratamento para esses pacientes que durante muitos anos foram esquecidos.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Empaveli, Positivo e facilidades: Melhora da hemolise ,, Negativo e dificuldades: Até o momento não tive	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Eles respondem reduzindo a hemólise, Negativo: Há pacientes que permanecem fazendo hemolise	4ª - Nao	5ª - Nao
Profissional de saúde 23/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Irá beneficiar inúmeros pacientes que não conseguem, boa resposta aos inibidores de c5.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe, , Positivo e facilidades: Essas medicações diminuíram, a morbimortalidade de pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna., Negativo e dificuldades: Nem todos os pacientes alcançam a resposta adequada e continuam apresentando hemólise e suas complicações, incluindo eventos tromboembólicos e morte.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe , Positivo: Aumentaram a qualidade de vida dos pacientes, reduziram a mortalidade., Negativo: Nem todos os pacientes apresentam controle de hemólise. Com hemólise ativa, as complicações tromboembólicas são muito elevadas.	4ª - Segue artigo.	5ª - Não
Paciente 23/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplane visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemolise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemolises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clinicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	4ª - não se aplica	5ª - não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado pelo SUS para que possa atender a toda população, sem a necessidade de Processos Judiciais que além de serem morosos, geram ainda mais custo.	2ª - Não	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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplane visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatoriais para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemólise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemólises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clínicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	4ª - Não se aplica.	5ª - Não se aplica.
Paciente 23/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, PARA MAIS PESSOAS PODEREM UTILIZAR ESSA MEDICAÇÃO POR SER UMA MEDICAÇÃO DE ALTO CUSTO.. Muitas pessoas nao conseguem adquirir devido aos processos pedidos pelo governo.. E farmaceuticos que dificultam o adquiremento do medicamento.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: NAO, Positivo: NAO, Negativo: NAO	4ª - nao	5ª - nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, por ser uma medicação de alto custo e nem toda sociedade tem acesso	2ª - Não	3ª - Não	4ª - nao	5ª - nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Seria muito bom se essa medicação entaria pelo, Sus pois tem muitas pessoas que necessitam desse remédio e não tem condições de compra pelo alto custo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 23/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O empaveli traria muitos benefícios além do que o eculizumabe traz hoje, como: normalização do LDH, hemoglobina, bilirrubina, reticulócitos e ainda a facilidade de poder fazer a infusão subcutânea em casa, sem a necessidade de percorrer longas distâncias até o hospital de referência, causando assim um benefício direto aos pacientes portadores da doença e indireto ao sistema de saúde que teriam seus centros desocupados por esses pacientes que faziam infusões nos hospitais., Há também o benefício de custos que diminuiriam consideravelmente comparado aos outros medicamentos para mesma doença.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumabe, Positivo: Diminuição da necessidade de transfusões, diminuição do LDH, melhora na hemoglobina, Negativo: Ter que ir a cada 14 dias fazer infusão no hospital de referência longe de casa.	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:
Paciente 23/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O novo medicamento para tratamento é uma esperança para quem ainda não conseguiu uma resposta completa com o Soliris como eu, que continuo tendo sinais de hemólise extravascular com níveis de bilirrubina aumentados e sintomas de hemólise., , Pelos estudos e relatos de amigos pacientes que já usam é uma mudança muito significativa. A anemia foi resolvida (no meu caso eu tenho acúmulo de ferro no fígado de tantas transfusões), a qualidade de vida é melhor, o custo, tempo do deslocamento para os hospitais acaba e isso facilita até para conseguirmos empregos (vários empregadores não aceitam os dias fora para fazer a infusão)	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: , Positivo: Melhora da qualidade de vida, Menos episódios de hemólise , Diminuição da dor , Voltei a conseguir andar e ter uma vida mais ativa, Aumento da sobrevida, Diminuí o meu Ldh, normalizou, , Negativo: Continuo tendo escapes da hemólise - dias que fico mal, cor dor, muita fadiga, A infusão de 15 e 15 dias limita a vida - viagens e planos, Ainda tenho q tomar remédio de suporte para dor diariamente, Ainda tenho episódios de anemia e tive q entrar com outro medicamento de suporte, Ainda não me fornece uma vida normal não consigo trabalhar 8h e quando fico doente-cansada-triste fico tão fraca que paro na cadeira de rodas de novo., Continuo tendo hemólise extravascular., Ainda tenho efeitos negativos no meu corpo da hemólise, no rim, fígado, articulações e músculos.,	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, melhor controle da hemólise, única medicação que inibe C3, qualidade de vida, redução de transfusões, paciente pode realizar a medicação em casa, evitando custos hospitalares e deslocamento da sua cidade.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: SOLIRIS, crovalimab, Positivo: estabilidade momentânea da hemoglobina, com escapes., Negativo: escapes, transfusões, internações, pouca qualidade de vida e dores articulares.	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim, como paciente, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades: Nenhum dificuldade	3ª - Sim, como paciente, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Minha filha foi diagnosticada com hpn e não tenho condições de pagar por esse medicamento dependendo do SUS para seu tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplane visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.,	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemólise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., , Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemólises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clínicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.,	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acho que deve ser incorporado no SUS,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS,
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É responsabilidade do Sistema Único de Saúde o fornecimento de medicamentos de altíssimos valores ou de dificuldade no acesso àqueles medicamentos a população brasileira, uma vez que esse é o comprometimento que o SUS tem com o país.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não há anexos	5ª - Não há anexos
Paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento em avaliação é um avanço no tratamento da HPN, mais eficaz e completo, com menor custo de manutenção, proporciona melhor qualidade de vida aos pacientes, mais eficiente na redução de outros sintomas como a anemia e fadiga, melhor controle das taxas relativas a doença, menor custo de aquisição.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumabe, Positivo: A hpn é uma doença rara, e a pouco tempo atras só existia um unico tratamento. o Eculizumabe salvou e mantem muitos pacientes vivos, porém hoje em dia com o avanço das pesquisas , existem novos medicamentos que de acordo com os estudos apresentados, se tornam mais amplos e mais eficazes no controle da doença...., Negativo: Necessidade de infusão a cada dias.	4ª - não se aplica	5ª - não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Não se aplica	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica	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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplane visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemolise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemolises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clinicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	4ª - não se aplica	5ª - não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento em avaliação é mais completo, pois abrange areas que o Eculizumabe não consegue agir, mais eficaz e completo, com menor custo de compra, sem necessidade de internação para realizar a infusão, pois é subcutaneo, proporciona melhor qualidade de vida aos pacientes, mais eficiente na redução de outros sintomas como a anemia e fadiga.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Era o unico medicamento existente para o tratamente e controle da HPN, salvou muitas vidas, porém hoje exsitem no mercado medicamentos mais eficientes , com menor custo e que proporciona melhor qualidade de vida aos pacientes., Negativo: nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento em avaliação é mais eficiente e completo, custa mais barato, melhora a vida dos pacientes, tem um melhor controle da doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplane visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemolise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemolises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clinicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	4ª - não se aplica	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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacopla visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemolise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemolises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clinicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	4ª - não se aplica	5ª - não se aplica
Profissional de saúde 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Atraves da Incorporação, promoverá ao paciente mais autonomia, menos dependente de hospital	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe e Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Pegcetacopla aumenta confirmado através do Estudo Pegasus 3,84g/dl de Hemoglobina X Comparador direto Eculizumabe. Pegcetacopla promove redução de 85% no número de Transfusões, melhora da escala Facit/ Fadiga em 9,2 comparado ao Eculizumabe, Medicamento subcutâneo promovendo melhora na qualidade de vida dos pacientes., Negativo e dificuldades: Eculizumabe, quando na falha, promove aumento de Transfusões	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Tratamento de HPN, Positivo: Pegcetacopla, promove : Prevenção de Trombose, diminuição no número de transfusões, melhora de qualidade de vida, Negativo: Com Eculizumabe, quando resposta inadequada, retorno das transfusões, aumento no número de trombose e piora na qualidade de vida	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacopla visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: Infusões subcutâneas em casa 2 vezes por semana (30 minutos) e com isso Redução do custo de hospitalização / custo ambulatorial. Controle da hemólise intra e extra vascular (c5 e c3), por ser uma medicação que bloqueia o complemento proximal e Redução da fadiga porque reduz a anemia, aumentando os glóbulos vermelhos para o nível da normalidade. Controle da necessidade de transfusões. Menos risco de infecções., Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemolise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemolises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clinicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplana visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemolise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemolises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clinicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	4ª - não se aplica	5ª - não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento deve ser sim incorporado no SUS visto a diversas pesquisas realizadas que mostram que ele controla melhor a hemólise em comparação ao Soliris e Ultomiris, é uma opção mais prática de ser realizada em casa e o paciente e familiares podem aprender também com facilidade como realizar. Sabemos que diversos pacientes moram distantes (até em outras cidades) dos centros de infusão, então é muito importante ter opções viáveis para ajudá-los. É um medicamento inovador que inibe a via C3, o único atualmente que realiza esse efeito. Trazendo melhor qualidade de vida pra um paciente que não possui bons resultados com as medicações atuais.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe (Soliris), minha filha utiliza o medicamento., Positivo: Controle da doença, normalizou o LDH e também melhorou a questão de não apresentar as cólicas abdominais insuportáveis que minha filha sentia., Negativo: Atualmente a questão de ir para o hospital fazer a medicação a cada 14 dias, ter as veias furadas em todo esse período além de ser ruim fez desenvolver alguns problemas de alergia ao micropore.	4ª - N/A	5ª - N/A
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É o único medicamento que pode ser usado atualmente caso o Soliris e Ultomiris nao faca o efeito desejado no paciente, ele controla melhor a hemolise, aumentando a hemoglobina, normalizando LDH, reticulocitos e pode ser realizado em casa, excelente para evitar custos hospitalares e para pacientes que moram em cidades distantes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - na	5ª - na
Interessado no tema 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esta é uma excelente droga! Tem um melhor resultado no controle da doença e ainda tem um custo mais baixo que que as drogas atuais.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: PegcetacoplanaResolução dos sintomas , Positivo e facilidades: Resolução dos sintomas que estavam voltando. E não percebi nenhum sintoma no amigo que estava tomando a droga., Negativo e dificuldades: Não percebi nenhum.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: No inicio foi bacana os resultados do produto., Negativo: Com o tempo os sintomas voltaram.	4ª - nao tenho	5ª - nao tenho

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 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris - eculizumabe, Positivo: Melhora na qualidade de vida, Negativo: A paciente continua cansada, com hemolise de escape, alem de ser um medicamento trabalhoso para aplicação	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplane visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemolise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemolises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clinicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	4ª - Não se aplica.	5ª - Não se aplica.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ele é mais completa, ele não precisa de infusão, ele age em algumas cadeias que o eclumezumabe não age, e o custo de aquisição é mais barato.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A HPN é uma situação de saúde complexa e que deve ser observada com atenção. O incremento da nova tecnologia se justifica pelas comprovações tanto de eficácia do medicamento, economicidade, e melhora do tratamento do paciente. Ressaltamos a importância da reavaliação dos dados pela CONITEC a fim de se ponderar todos os aspectos apresentados., ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - anexo	5ª - 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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tudo que vier a favor do portador da HPN será bem vindo, pois proporciona controle da hemólise, estabilização da hemoglobina, controle de LDH, única medicação que inibe via C3, medicação utilizada em casa, já incorporada em outros países com ótimos resultados e redução de custos hospitalar, etc.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris , Positivo: Os resultados foram bons. Melhor qualidade de vida, quando usado conforme indicação médica. , Negativo: Com o remédio nenhum. As dificuldades são dos Deslocamentos até o hospital e periodicidade curta entre as doses.	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Gostaria que minha amiga tivesse o direito de ter uma qualidade de vida melhor, o mais próximo possível da minha que não possui esta enfermidade. Ela é uma pessoa ativa, brilhante, mas é impedida de prosseguir com a vida devido a nao ter acesso ao medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica devido a minha especialização nao ser medica	5ª - Não se aplica por minha especialização nao ser medica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Qualquer medicamento que vá melhorar a vida dos portadores de HPN, com controle de hemólise, estabilização de hemoglobina, controle de LDH, inibição da via C3, menos internação, sem transfusão de sangue, normalização de reticulócitos, tomar a medicação em casa, redução de custos hospitalar deve ser incorporado. Este já foi incorporado em outros países com ótimos resultados.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris, Positivo: Melhora geral nos exames de sangue, não tem hemólise, não precisou mais internar, melhora geral na qualidade de vida, consegue levar vida normal., Negativo: Não percebi nenhum resultado negativo.	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Interessado no tema 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, * Melhor controle da hemólise, * Aumento/Estabilização da hemoglobina, * Controle do LDH a partir de 2 semanas de tratamento, * Única medicação que inibe via C3, * Medicamento para pacientes que não respondem ao Soliris e Ultomiris, * Normalização de reticulócitos, * Redução de transfusão de sangue, * Qualidade de vida, * Paciente pode realizar a medicação em casa, * Paciente não tem que se deslocar até o hospital (como alguns moram em outras cidades isso é ótimo para o próprio paciente), * Medicamento incorporado em 2022 na Austrália, Canadá, Escócia e Reino Unido, pacientes com ótima resposta , * Redução de custo hospitalar	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Não tenho opinião formada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não enviei nenhum anexo.,	5ª - Não enviei nenhum 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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Precisamos de mais tratamentos a disposição dos doentes de HPN pelo Sus	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumab, Positivo: Melhora significativa na qualidade de vida da paciente(que é minha filha), Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Alfaepoetina , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, CONTROLE EFICAZ DA HEMÓLISE E ESTABILIDADE DA HEMOGLOBINA, REDUÇÃO DA NECESSIDADE DE TRANSFUSÕES DE SANGUE, MEDICAÇÃO ADMINISTRADA EM CASA	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: SOLIRIS, Positivo: MENOS EPISÓDIOS DE HEMÓLISE, DIMINUIÇÃO DA DOR, AUMENTO NA QUALIDADE DE VIDA, Negativo: FADIGA E DORES PERSISTENTES, HEMÓLISE DE ESCAPE, NECESSIDADE DE DESLOCAMENTO FREQUENTE AO HOSPITAL	4ª - NÃO SE APLICA	5ª - NÃO SE APLICA
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado pelos sintomas que os pacientes tem, uma grande caso como fadiga	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As pessoas têm o direito constitucional à vida e sem o tratamento adequado esse direito lhes estará sendo negado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento pode transformar vida de milhares de pessoas. Além de reduzir a necessidade de transfusões e melhorar níveis de hemoglobina, a Pegcetacoplane é administrada em casa, duas vezes por semana, por meio de injeção subcutânea. Isso significa menos idas ao hospital e a chance de ter uma vida com mais autonomia e dignidade.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris, Positivo: menos episódios de hemólise, diminuição de dor, e aumento na qualidade de vida., Negativo: fadiga e dores persistentes, hemólise de escape, e a necessidade de deslocamento frequente ao hospital.	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É direito de todos o acesso universal à saúde pública e de qualidade, tal como garantido pela Constituição. Havendo a oportunidade de aumentar a abrangência de medicamentos fornecidos pelo governo, tal medida não pode ser ignorada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica	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:
Interessado no tema 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Governo tem de dar acesso a todo medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essencial para melhorar a qualidade de vida, deve ser incorporado ao SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Não se aplica, Positivo e facilidades: Não se aplica , Negativo e dificuldades: Não se aplica	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris, Positivo: Melhoria na qualidade de vida , diminuição da dor, Negativo: Ainda tem fadiga e dor	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplane visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (soliris), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemólise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemólises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clinicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	4ª - não se aplica	5ª - não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplane visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (soliris), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemólise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemólises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clinicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	4ª - não se aplica	5ª - não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Qualquer possibilidade de novos tratamentos para melhorar a saúde e qualidade de vida, deve ser disponibilizado pelo SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Rituximabe , Positivo: Melhora no quadro clínico geral, Negativo: Discreto aumento da pressão arterial	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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Alguns remédios são inacessíveis para a maioria das pessoas e essenciais para que elas continuem vivas. A sociedade não prover para quem precisa seria condena-las.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 26/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, HPN é uma doença grave, com potencial fatal, que apresenta critérios claros de diagnóstico e indicação de tratamento. A disponibilidade de diferentes medicamentos, para contemplar as individualidades de cada paciente acometido, favorece a melhor escolha e o melhor benefício. Como estamos lidando com doença rara e drogas com alta tecnologia embarcada, o tratamento correto e eficaz é a melhor maneira de beneficiar os pacientes e evitar desperdícios	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Controle de hemólise, controle de sintomas, melhora da qualidade de vida, Negativo: Manutenção de hemólise extravascular	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A HPN é uma doença ultrarrara, na qual o controle inadequado da atividade da doença pode levar a repercussões graves para a saúde dos pacientes acometidos. O medicamento atualmente disponível no contexto do SUS é capaz de controlar parte da fisiopatologia, porém é incapaz de controlar o sistema complemento proximal o que implica em persistência de anemia ou necessidade transfusional em até um terço dos pacientes tratados. Além disso, devido a necessidade de infusão endovenosa a cada 15 dias, necessitava-se de uma alternativa de tratamento com via de administração que permita expandir o tratamento da doença para pacientes com dificuldade de acesso ou deslocamento.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplane, Positivo e facilidades: Eu sou responsável pelo cuidado de uma jovem paciente portadora de Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). Esta paciente apresentava alta atividade hemolítica da doença, tendo sido diagnosticada com HPN no contexto de insuficiência renal aguda secundária a uma crise de hemólise. Passou a utilizar o inibidor de complemento terminal Eculizumabe em 2022 com controle dos parâmetros de hemólise intravascular e melhora da função renal. No entanto, após o início de Eculizumabe, mantinha quadro de anemia persistente com níveis de hemoglobina menores do que 8,0 g/dL. Além disso, necessitava de transfusão de unidades de concentrados de hemácias mensalmente e demonstrava impacto considerável da doença na sua qualidade de vida. Foi realizada a prescrição de pegcetacoplane em agosto de 2023, tendo iniciado o uso da medicação em junho de 2024. Com o uso da medicação a paciente passou a apresentar melhora significativa dos níveis de hemoglobina mantendo-os acima de 13 g/dL. Além disso, a paciente atingiu independência transfusional e melhora significativa da queixa de fraqueza e ganho considerável em qualidade de vida. Houve ainda a melhora da posologia, permitindo que a paciente realizasse a aplicação da medicação no domicílio., Negativo e dificuldades: Até o momento não houve resultados negativos. A paciente encontra-se bem adaptada à medicação. A principal dificuldade foi ter acesso a medicação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe e Crovalimabe, Positivo: Estes medicamentos permitem o controle da hemólise intravascular presente na HPN, e diminuem o risco de trombose, insuficiência renal e hipertensão pulmonar., Negativo: Dificuldade de adesão, necessidade de acesso venoso periférico, intervalo de infusões curto de 15 dias e persistência de anemia e necessidade transfusional para o Eculizumabe. , Dificuldade de adesão e persistência de anemia e necessidade transfusional para o Crovalimabe. ,	4ª - Sim	5ª - Sim

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 27/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Novas formas de tratamento devem ser implementadas para atender cada vez mais pessoas, cada pessoa é diferente, apresenta a doença de várias formas e reagem ao tratamento de forma diferente. Com mais opções todos têm chances de melhoria de vida, diminuindo as idas ao pronto socorro e podendo participar da sociedade o mais ativamente possível.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumabe , Positivo: Melhora na qualidade de vida, diminuição da dor, Negativo: Hemolise extravascular, ir a cada 15 dias até o hemocentro para tomar o medicamento	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Profissional de saúde 27/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pegcetacopla, inibidor de C3, é eficaz para o tratamento do HPN. Aproximadamente 30% dos pacientes que fazem uso de Eculizumabe, apresentarão falha terapêutica, no controle da Hemoglobina (tornando necessário transfusões), aumento da Fadiga e ocorrendo Hemólise Extra Vascular (Confirmado através do Estudo Pegasus, ver anexo). Além, Pegcetacopla é administrada de forma subcutânea, facilitando a adesão do paciente, não sendo necessário o paciente comparecer em um centro de infusão. Para o setor público, no decorrer de 05 cinco anos, pode trazer uma economia de R\$ 158 milhões aos cofres Públicos.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacopla, Positivo e facilidades: Pegcetacopla, inibidor de C3< indicado para o tratamento de HPN. Através de estudos de vida real e estudos clínicos (Pegasus e Prince), comprova a eficácia no tratamento do HPN. Ambos estudos, vida real e clínicos, comprovam que a Pegcetacopla aumenta os níveis de hemoglobina (estudo Pegasus 3,84 g/ dl quando comparado ao Eculizumabe). Pegcetacopla, reduz a necessidade de transfusões em 85% e melhora a qualidade de vida Facit-Fadiga (Confirmado através do estudo Pegasus). No cenário econômico, Pegcetacopla demonstrou que a razão de custo-utilidade incremental da incorporação da pegcetacopla possibilitaria uma economia de R\$ 3.816.473,44 com relação ao Eculizumabe e de 1.858.994,53 em comparação ao ravulizumabe. O impacto orçamentário avalia que a incorporação da Pegcetacopla pode resultar em economia de recursos para o sistema de R\$ 158 milhões, acumulados ao longo de 05 (cinco) anos., Negativo e dificuldades: Nada negativo em relação a Pegcetacopla	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: Eculizumabe, Negativo: Com Eculizumabe, há aumento do risco de trombose, anemia persistente, aumento do número de transfusões.	4ª - São Evidentes os benefícios de Pegcetacopla, inibidor de C3 no tratamento de HPN. Pegcetacopla é um Inibidor de C3, e devido a isso traz benefícios aos pacientes no no tratamento de HPN. Pegcetacopla, devido ao seu mecanismo de ação, reduz a possibilidade de Hemólise Extra Vascular, quando comparado ao Eculizumabe, Pegcetacopla demonstrada inúmeras vantagens, aumento de Hemoglobina de 3,84 g/dl no estudo de 48 semanas, redução de Reticulócitos, redução de 85% no número de transfusões e redução da fadiga (Ver estudo Pegasus, envie anexo).	5ª - Reforço que com a incorporação de Pegcetacopla, impacto orçamentário, haverá economia aos cofres públicos aproximadamente R\$ 158 milhões ao longo de cinco anos.
Paciente 27/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pode ser recurso para pacientes que não respondem bem ao soliris, maior qualidade, diminuição de internação, menos necessidade de deslocamentos, redução de custos	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumabe (Soliris), Positivo: Melhora da qualidade de vida, menos episódios de hemolise, diminuição do Idh, Negativo: Disponibilidade a cada 15 dias para infusão	4ª - Não se aplica	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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 27/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É necessária a incorporação ao SUS, pois há uma necessidade vital de pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna de medicamentos e pesquisas sobre a condição em questão. Visto que eles melhor controla a hemólise, aumenta/Estabiliza a hemoglobina, controla o LDH a partir de 2 semanas de tratamento, somente essa medicação pode inibir via C3, medicamento para pacientes que não respondem ao Soliris e Ultomiris, normaliza reticulócitos, reduz necessidade de transfusão de sangue, maior e melhor qualidade de vida, paciente pode administrar a medicação em casa, não tendo que se deslocar até o hospital (como alguns moram em outras cidades isso é ótimo para o próprio paciente). O medicamento foi incorporado em 2022 em países como Austrália, Canadá, Escócia e Reino Unido e os pacientes apresentam ótima resposta e redução de custo hospitalar.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumab e Crovalimab, Positivo: Melhora da qualidade de vida, menos episódios de hemólise, diminuição da dor, retomada parcial das atividades do dia a dia, aumento da sobrevida e diminuição do LDH., Negativo: Ainda sente fadiga e dor, ainda tem Hemólise de escape e extravascular, mesmo com o Soliris ainda teve que fazer transfusões, deslocamento até o hospital de 15 em 15 dias dificultando as relações no emprego e viagens.	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica.
Profissional de saúde 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Droga comprovadamente eficaz e segura para HPN	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetaclopana, Positivo e facilidades: Aumento de Hb, independência transfusional , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eclizumabe, Positivo: Melhora da hemólise intravascular, Negativo: Resposta não sustentada devido componente de hemólise extravascular	4ª - Não enviar documentos pessoais	5ª - Não enviar documentos pessoais
Paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento que vai facilitar e ajudar ainda mais a vida de pacientes com HPN, com mais opções de tratamento e uma melhoria de vida que pode evitar internações e maiores gastos com os pacientes. Pois irá ter um melhor controle da hemólise, aumento da hemoglobina, única medicação que inibe via C3, redução de transfusão de sangue. Além disso, o medicamento não responde ao Soliris e pode ser feito em casa, sem o deslocamento e diminuindo ainda mais os gastos dos hospitais com outros materiais, sabendo que muitos pacientes viajam até outras cidades.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Soliris, Positivo: •¿ ¿Melhora da qualidade de vida, •¿ ¿Menos episódios de hemólise , •¿ ¿Diminuição da dor , •¿ ¿Retomada parcial das atividades do dia a dia, •¿ ¿Aumento da sobrevida, •¿ ¿Diminuição do Ldh, , Negativo: •¿ ¿Ainda sente fadiga e dor, •¿ ¿Ainda tem Hemólise de escape e extravascular, •¿ ¿Mesmo com o Soliris ainda teve que fazer transfusões , •¿ ¿Deslocamento até o hospital de 15 em 15 dias dificultando as relações no emprego e viagens,	4ª - Não se aplica	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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento apresenta um melhor controle da hemólise, um fator essencial para pacientes que lidam com doenças que envolvem a destruição acelerada de glóbulos vermelhos, contribuindo para o aumento e estabilização dos níveis de hemoglobina. O medicamento também possibilita o controle eficaz dos níveis de LDH, um marcador da hemólise, já a partir de duas semanas de tratamento. Outro ponto positivo é que esta medicação é a única que inibe a via C3, mecanismo que pode beneficiar pacientes que não respondem adequadamente aos medicamentos já existentes, como o Soliris e o Ultomiris, o que é fundamental para pacientes que anteriormente estavam limitados em termos de resposta terapêutica. Adicionalmente, o medicamento contribui para a normalização dos reticulócitos, um sinal positivo de que o organismo não está mais demandando a produção excessiva de novas células sanguíneas para compensar a destruição das existentes. Com isso, observa-se uma redução significativa na necessidade de transfusões de sangue, o que reduz tanto o custo quanto o desgaste físico e psicológico dos pacientes., A incorporação deste medicamento também traria um impacto positivo na qualidade de vida dos pacientes, já que ele pode ser administrado em casa. Esse ponto é especialmente relevante para aqueles que moram longe dos centros de tratamento, pois elimina a necessidade de deslocamentos constantes ao hospital, além de garantir mais conforto e conveniência., Internacionalmente, esse medicamento foi incorporado em 2022 em países como Austrália, Canadá, Escócia e Reino Unido, onde os pacientes têm demonstrado uma excelente resposta ao tratamento. Esse cenário internacional mostra um histórico de eficácia e segurança que poderia ser considerado pelo SUS para garantir o melhor tratamento possível aos pacientes.,	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris, Positivo: Melhora da qualidade de vida, menos episódio de hemólise, redução da dor, retomada parcial das atividades do dia-a-dia, aumento da sobrevida e diminuição do LDH, Negativo: Ainda sente fadiga e dor, ainda tem hemólise de escape e extravascular, mesmo com o Soliris ainda teve que fazer transfusões, deslocamento até o hospital de 15 em 15 dias para infusão, dificultando as relações no emprego e viagens	4ª - N/A	5ª - N/A

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 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A HPN é uma doença rara que, embora a disponibilidade do eculizumabe tenha impactado positivamente nos portadores dessa doença, ainda há demandas não atendidas como a hemólise extravascular que continuam a influenciar negativamente a qualidade de vida desses pacientes com a manutenção de baixas cifras de hemoglobina, fenômenos vasoativos, entre outros.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: O eculizumabe foi capaz de promover uma melhora d quadro clínico dos pacientes que apresentaram menor prevalência de trombose, melhora parcial dos quadros de hemólise (intravascular) e seus sintomas constitucionais., Negativo: Os pacientes que apresentavam padrão de hemólise intravascular não apresentavam melhora do quadro clínico relacionado a anemia hemolítica e sintomas constitucionais.	4ª - Pegcetacoplan versus Eculizumab in Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria. (2024). The New England journal of medicine, 390(11), 1060. https://doi.org/10.1056/NEJMx240003	5ª - -
Paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que importante incorporar outros remédio para os pacientes de hpn ao sus.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumabe , Positivo e facilidades: Apenas evitava que eu ficasse de cama mais mesmo sentia todos os sintomas da doença., Negativo e dificuldades: Transfusão de.sangue frequente cansaço excessivo.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Iptacopan remédio de pesquisa , Positivo: Melhorou minha qualidade de vida voltei a ter vida.normal diminuiu as crises hoje eu trabalho faço tudo que eu não conseguia fazer exercícios correria do dia adia trabalho normal não.sinto mãos cansaço só quando tenho alguma crises mais hoje me.consi dero 100 % melhor que antes com esse.remedio iptacopan., Negativo: No momento né. Um	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 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os tratamentos atuais para a HPN incluem os inibidores da proteína do complemento C5, eculizumab e ravulizumab. No entanto, as pessoas que recebem esses tratamentos podem continuar a ter anemia devido à hemólise extravascular, o que leva a um controle subótimo da doença e à necessidade ocasional de transfusões. O pegcetacoplan, ao inibir a proteína do complemento C3 em vez da proteína C5, tem o potencial de inibir tanto a hemólise intravascular quanto a extravascular, atingindo melhores resultados clínicos em alguns pacientes., , O pegcetacoplan está disponível como infusão subcutânea que pode ser autoadministrada, oferecendo maior flexibilidade às pessoas com HPN quando comparado ao uso de Eculizumabe, cuja infusão endovenosa ocorre quinzenalmente. No entanto, como o pegcetacoplan precisa ser administrado com mais frequência do que o eculizumab e o ravulizumab, algumas pessoas podem apresentar maior dificuldade no gerenciamento da aplicação, aumentando a probabilidade de reações no local da injeção. No entanto, para pacientes selecionados, esses inconvenientes podem ser superados pelos benefícios oferecidos pelo pegcetacoplan, como menos transfusões de sangue, melhoria nos níveis de fadiga, melhor qualidade de vida e um impacto positivo no bem-estar mental e na capacidade de trabalhar., , Considerando essas questões, a incorporação do pegcetacoplan pelo SUS pode ser apropriada para atender às seguintes necessidades de paciente que: , - Não responderam adequadamente a um inibidor de C5 e continuam a ter anemia sintomática ou dependência de transfusões., - Desenvolveram reações alérgicas a um inibidor de C5., - Desenvolveram resistência a um inibidor de C5, caracterizada pelo desenvolvimento de nova anemia sintomática ou dependência de transfusão durante o tratamento, não atribuível a outras causas.,	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: O uso de Eculizumabe reduz a manifestação hemolítica da Hemoglobinúria paroxística noturna, com melhora do nível de hemoglobina, redução dos sintomas de anemia, redução do risco de trombose e, em geral, percepção pelo paciente de melhora da qualidade de vida., A infusão da medicação, endovenosa, em geral é bem tolerada, sem necessidade de pré-medicação, e sem necessidade de observação após término da medicação. Reações adversas são muito raras., Negativo: Alguns pacientes não atingem níveis de hemoglobina suficientes para mitigar os sintomas de anemia e, eventualmente, podem manter algum grau de dependência transfusional (característica de resposta parcial)., A necessidade de infusão a cada duas semanas incorre em perda regular de dias de trabalho para os pacientes em fase produtiva., Para os pacientes que moram distantes do centro infusional, o deslocamento por vários quilômetros atrapalha ou impede a manutenção de vida profissional, reduz a qualidade de vida e por vezes tem impacto também na vida do acompanhante, caso o mesmo seja necessário. Esse cenário pode ser exemplificado pela história de pacientes que moram no interior da Bahia, mas recebem tratamento no Distrito Federal a cada duas semanas, com deslocamentos regulares de pelo menos 1200km (Brasília - Barreiras, ida e volta).,	4ª - Pegcetacoplan vem sendo usado com sucesso em outros sistemas públicos de saúde, como o do Reino Unido, para pacientes que não responderam adequadamente ao uso de inibidores de C5. Essa indicação baseia-se nos resultados de eficácia do trial PEGASUS, que comparou Pegcetacoplan com Eculizumabe., , , - Pegcetacoplan versus eculizumab in patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PEGASUS): 48-week follow-up of a randomised, open-label, phase 3, active-comparator, controlled trial. The Lancet Haematology, Volume 9, Issue 9, e648 - e659., - Pegcetacoplan versus Eculizumab in Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria.N Engl J Med 2021, 384:1028-1037 DOI: 10.1056/NEJMoa2029073 , VOL. 384 NO. 11	5ª - Não
Paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	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:
Paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, diminui custos. evita viagens para infusões no centro de referência, diminui a hemolise, diminui transfusões. aplicações em casa. inibe C3, melhora a qualidade de vida, aumenta o nível de hemoglobina,	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris Eculimuzabe, Positivo e facilidades: Melhora a qualidade de vida, não transfusão de sangue e plaquetas, não sangramentos., Negativo e dificuldades: Nada a declarar	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Ciplosporina, prednisona, gat, imunoglobina, revoleide, corticoides diversos, Positivo: não teve efeito algum, Negativo: não houve	4ª - nada a declarar	5ª - diminuir custos
Interessado no tema 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sempre bom ver a melhoria que alguns pacientes tratados com esse medicamento tiveram , uma melhora na qualidade de vida .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vários pacientes em uso conseguiram uma melhora mas siguinificativa das taxas sanguíneas tendo melhora na qualidade de vida. Devido ele bloquear a C3 e a C5 MELHORANDO A HE.OLI VASCULAR E INTRAVASCULAR	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumab. (solires), Positivo: Melhora na qualidade de vida. Só tive que fazer tranfução de sangue quando faltou medicação, Negativo: Ele não cinsegzil deixar as sanguíneas em normalidade só melhorou mas não atingil a normalidade	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/10/2024	1ª - Não tenho opinião formada, Não se aplica.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica.	5ª - Não se aplica.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes são carentes dessa medicação para a sua sobrevivência.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris , Positivo e facilidades: Melhor qualidade de vida e redução de sintomas., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Toda medicação que não tem muito efeito colateral é válido para combater com mais eficácia a doença e por esta medicação ser mais barata também para o tesouro nacional	2ª - Sim, como paciente, Qual: Soliris e vacina da covid, Positivo e facilidades: Satisfatório , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Precisamos ser mais bem cuidado para que possamos contribuir mais para a sociedade e para continuar a cuidar da família por mais alguns tempo	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhor economicamente. Beneficio para pacientes que não tem bons resultados com o medicamento já implementado pelo SUS, terão uma opção a mais para um melhor redultado de qualidade de vida, permitindo que o paciente raro tem o direito e esperança de viver.	2ª - Não	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:
Interessado no tema 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento Pegcetacoplane deve ser incorporado para o tratamento de pacientes adultos com HPN (Hemoglobinúria Paroxística Noturna) previamente tratados com inibidores do complemento, uma vez que, o mecanismo de ação dos inibidores que estão incorporados em primeira linha de tratamento são diferentes, pois agem de forma menos abrangente no organismo. Já o Pegcetacoplane age de forma a suprir as falhas dos produtos do protocolo atual, proporcionando aos pacientes um tratamento bem mais eficaz.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, opção terapêutica para pacientes com doença hemolítica persistente (hemólise intra e extra-vascular) com esquema posológico mais confortável ao paciente	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: eculizumabe, Positivo: melhora da fadiga e na qualidade de vida, Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento Pegcetacoplane deve ser incorporado para o tratamento de pacientes adultos com HPN (Hemoglobinúria Paroxística Noturna) previamente tratados com inibidores do complemento, uma vez que, o mecanismo de ação dos inibidores que estão incorporados em primeira linha de tratamento são diferentes, pois agem de forma menos abrangente no organismo. Já o Pegcetacoplane age de forma a suprir as falhas dos produtos do protocolo atual, proporcionando aos pacientes um tratamento bem mais eficaz.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que devido a especificidade da doença é necessário que exista mais uma terapia com outra forma de atuação, para poder fazer frente a estas características e atender a todos os pacientes da forma mais efetiva possível	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: PEGCETACOPLANA, Positivo e facilidades: Redução das transfusões, controle da hemólise extravascular, facilidade por ser infusões realizadas em casa, subcutâneas, relatos de redução da fadiga nas atividades do dia a dia., Negativo e dificuldades: Não tive nenhum relato sobre dificuldades.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe e Ravulizumabe, Positivo: Redução de hemólises, principalmente quando não associadas a hemólises extravasculares, melhora significativa na disposição e qualidade de vida, diminuição drástica de trombozes, melhora geral do estado de saúde do paciente. , Negativo: Em alguns poucos casos a persistência de hemólises, e dificuldades de deslocamentos para infusão quando se trata de longas distância, notadamente no caso do Eculizumabe cuja infusão é de 14 em 14 dias.	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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que deve ser incorporado ao SUS para que os pacientes tenham melhora no quadro clínico.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Soliris, Positivo: * Melhora da qualidade de vida, * Menos episódios de hemólise , * Diminuição da dor , * Retomada parcial das atividades do dia a dia, * Aumento da sobrevida, * Diminuição do Idh, Negativo: *Ainda sente fadiga e dor, * Ainda tem Hemólise de escape e extravascular., * Mesmo com o Soliris ainda teve que fazer transfusões , * Deslocamento até o hospital de 15 em 15 dias dificultando as relações no emprego e viagens	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado para melhorar a qualidade de vida dos pacientes	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris , Positivo: Melhora na qualidade de vida, , Redução das dores, , Melhora no Idh, , Melhora na aptidão física. , Negativo: Manteve as transfusões de sangue., Impacto na vida profissional, acadêmica e pessoal por conta do deslocamento pra tomar a medicação.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento deve ser incorporado no SUS, principalmente porque ele tem os seguintes benefícios:, , * Melhor controle da hemólise, * Aumento/Estabilização da hemoglobina, * Controle do LDH a partir de 2 semanas de tratamento, * Única medicação que inibe via C3, * Medicamento para pacientes que não respondem ao Soliris e Ultomiris, * Normalização de reticulócitos, * Redução de transfusão de sangue, * Qualidade de vida, * Paciente pode realizar a medicação em casa, * Paciente não tem que se deslocar até o hospital (como alguns moram em outras cidades isso é ótimo para o próprio paciente), * Medicamento incorporado em 2022 na Austrália, Canadá, Escócia e Reino Unido, pacientes com ótima resposta, * Redução de custo hospitalar	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pra nós que enfrentamos essa doença é um alívio saber que há uma opção melhor de tratamento! Fui diagnosticado com essa doença horrível, que trouxe além de muito cansaço, prostração, fadiga, e uma duodenite que me deixaram dias na UTI. , Pelos estudos, diferente do Soliris, essa medicação melhora também o hemograma, aumentando hemoglobina, plaqueta e outros componentes que em sua ausência nos trazem esse cansaço excessivo para fazer qualquer atividade básica.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Soliris , Positivo: Melhora e controle de hemólise, sem sangramentos , Negativo: Cansaço, fraqueza e falta de ar	4ª - As evidências clínicas corroboram para uma qualidade de vida melhor, menos cansaço, aumentos dos níveis de hemoglobina, eritrócitos, plaquetas	5ª - Nada a declarar sobre este ponto

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:
Empresa 28/10/2024	1ª - Não tenho opinião formada, A Novartis reconhece a importância do processo de avaliação de tecnologias em saúde como ferramenta para auxílio à tomada de decisão sobre a incorporação de tecnologias ao SUS e reforça a relevância da inclusão de novas tecnologias em prol das necessidades dos pacientes. , Com esta contribuição, temos como objetivo evidenciar o horizonte tecnológico da HPN e prover detalhes técnico-científicos sobre a iptacopana, tecnologia mencionada no MHT, cujo registro está em avaliação pela ANVISA, já foi aprovado por diversas agências regulatórias internacionais e cuja incorporação já foi recomendada por agências internacionais de ATS para indicação semelhante à avaliada neste processo.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Vide documento anexo (CP-814084).	5ª - Não se aplica.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com a distribuição pelo SUS vai salvar as vidas de muitos pacientes que precisam com urgência, seno que eu não esses medicamentos são muitos caros, dificultando o tratamento dos que mais precisam.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Acredito que as pesquisas precisam ser mais urgentes, para dar respostas aos pacientes, pois os medicamentos que estão disponíveis são poucos, e muitos pacientes não respondem a eles.	5ª - Acredito que os medicamentos disponíveis deveriam serem mais acessíveis. O valor é muito caro, e os pacientes não tem condições financeiras para comprar.
Paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento oferece uma forma mais prática para sua utilização, promete resultados melhores (para aproximar da normalidade) e diminui a necessidade de internações em setores de quimio de hospitais.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Soliris (Eculizumab), Positivo: Normalização do DHL, Aumento do hematócrito, diminuição do cansaço, o fim das transfusões de sangue e o fim das crises de hemólise, Negativo: A necessidade de ir de 15 em 15 dias no hospital para fazer o tratamento intravenoso. As veias começaram a ficar doloridas. Os índices de hemoglobina, apesar de estáveis, não subiram o suficiente para eu ter uma vida 100% normal (ou mais próximo da normalidade).	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vai oferecer melhor qualidade de vida para os pacientes devido o uso da medicação ser realizada menos vezes	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao
Interessado no tema 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou a favor da incorporação do medicamento no SUS por acreditar no benefício do medicamento e entendendo que pode ser uma ótima oportunidade para os pacientes que não responderam ao inibidor do complemento disponível .	2ª - Não	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:
Paciente 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou portadora de HPN e acho que quanto mais opções de tratamento disponíveis maiores chances dos pacientes encontrarem aquele que melhor produzirá efeitos em seu organismo. , Sobre este medicamento específico, aplicado em domicílio, vejomcomo um grande avanço de qualidade de vida oara pacientes que residem em locais distantes dos hospitais que hoje aplicam os tratamentos disponíveis pra hpn e fazem longas viagens para recebê-lo. Este deslocamento além de ser cansativo e arriscado ainda impede a pessoa de manter seu emprego muitas vezes.	2ª - Não	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 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento Empaveli é o mais moderno para o tratamento da HPN. Ele atua no C3 na cascata do complemento (e não no C5 como o Soliris ou Ravulizumabe). A consequência de se atuar mais em cima na cascata do complemento é que o medicamento é mais eficaz no controle das hemólises intra e extra vasculares, melhora nos níveis de hemoglobina, controle do DHL, redução no número de transfusões de sangue e melhora na fadiga e qualidade de vida do paciente. Além disso, no HEMO 2024 foram apresentados os dados da ABRALE sobre o Panorama da HPN no Brasil: relato dos pacientes e perfil sociodemográfico. Este estudo transversal descritivo quanti-qualitativo mostra a experiência dos pacientes em tratamento com Soliris e como o tratamento afeta significativamente as atividades diárias e a vida profissional deles. Pacientes relataram perder parte significativa do dia para realizar o tratamento, principalmente quando têm que fazer o tratamento a cada duas semanas, tendo que se deslocar até os centros de infusão e depois lá, tem que aguardar por longos períodos até receber o seu tratamento, o que impacta tanto o emprego quanto a qualidade de vida. Como o Empaveli é um medicamento de uso domiciliar, além de não terem os gastos com deslocamento, o dia perdido nos centros de infusão aguardando o tratamento, o medicamento ainda é mais efetivo no controle da doença e tem menor custo., Panorama da HPN no Brasil: relato dos pacientes e perfil sociodemográfico - Abrale, https://abrale.org.br/noticias/panorama-da-hpn-no-brasil-relato-dos-pacientes-e-perfil-sociodemografico/,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Soliris (eculizumabe), Positivo e facilidades: Elevação nos níveis de hemoglobina, diminuição da necessidade transfusional, melhora da fadiga e qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Dificuldade no acesso. Por isso a importância do medicamento Empaveli estar disponível	3ª - Não	4ª - O estudo PEGASUS fase 3, randomizado, multicêntrico, aberto teve como objetivo demonstrar eficácia e segurança de pegcetacoplane versus eculizumabe., Foi um estudo head-to-head que demonstrou superioridade quando comparado com eculizumabe com ganho de média ajustada em 3,84g/dl de hemoglobina, prevenção de transfusões, alteração na contagem absoluta de reticulócitos, controle das bilirrubinas e DHL, melhora clínica e significativa da fadiga promovendo uma melhor qualidade de vida ao	5ª - O medicamento Empaveli já é mais barato que o Soliris ou Ravulizumabe. Quando incluímos na conta a redução no número de internações, redução no número de transfusões de sangue, desocupação dos centros de infusão onde os pacientes recebem Soliris e Ravulizumabe. Esta redução de custos incrementais já é bastante significativa. Se incluirmos na conta a redução nos custos de deslocamento dos pacientes até o centro (pois Empaveli é uma medicação de uso domiciliar), redução no tempo despendido para realização do tratamento, redução nas faltas ao trabalho, este valor pode ser significativamente maior para o sistema.
Profissional de saúde 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Atualmente, não há medicação disponível no SUS que seja capaz de realizar um bloqueio proximal do sistema complemento, estabilizando não apenas a anemia, mas também a hemólise de escape em menos tempo e de maneira mais eficaz. Importante também comentar sobre o aspecto fármaco-econômico da medicação, que tem custo abaixo do que o que está em mercado.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplane, Positivo e facilidades: Medicação subcutânea, com dispositivo de infusão contínua, o que facilita a aderência ao tratamento, além de comodidade posológica., Negativo e dificuldades: Acesso a medicação, ainda não disponível no SUS.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: É o medicamento de primeira linha para o tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna e que mudou o paradigma da doença., Negativo: Eculizumabe é uma excelente medicação, porém, ainda assim, há pacientes refratários que mantêm hemólise de escape, trombose e sintomas constitucionais apesar da medicação.	4ª - Estudo clínico multicentrico fase 3 comparativo de não inferioridade eculizumabe x pagcetacoplane: APL2-302	5ª - The cost-effectiveness of pegcetacoplan in complement treatment-naïve adults with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria in the USA. PMID: PMC10690430 PMID: 37655691

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 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito ser importante ter mais de uma opção de tratamento para a HPN levando em conta que em torno de 20% dos pacientes que fazem uso de inibidores do C5 ainda apresentam quadros de hemólise extra-vascular com necessidades transfusionais e especialmente esse grupo de pacientes teria um grande benefício em trocar o tratamento para pegcetacoplana. Outra questão seria a possibilidade de infundir o tratamento em casa o que pode facilitar especialmente para pacientes que residem longe dos centros de infusão.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplana, Positivo e facilidades: Melhora nos níveis de Hb e qualidade de vida do paciente em uso da medicação, Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhora da qualidade de vida, redução no número de complicações da doença e número de internações e transfusões sanguíneas, Negativo: Dificuldade de acesso ao centro para infusão da medicação., Dificuldade em receber a medicação do estado.	4ª - -	5ª - -
Interessado no tema 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O remédio além de ser necessário para a população deveria ser de fácil acesso, pois é uma doença rara e necessita-se que não haja burocracia para os pacientes ter acesso a ele.	2ª - Não	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:
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 28/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Empaveli, Pegcetacoplana, Positivo e facilidades: A Pegcetacoplana é uma molécula simétrica, composta por dois pentadeca-peptídeos idênticos, ligados covalentemente a uma molécula linear de PEG de 40 kDa. Essa estrutura resulta numa excelente solubilidade e prolongado tempo de permanência no organismo. Sua elevada afinidade pela proteína C3 do complemento e pelo fragmento de ativação C3b permite uma regulação eficaz da cascata do complemento, controlando a clivagem do C3 e a formação de moléculas efetoras. Na Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), a Pegcetacoplana é superior ao inibidor de C5 (estudo Pegasus), evidenciando controle das hemólises intra e extravascular, normalização dos níveis de hemoglobina, redução da necessidade transfusional, controle dos parâmetros de hemólises como DHL, bilirrubinas, reticulócitos e proporcionando ao paciente, melhor qualidade de vida., Além disso, resalto que a incorporação da Pegcetacoplana representa uma oportunidade de economia significativa para o SUS, com estimativa de redução de R\$ 18,5 milhões no primeiro ano e R\$ 538 milhões acumulados ao longo de cinco anos., A Pint Pharma se compromete a fornecer gratuitamente as doses necessárias para as primeiras 4 semanas de tratamento dos pacientes SWTICH, caso Empaveli seja incorporado ao SUS. Esta iniciativa reflete nosso compromisso em facilitar o acesso a terapias inovadoras e eficazes., Acreditamos que a incorporação da Pegcetacoplana seja um passo decisivo não apenas para o tratamento da HPN, mas também para a melhoria do sistema de saúde, promovendo um tratamento mais eficaz e centrado nos pacientes., Agradecemos a atenção e oportunidade de contribuir nesse importante tema. Coloco-me à disposição para quaisquer esclarecimentos adicionais., A contribuição mais robusta segue anexa., , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - "A Pint Pharma, farmacêutica europeia com atuação na América Latina e presente no Brasil desde 2017, solicitou recentemente a reavaliação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec) quanto a incorporação do pegcetacoplana como opção de tratamento no Sistema Único de Saúde (SUS) para pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). Doença rara, a HPN possui risco elevado de morbimortalidade que causa a destruição precoce das hemácias e pode ter graves consequências, como trombose, anemia severa, fadiga, hemoglobinúria (urina avermelhada/escurecida), envolvimento renal, dor abdominal, disfunção erétil, disfagia e dispneia ³ ., O uso do pegcetacoplana para o tratamento de pacientes adultos com HPN foi aprovado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em julho de 2023 e o seu preço, pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED) para comercialização em todo o território nacional em novembro do mesmo ano. Em setembro de 2024, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec) emitiu parecer desfavorável para a

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:
					incorporação da medicação no Sistema Único de Saúde (SUS)., Como compromisso da Pint Pharma junto à Conitec e Ministério da Saúde, informamos que, nos casos de pacientes previamente tratados com eculizumabe ou ravulizumabe (pacientes SWITCH), faremos a doação de 8 frascos (doses) de Empaveli (pegcetacoplana), referente às 4 (quatro) primeiras semanas de tratamento, para reduzir o risco de hemólise com a descontinuação abrupta do tratamento prévio. , Além disso, nosso Programa de Suporte ao Paciente, está devidamente estruturado e composto por enfermeiras que realizam o treinamento, acompanhamento e adesão dos pacientes com nossa terapia. Por meio de seu Programa de Suporte ao Paciente, a Pint Pharma oferece aos pacientes com prescrição de Empaveli®(pegcetacoplan a) os seguintes serviços: , • VACINAS para pacientes que ainda não tenham sido vacinados e não tenham "

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 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Estudos clínicos demonstraram benefício naqueles pacientes que não conseguia atingir um nível de hemoglobina adequado e com persistência importante da sintomatologia.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: No contexto histórico da doença, o eculizumabe mudou a trajetória dos pacientes, porém existe um grupo de pacientes, especialmente aqueles com hemólise extravascular, onde existe uma lacuna na resposta clínica, com anemia considerável, necessidade transfusional e baixa qualidade de vida. , Negativo: Persistência da anemia devido à hemólise extravascular e pior qualidade de vida.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Houve um avanço enorme na aprovação dos inibidores de C5 para tratamento de HPN no SUS, a saber eculizumabe e atualmente ravulizumabe, entretanto, somente eles não são suficientes, pois até 25% dos pacientes podem persistir com anemia e repercussão em qualidade de vida com sintomas como fadiga, destes, a grande maioria é secundária à hemólise extravascular, que pode ocorrer com inibidores de C5. Em minha rotina, tenho pelo menos 3 pacientes que assim se apresentam, uma delas muito grave, com alta necessidade transfusional (no mínimo quinzenal) e péssima qualidade de vida. Nestes casos, o ajuste posológico de ecul ou ravu não são indicados por sua ineficácia, sendo necessários inibidores de complemento proximal. Por enquanto, o único aprovado no Brasil é a pegcetacoplane (inibidor de C3), o qual é indicado para estes casos com excelente ação e controle do quadro, em substituição ao inibidor de C5. Ou seja, por enquanto, estes 3 pacientes citados não têm nenhuma opção terapêutica no SUS. Desta forma, o controle de hemólise extravascular com medicamento inibidor de complemento proximal seria um grande avanço para estes pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe, Positivo: Bom controle de doença, redução de risco de lesões de órgão alvo como trombose, renal e hipertensão pulmonar, acesso no SUS., Negativo: Ecul - posologia a cada 14 dias, inibidores de C5 - não controlar hemólise extravascular. , ,	4ª - ABAIXO	5ª - ABAIXO

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 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou Enfermeira e acompanho paciente com HPN e é possível perceber o quanto o pacientes diagnosticados com HPN são beneficiados com o uso de Pegcetacoplana, a incorporação de mais uma opção de tratamento, traz a possibilidade do paciente manter a hemólise controlada mesmo quando é identificada a hemólise extravascular., Com uso de inibidor de C3, os pacientes apresentam melhora na Hemólise intra e extravascular, lem de melhorar parametros de LDH e HB, proporcionando melhor qualidade de vida., A forma de administração possibilita mais autonomia, conforto e segurança ao tratamento, diminuindo longos deslocamentos periodicos	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: PEGCETACOPLANA, Positivo e facilidades: Controle de hemólise intra e extravascular em paciente de HPN., Negativo e dificuldades: Reação no local de aplicação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: Controle de hemólise intravascular apenas, Negativo: Reação infusional	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Melhor controle da hemólise.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Soliris, Positivo: Melhora da qualidade de vida, Menos episódios de hemólise, Diminuição da dor, Aumento da sobrevida e Diminuição do Idh., Negativo: Deslocamento até o hospital de 15 em 15 dias dificultando as relações no emprego e viagens	4ª - NÃO SE APLICA.	5ª - NÃO SE APLICA.
Interessado no tema 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Pegcetacoplana representa uma nova abordagem terapêutica que demonstra eficácia e segurança em pacientes que não obtiveram resposta satisfatória com o tratamento atual. Sua inclusão é essencial para oferecer uma alternativa viável e melhorar a qualidade de vida dos pacientes. Peço que essa solicitação seja avaliada com a devida atenção.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Os ensaios clínicos demonstraram que a Pegcetacoplana é eficaz na redução de eventos trombóticos e na melhora dos níveis de hemoglobina. Os estudos indicaram um perfil de segurança favorável, com efeitos colaterais manejáveis.	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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O TRATAMENTO COM PEGCETACOPLANA VISA MELHORAR OS NÍVEIS DE HEMOGLOBINA E REDUZIR A NECESSIDADE DE TRANSFUSÕES, ALÉM DE APRESENTAR IMPACTOS NA QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES. ESSE MEDICAMENTO PODE SER REALIZADO EM CASA POR VIA SUBCUTÂNEA 2 VEZES NA SEMANA, EXCELENTE PARA PACIENTES QUE AINDA APRESENTAM HEMÓLISE, BLOQUEIA A VIA C3 (O ÚNICO INIBIDOR QUE FAZ ISSO), ALÉM DE REDUZIR O CUSTO DE HOSPITALIZAÇÕES E AMBULATÓRIOS PARA APLICAÇÃO DE MEDICAMENTO. VAI DAR MAIS QUALIDADE DE VIDA AOS PACIENTES, POIS MUITOS MORAM DISTANTES DO LOCAL DE APLICAÇÃO E PODERÃO FAZER A APLICAÇÃO NA COMODIDADE DAS SUAS CASAS, ALÉM DA REDUÇÃO DA ANEMIA E CANSAÇO.,	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: NÃO SE APLICA, Positivo e facilidades: INFUSÕES SUBCUTÂNEAS EM CASA 2 VEZES POR SEMANA (30 MINUTOS) E COM ISSO REDUÇÃO DO CUSTO DE HOSPITALIZAÇÃO / CUSTO AMBULATORIAL. CONTROLE DA HEMÓLISE INTRA E EXTRA VASCULAR (C5 E C3), POR SER UMA MEDICAÇÃO QUE BLOQUEIA O COMPLEMENTO PROXIMAL E REDUÇÃO DA FADIGA PORQUE REDUZ A ANEMIA, AUMENTANDO OS GLÓBULOS VERMELHOS PARA O NÍVEL DA NORMALIDADE. CONTROLE DA NECESSIDADE DE TRANSFUSÕES. MENOS RISCO DE INFECÇÕES., , Negativo e dificuldades: NÃO SE APLICA	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: DURANTE MUITOS ANOS, NÃO HAVIA OUTRO TIPO DE TRATAMENTO, SOMENTE O ECULIZUMABE (SOLIRES), SENDO ASSIM ELE TEVE UM PAPEL IMPORTANTE POIS MESMO NÃO SENDO TÃO EFICAZ SALVOU MUITAS VIDAS, EVITANDO A HEMOLISE NO TOTAL E OS RISCOS TROMBOTICOS GERANDO MORTES., , Negativo: A IDA DE 14 EM 14 DIAS NOS HOSPITAIS PARA INFUSÃO, DIFICULTANDO ASSIM A PRESENÇA NO TRABALHO E TAMBÉM AS MANUTENÇÕES DAS VEIAS COM INFUSÕES CONSTANTES. A ANEMIA CONSTANTE, POIS O ECULIZUMABE NÃO ATUA TOTALMENTE NO C3 OCORRENDO ASSIM MUITAS HEMOLISES DE ESCAPE. CUSTO ALTO TANTO COM O VALOR DE MEDICAMENTO QUANTO AO VALOR DOS HOSPITAIS OU CLINICAS PARA A INFUSÃO QUE OCORRE DUAS VEZES POR MÊS.,	4ª - NÃO SE APLICA	5ª - NÃO SE APLICA
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que a incorporacao do medicamento ao Sus trara uma serie de beneficios para os pacientes e para o governo, tais como: controle eficaz da hemólise e estabilidade da hemoglobina, redução da necessidade de transfusões de sangue, medicação administrada em casa, com menos impacto na rotina, pegcetacoplan incorporado em países como Canadá e Reino Unido, com excelente resposta, redução de custos hospitalares com menos internações e transfusões.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Profissional de saúde 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumab , Positivo: Excelente medicamento trouxe melhora na sobrevivência dos pacientes que até então não tinha nenhum medicamento para tratar HPN. Hoje melhora na qualidade de vida e diminuição da necessidade transfusional., Negativo: Alguns pacientes persistem com quadro de hemólise mesmo em uso de Eculizumab	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:
Paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Hoje, realizo as infusões do Soliris a cada 15 dias, e é importante ressaltar que se trata de um medicamento de alto custo. As infusões precisam ser feitas no hospital, o que é um desafio para muitos pacientes. No entanto, existindo mais opções de medicamentos e que podem ser aplicados em casa, sem dúvida, melhoraria a qualidade de vida dos pacientes. Ter mais alternativas de tratamento para HPN significa que mais pacientes terão acesso a cuidados adequados, aumentando suas chances de um tratamento eficaz e uma vida mais plena. A diversificação das opções terapêuticas é fundamental para atender às necessidades individuais de cada paciente e garantir que todos possam usufruir dos benefícios dos tratamentos disponíveis.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: SOLIRIS (eculizumabe), Positivo: Após iniciar a infusão do medicamento Soliris a cada 15 dias, minha qualidade de vida melhorou significativamente. Como portador de HPN (Hemoglobinúria Paroxística Noturna), antes do tratamento, vivia em um estado constante de anemia, cansaço extremo e preocupações com o risco de trombose. Esses sintomas debilitantes afetavam não apenas meu bem-estar físico, mas também minha capacidade de realizar atividades diárias e de aproveitar momentos com minha família e amigos., , Um dos aspectos mais impactantes foi a resolução dos episódios de urina com sangue, que geravam grande apreensão e desconforto. Com a infusão do Soliris, notei uma melhora notável em minha condição. A anemia foi sanada, e o cansaço, que antes me acompanhava, diminuiu consideravelmente. Agora, consigo realizar tarefas que antes eram exaustivas e desfrutar de uma rotina mais ativa e plena., Negativo: A partir da minha experiência com a infusão do medicamento Soliris, não percebi nenhum resultado negativo ou dificuldade significativa. O tratamento tem sido muito bem tolerado, e as infusões ocorreram sem complicações. Na verdade, a experiência até agora tem sido positiva, pois todas as preocupações anteriores relacionadas à anemia, cansaço e risco de trombose foram resolvidas com as infusões., , Não enfrentei nenhum efeito colateral ou dificuldade que pudesse impactar minha saúde ou bem-estar.	4ª - Como portador de HPN, posso afirmar que a regularidade das infusões do medicamento Soliris a cada 15 dias é crucial para o meu bem-estar. Quando não realizo a infusão conforme prescrito, imediatamente percebo um aumento no cansaço e a urina começa a escurecer, apresentando sangue. Esses sintomas são evidências claras de que estou hemolisando., , Esse relato reforça a importância das infusões regulares e como elas são fundamentais para controlar os sintomas e melhorar a qualidade de vida dos pacientes com HPN. A experiência clínica mostra que a manutenção do tratamento não apenas previne a progressão da doença, mas também promove uma melhor qualidade de vida, permitindo que os pacientes realizem suas atividades diárias com mais energia e menos limitações.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplane visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemólise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemólises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clinicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	4ª - não se aplica	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 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, MELHOR CUSTO-BENEFICIO E RESPOSTAS RAPIDADS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: PEGCETACOPLANA, ECULIZUMABE, Positivo e facilidades: PACIENTE ESTAVA EM FRANCA FALHA DE RESPOSTA AO ECULIZUMABE, APOS 2 DOSES DE PEGCETACOPLANA RECUPEROU A HEMOGLOBINA DE 7 PARA 12 E CESSOU A HEMOLISE - RESPOSTA EXTRAORDINARIA, Negativo e dificuldades: NENHUMA, PACIENTE APLICA O MEDICAMENTO NO DOMICILIO COM FACILIDADE	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: OS PACIENTES RESPONDEM GERALMENTE, Negativo: DEMORA PARA OBTER A RESPOSTA, CUSTO, NECESSIDADE DE REPETIR DOSE DE ATAQUE POR QUADROS DE HEMOLISE DE ESCAPE	4ª - N Engl J Med 2021, 384:1028-37., DOI: 10.1056/NEJMoa2029073	5ª - N Engl J Med 2021, 384:1028-37., DOI: 10.1056/NEJMoa2029073
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que a nova medicação possa trazer mais saúde e qualidade de vida para os pacientes com HPN!	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Meu irmão usa Soliris., Positivo: Controle de hemólise., Negativo: Hemoglobina baixa muito após 10 dias da infusão de Soliris. Ficando bastante abaixo do índice pré início do tratamento!	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplane visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemolise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemolises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clinicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês	4ª - nao se aplica	5ª - nao se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento com Pegcetacoplane visa melhorar os níveis de hemoglobina e reduzir a necessidade de transfusões, além de apresentar impactos na qualidade de vida dos pacientes. Esse medicamento pode ser realizado em casa por via subcutânea 2 vezes na semana, excelente para pacientes que ainda apresentam hemólise, bloqueia a via C3 (o único inibidor que faz isso), além de reduzir o custo de hospitalizações e ambulatorios para aplicação de medicamento. Vai dar mais qualidade de vida aos pacientes, pois muitos moram distantes do local de aplicação e poderão fazer a aplicação na comodidade das suas casas, além da redução da anemia e cansaço.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Durante muitos anos, não havia outro tipo de tratamento, somente o Eculizumabe (solires), sendo assim ele teve um papel importante pois mesmo não sendo tão eficaz salvou muitas vidas, evitando a hemolise no total e os riscos tromboticos gerando mortes., Negativo: A ida de 14 em 14 dias nos hospitais para infusão, dificultando assim a presença no trabalho e também as manutenções das veias com infusões constantes. A anemia constante, pois o eculizumabe não atua totalmente no C3 ocorrendo assim muitas hemolises de escape. Custo alto tanto com o valor de medicamento quanto ao valor dos hospitais ou clinicas para a infusão que ocorre duas vezes por mês.	4ª - não se aplica	5ª - responder 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 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pegcetacoplana, inibidor de C3, é eficaz para o tratamento do HPN. Aproximadamente, 30% dos pacientes que fazem uso de Eculizumabe, apresentarão falha terapêutica, no controle da Hemoglobina (tornando necessário transfusões), aumento da Fadiga e ocorrendo Hemólise Extra, Vascular (Confirmado através do Estudo Pegasus, ver anexo). Além, Pegcetacoplana é, administrada de forma subcutânea, facilitando a adesão do paciente, não sendo necessário o, paciente comparecer em um centro de infusão. Para o setor público, no decorrer de 05 cinco anos,, pode trazer uma economia de R\$ 158 milhões aos cofres Públicos.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplana, Positivo e facilidades: Pegcetacoplana, através de estudos de vida real e estudos clínicos (Pegasus e Prince),, comprova a eficácia no tratamento do HPN. Ambos estudos, vida real e clínicos, comprovam que a, Pegcetacoplana aumenta os níveis de hemoglobina (estudo Pegasus 3,84 g/ dl quando comparado, ao Eculizumabe). Pegcetacoplana, reduz a necessidade de transfusões em 85% e melhora a, qualidade de vida Facit-Fadiga (Confirmado através do estudo Pegasus). No cenário econômico,, Pegcetacoplana demonstrou que a razão de custo-utilidade incremental da incorporação da pegcetacoplana, possibilitaria uma economia de R\$ 3.816.473,44 com relação ao eculizumabe e de 1.858.994,53 em comparação ao, ravulizumabe. O impacto orçamentário estimou que a incorporação da pegcetacoplana pode resultar em economia, de recursos para o sistema de R\$ 158 milhões, acumulados ao longo de 05 (cinco) anos., Negativo e dificuldades: Nada negativo em relação a Pegcetacoplana	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: taxa de resposta, porem não mantida, Negativo: Com Eculizumabe, aumento do risco de trombose, anemia persistente, aumento do, número de transfusões	4ª - São Evidentes os benefícios de Pegcetacoplana no tratamento de HPN. Pegcetacoplana, é um Inibidor de C3, eficaz no tratamento de HPN. Quando comparado ao Eculizumabe,, Pegcetacoplana demonstrada inúmeras vantagens, aumento de Hemoglobina de 3,84 g/dl no, estudo de 48 semanas, redução de 85% no número de transfusões e redução da fadiga (Ver estudo, Pegasus, envie anexo).	5ª - A avaliação econômica demonstrou que a razão de custo-utilidade incremental (relação entre o custo, adicional e o benefício adicional obtido) da incorporação da pegcetacoplana possibilitaria uma economia de R\$, 3.816.473,44 com relação ao eculizumabe e de 1.858.994,53 em comparação ao ravulizumabe. A análise de impacto, orçamentário estimou que a incorporação da pegcetacoplana poderia resultar em economia de recursos para o, sistema de R\$ 157,99 milhões, acumulados ao longo de cinco anos.
Paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, São poucos medicamentos para essa patologia, cada medicação é de muita valia para todos os pacientes	2ª - Sim, como paciente, Qual: SOLIRIS ECOLIZUMAB, Positivo e facilidades: Tive boa experiência, pois é direcionado para a minha patologia de base., Negativo e dificuldades: Nenhuma experiência negativa	3ª - Sim, como paciente, Qual: Soliris ecolizumab, Positivo: Todos aspectos positivos, Negativo: Nenhum aspecto negativo	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:
Paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Em relação ao medicamento pegcetacoplana, por ser medicação em que as infusões são subcutâneas de 30 minutos, duas vezes por semana, e realizadas em casa, tem como resultado a diminuição dos gastos com serviços médicos, tais como pagamento de consultas e de tempo de infusão de clínicas e hospitais, e trará praticidade ao paciente, inclusive acabando com as faltas para tratamento médico, permitindo viagens e preservando seu emprego. O paciente de HPN, por vezes leucopênico, também evitará o ambiente hospitalar, evitando infecções., A atuação do medicamento sobre as proteínas C3 e C5 faz com que diversos pacientes que sofrem de hemólise extravascular e não se recuperam totalmente com o Soliris possam ter um medicamento específico e que vai trazer tratamento eficaz para sua doença., Também servirá de alternativa para os pacientes que não tiveram resposta de 100% com o Soliris, assim como aqueles que eventualmente desenvolverem resistência ao anticorpo do Soliris após uso por longos períodos (o que é uma probabilidade, muitos dos pacientes que usam o Soliris iniciaram já o utilizam há muitos anos)., Assim, além de o novo medicamento ter demonstrado pelas pesquisas científicas e pelo seu uso em larga escala em outros países, que todos os indicadores de hemólise passam a ser controlados, com desempenho até melhor que o Soliris, inclusive eliminando a necessidade de transfusões de sangue, não há razão para a negativa de incorporação do medicamento como mais uma alternativa do SUS para o tratamento da HPN., Ademais, segundo se extrai do relatório, o custo da medicação é menor que o custo do Soliris, gerando relevante economia em escala ao longo do tempo.,	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Soliris (Eculizumabe), Positivo: Com o medicamento Soliris passei a viver novamente, sem os sintomas graves que me levaram a seguidas internações em UTI por mais de 01 ano, com o Soliris, que iniciei em setembro de 2011, voltei a trabalhar como Delegado da Polícia Federal, foi suspenso meu processo de aposentadoria e minha saúde está estabilizada nesses 13 anos de medicamento. Não faço mais transfusões de sangue e plaquetas e tenho qualidade de vida, vida praticamente normal, exceto a questão das infusões a cada 12 ou 14 dias que atrapalham minha rotina laboral, especialmente as viagens que tenho que cumprir, e já me impediram de frequentar cursos e cumprir missões no exterior., Negativo: Com o Soliris, apesar de ter mudado radicalmente minha vida como portador de HPN para melhor, ainda continuei tendo escapes, isto é, hemólises não intensas, quando na véspera ou no dia da próxima infusão, tendo que diminuir os dias de infusão para não ter complicações. Ademais, a obrigação de fazer infusões em centros clínicos/hospitalares atrapalha bastante a vida profissional, devido ao tempo que leva para a preparação, manipulação da medicação e infusão, e principalmente para os pacientes que viajam a trabalho, não havendo flexibilidade para a realização das infusões do paciente., A contribuição que proponho é detalhar melhor nos relatórios sobre HPN a explicação de que o “único tratamento que tem o objetivo de curar a doença é a realização de Transplante de Células-Tronco Hematopoieticas Alogênico (TCTH-AL)” para incluir as ressalvas e limitações dessa solução, já que o transplante para pacientes de HPN tem taxas de sucesso menores que para outras doenças, bem como nem todos os pacientes possuem doador compatível, ou ainda nem sempre o paciente possui saúde suficiente para enfrentar um transplante após o diagnóstico de HPN. Isso porque a leitura rasa do texto deixa transparecer que o TCTH-AL é um tratamento curativo eficaz e possível para todos, o que de antemão tornaria sem sentido a incorporação de um medicamento de alto custo para esses pacientes.	4ª - Em relação a exigência das evidências clínicas, não é crível exigir a execução de estudos com a mesma carga e quantidade de pessoas para doenças raras como são os estudos para doenças comuns, pois estas atingem muitas pessoas e todos estão a elas sujeitos. A comprovação de evidência nas pesquisas para doenças raras OBIAMENTE vai ser mais difícil e de pouca amplitude, e na prática, só o fato de um dado medicamento para uma doença rara que não tenha cura e nem tratamento existente estar sendo criado já é motivo de esperança, que leva até mesmo o paciente a se colocar à disposição para participar de testes. Ao menos a esperança é o que lhe resta, o ser humano quer ter a chance de preservar sua vida., Ademais, os estudos que levam à aprovação de medicamentos em outros países (como as agências FDA americana e EMA europeia) não podem ser ignorados pela agência brasileira, pelo contrário, devem ser aproveitados para chancelar e corroborar a necessidade de sua aprovação, o que não quer dizer que ferirá a independência, autonomia e respeitabilidade da CONITEC para incorporação e da Agência Brasileira de Vigilância Sanitária para sua aprovação.,	5ª - Segundo o relatório expedido, consta que “a análise da Comissão deve ser baseada em evidências científicas sobre eficácia, acurácia, efetividade e segurança da tecnologia, bem como a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas.”, Em nome de qualquer paciente de doença rara, deve ser registrado que a análise sobre evidências científicas e custo do medicamento para doenças raras não pode ser uma análise padrão para os demais medicamentos. , Entende-se que a análise de custo-efetividade não poderia sequer ser efetuada para pacientes de HPN, pois obviamente o preço atribuído pelo fabricante vai levar em conta não só o custo de investimento realizado e de produção, mas também a falta da vendagem em escala que permita “pagar” a nova tecnologia criada, que é o medicamento para uma dada doença rara. Afinal os pacientes são raros e poucos., Desse modo, o Ministério da Saúde, e a própria Conitec, em seu atuar estratégico, deveriam trabalhar para uma proposição própria de mudança da legislação para buscar aplicar o princípio de Aristóteles elevado ao princípio constitucional da igualdade para os pacientes e as doenças

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:
					raras: “Dar tratamento isonômico às partes significa tratar igualmente os iguais e desigualmente os desiguais, na exata medida de suas desigualdades” -, e ainda que não haja mudanças na legislação, a Conitec deve levar em conta, nas suas análises, que o custo-efetividade é indicador para doenças comuns, mas não para as doenças raras.,
Profissional de saúde 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acreditamos que a incorporação da Pegcetacoplana para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidores do complemento e que tenham critérios de resposta insatisfatória aos inibidores de C5 (resposta parcial ou menor) poderia trazer inestimáveis ganhos a este subgrupo de pacientes, sobretudo em relação à melhora da hemoglobina, da necessidade transfusional e da fadiga/qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe, Iptacopan., Positivo: Vide relatório anexo., Negativo: Vide relatório anexo.	4ª - Vide anexo.	5ª - Vide anexo.
Profissional de saúde 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pegcetacoplan deve sim ser incorporado por todos os Benefícios que oferece. Como: melhora da taxa de hemoglobina, melhora da taxa de DHL, melhora na qualidade de vida do paciente, facilidade de auto aplicação, menos custo para o governo, menos custo e trabalho para o paciente para ir ao centro de referência .	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplan , Positivo e facilidades: Melhora rápida do paciente no seu estado geral. Além da melhora de seus exames laboratoriais. Aumento significativo da Hemoglobina, por exemplo. , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhora no início, depois muita hemodiálise extra vascular, Negativo: Muita hemólise extravascular.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhora da qualidade de vida nos pacientes que desenvolvem hemólise extravascular e persistem com anemia., Melhor acesso dos pacientes que moram longe de grandes centros, que tem dificuldade de conseguir tratamento por dificuldade de deslocamento a cada 2 semanas para infusão de Eculizumabe.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplana, Positivo e facilidades: Comodidade posologica, sem necessidade de infusão intravenosa, melhora dos níveis de hemoglobina., Negativo e dificuldades: Alguns pacientes ainda necessitam de auxílio de profissionais de saúde para infusão.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe , Positivo: Eficácia, bem tolerado., Negativo: Necessidade de infusão venosa a cada 2 semana	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhora da qualidade e expectativa de vida dos pacientes em uso	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao

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 29/10/2024	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento disponível no SUS permite boa resposta e qualidade de vida, com cerca de 5% dos pacientes necessitando de troca para a classe em questão. A posologia do medicamento analisado não é adequada para a grande maioria dos pacientes do SUS, devido uso frequente (2x por semana) em ambiente não assistido (domiciliar). A má adesão ao medicamento, muito comum nesse contexto, não foi avaliada, e pode ser grave. A experiencia nesse contexto é baixa.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Tenho cerca de 30 a 40 pacientes atualmente em uso de eculizumabe, ravulizumabe ou crovalimabe (inibidores de complemento), Positivo: os inibidores acima mencionados indicaram melhora da qualidade de vida, redução da mortalidade e morbidade (trombose), Negativo: a aplicação de eculizumabe a cada 14 dias é inconveniente para o paciente do sistema de saude publica pelo deslocamento e dificuldade de conciliar com attic laborais, o que não ocorre com ravulizumabe e crovalimabe.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acesso universal à uma medicação para controle de uma doença rara, debilitante e grave	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que deve ser incorporado pelo SUS porque assim terei uma medicação melhor que me trará mais qualidade de vida, com melhora da hemoglobina e segurança que teremos sempre a medicação para tratar.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Pegcetacoplana , Positivo e facilidades: Ainda não usei mas minha amiga usa e os sintomas desapareceram e os exames laboratoriais tiveram uma estabilização na Hemoglobina, bilirrubina e não precisou mãos transfundir , Negativo e dificuldades: Até o momento não soube	3ª - Sim, como paciente, Qual: Soliris , Positivo: Tive bom resultado no início em 2015, a urina com sangue melhorou, a fadiga e engasgo., Negativo: Após 5 anos de uso observou que os sintomas retornaram e hoje está hemolisando, com fadiga e dores de cabeça. Observo também que quando está mais perto da próxima infusão do Soliris os sintomas aumentam muito. Sinto que o medicamento não está mais fazendo efeito.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	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 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, -	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplana para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidores do complemento, Positivo e facilidades: A experiência com o pegcetacoplana revelou resultados positivos significativos, incluindo um aumento nos níveis de hemoglobina, que melhorou a oxigenação dos tecidos e reduziu os sintomas de fadiga. Além disso, a maioria dos pacientes não precisou mais de transfusões sanguíneas, representando um avanço importante na gestão da hemoglobinúria paroxística noturna (HPN)., Negativo e dificuldades: A necessidade de monitoramento regular dos níveis de hemoglobina e LDH exige um compromisso significativo por parte dos pacientes, o que pode ser desafiador para aqueles com limitações de acesso aos serviços de saúde. A avaliação da resposta ao tratamento também pode ser complexa, já que nem todos os pacientes apresentam os mesmos benefícios, e a variação nas respostas individuais pode dificultar a otimização do regime terapêutico. Por fim, a introdução de um novo medicamento exige uma atualização constante da equipe de saúde, o que pode demandar tempo e recursos, além de necessitar de um investimento em treinamento para garantir que todos os profissionais estejam bem informados sobre o uso e a administração do pegcetacoplana.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumab e Transfusão sanguínea, Positivo: Eculizumabe: Este inibidor do complemento é utilizado no tratamento da HPN e se mostrou eficaz no controle da hemólise, além de reduzir a necessidade de transfusões sanguíneas. Os pacientes frequentemente experimentam uma melhoria significativa em sua qualidade de vida devido ao seu efeito no manejo da doença., Transfusões de sangue: Em situações agudas ou em casos de hemorragia significativa, as transfusões são uma intervenção comum e podem proporcionar alívio rápido e eficaz, estabilizando a condição do paciente. Essa abordagem pode ser crucial para o tratamento imediato em emergências, ajudando a evitar complicações graves., Negativo: Eculizumabe: Embora eficaz no controle da hemólise, seu uso pode estar associado a um risco aumentado de infecções graves, como meningococemia, o que exige vigilância constante dos pacientes. Além disso, a necessidade de administração intravenosa a cada duas semanas pode ser um desafio logístico, especialmente para aqueles que vivem longe de centros de atendimento ou têm dificuldades de deslocamento., Transfusões de sangue: Apesar de serem uma intervenção comum em situações agudas, as transfusões não abordam a causa subjacente da HPN, o que significa que os pacientes podem necessitar de múltiplas transfusões ao longo do tempo. Isso pode levar a complicações como sobrecarga de ferro, além de riscos associados a reações transfusionais.	4ª - -	5ª - -
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris, Positivo: Melhora qualidade vida, Negativo: Não melhora 100%	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vai ser fundamental na abordagem clínica e melhorar a qualidade de vida dos pacientes acometidos	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplana, Positivo e facilidades: Resposta clínica bastante efetiva e redução de necessidades Transfusional, bem como redução de trombose , Negativo e dificuldades: Não tive dificuldades adicionais	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Redução do risco de hemólise , Negativo: Resposta menos efetiva	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:
Empresa 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: A AstraZeneca do Brasil Ltda vem por meio desta Consulta Pública registrar a sua contribuição com o processo uma vez que é a fabricante de eculizumabe e ravulizumabe, ambos medicamentos incorporados para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna no país e comparadores desta avaliação. Desta forma, a empresa entende que pode contribuir trazendo informações sobre alguns pontos apresentados e debatidos durante a plenária., Positivo: , Negativo:	4ª - Contribuição técnica relacionada às evidências clínicas no anexo.	5ª - Contribuição técnica relacionada aos estudos econômicos no anexo.
Profissional de saúde 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Apesar de não ter experiência própria como profissional de saúde com uso de desse medicamento, torna-se uma opção para os pacientes com HPN e que estão refratários ao uso de inibidores de complemento C3	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Empresa 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Atualmente, não há tratamento aprovado pela CONITEC para pacientes com HPN em uso de inibidores de C5 que permanecem anêmicos devido à hemólise extravascular. A ausência de uma opção terapêutica para esses pacientes merece atenção da agência reguladora, visando oferecer alternativas que possam controlar esta condição, potencialmente fatal quando não tratada adequadamente. Nesse contexto, a Associação Brasileira de Hematologia e Hemoterapia (ABHH), por meio do Comitê de Falências Medulares, apoia a incorporação do pegcetacoplan ao arsenal terapêutico disponível para o tratamento de pacientes com HPN., , ,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: Apenas cerca de um terço dos pacientes tratados com inibidores de C5 alcança uma resposta completa em termos de níveis de hemoglobina. É comum que esses pacientes mantenham algum grau de anemia, apesar do controle eficaz da hemólise intravascular. Assim, enquanto uma parte dos pacientes estabiliza os níveis de hemoglobina entre 10 e 12 g/dL, outros mantêm níveis abaixo de 10 g/dL. Em cerca de 10 a 15% dos casos, a hemoglobina permanece abaixo de 8 g/dL, exigindo transfusões devido à resposta subótima ao inibidor de complemento C5., Essa persistência da anemia se deve à hemólise extravascular, que afeta pacientes com HPN tratados com inibidores de C5. Dependendo da gravidade da anemia, os pacientes podem apresentar sintomas mais intensos, acompanhados de reticulocitose geralmente acima de 100.000/mm³. Os níveis de desidrogenase láctica costumam estar normais ou levemente elevados, e a bilirrubina também pode apresentar um discreto aumento, indicando a presença de hemólise extravascular. Nesse cenário, os inibidores de C3, que atuam em uma proteína mais proximal da cascata do complemento, têm mostrado resultados promissores. Embora os dados de primeira linha sejam , , , encorajadores, a utilização desses inibidores de C3 como primeira linha poderia fazer mais sentido em um contexto de benefício econômico, dado o sucesso de longo prazo dos inibidores de C5 para a maioria dos pacientes., , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - No Brasil, o pegcetacoplan, um derivado da compstatina que bloqueia o C3, foi recentemente aprovado pela ANVISA. Em pacientes com HPN tratados com inibidores de C5, a hemólise extravascular é mediada pela proteína C3, e o pegcetacoplan demonstrou ser uma alternativa eficaz. Observa-se uma elevação nos níveis de hemoglobina em cerca de 3 g/dL e uma redução da reticulocitose, proporcionando um melhor controle da hemólise extravascular, enquanto o controle da hemólise intravascular é mantido. Este avanço contribui para uma qualidade de vida significativamente melhor devido ao controle aprimorado da hemólise.	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 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que para pacientes que já estão em uso de inibidor de C5 e que persistem com anemia ou mantendo quadro de fadiga, a troca por um inibidor de C3 pode melhorar o quadro clínico	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumab e Ravizumab, Positivo: Melhora da qualidade de vida, redução das complicações e da morbimortalidade , Negativo: Alguns pacientes persistem com anemia por hemolise extra vascular	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Estudo mostrou que o Pegcetacoplane é superior ao Eculizumabe na melhora da hemoglobina e controle da hemólise. Além disso, permite que o paciente se auto aplique em casa.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Soliris (Eculizumabe), Positivo: Controle da doença , Negativo: Necessidade do paciente ir ao Hospital / Centro de Infusão para receber a medicação. Controle parcial da hemólise.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito ser de extrema relevância a incorporação da tecnologia Pegcetacoplane, pensando no ganho na qualidade de vida e melhores resultados para aqueles pacientes que apresentem resposta indesejada, ou falha, aos tratamentos disponíveis no SUS, uma vez que a Pegcetacoplane demonstrou nos estudos a sua superioridade na comparação com a mesma, e tem um impacto orçamentário menor, trazendo uma economia essencial ao sistema de saúde brasileiro, que busca cada vez mais a sustentabilidade do mesmo. A pegcetacoplane é uma droga que apresenta melhor resultados que os inibidores disponíveis, apresenta uma comodidade posológica, por se tratar de uma droga de aplicação domiciliar, e é mais barata que as tecnologias já incorporadas.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Pegcetacoplane , Positivo e facilidades: Ao longo dos 14 anos de trabalho em uma associação de pacientes, desses 10, acompanhando pacientes com HPN, tive a experiência de conhecer pacientes que apesar de fazer uso da terapia disponível no SUS, mas que ainda apresentavam sintomas graves da HPN, começaram a sua saga na solicitação do PEGCETACOPLANA, terapia que atua no C3 com resultados promissores, e presenciei a melhora do primeiro paciente em uso da terapia analisada. , Negativo e dificuldades: O grande ponto negativo quanto a terapia analisada, é o fato da dificuldade de acesso à mesma, uma vez que ainda não está disponível em nenhum sistema de saúde brasileiro, tanto público, quanto privado, o que dificulta o acesos ao tratamento em	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: eculizumabe, Positivo: Ao longo dos anos acompanhando pacientes com HPN, pude analisar a estabilização e ganho de qualidade de vida de pacientes que faziam uso da medicação citada anteriormente., Negativo: Apesar da qualidade, é perceptível que nem todos os pacientes, como é comum nas doenças raras, respondem de maneira adequada aos tratamentos, portanto ao longo dos anos, presenciei muitos pacientes precisarem diminuir o espaçamento entre a aplicação de doses, assim como em alguns casos o aumento da dose, em alguns casos até de maneira off label.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação deve ser feita para aqueles pacientes com dependência transfusional ou sintomas persistentes, mesmo com a inibição de c5, complemento distal.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Redução do risco de trombozes e melhora sintomática, Negativo: Aplicação quinzenal. Maioria dos pacientes persiste com anemia.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento já em uso em outros países com resultados positivos e tratamento pode ser feito em casa, liberando a vaga do hospital para tratamento de outros pacientes	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe , Positivo: Melhora do quadro, Negativo: Continua o cansaço, período curto para se apresentar no hospital e tempo de deslocamento e tratamento	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 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, De acordo com o de fase 3, Estudo Pegasus (head-to-head), Pegcetacopla demonstrou superioridade ao Eculizumab na normalização da contagem absoluta de reticulócitos, com elevação mais rápida e sustentada de hemoglobina (ganho de 3,84 g/dL), na redução da necessidade transfusional fazendo com que mais de 70% dos pacientes em uso da medicação se tornassem livres de necessidade transfusional, bem como apresentou maior redução nos níveis de DHL e melhor controle dos níveis de hemoglobina. Além disso, Pegcetacopla foi superior ao Eculizumab no controle da hemólise intravascular e o único das medicações disponíveis para HPN com bom controle da hemólise extravascular. No que diz respeito à qualidade de vida dos pacientes com HPN em uso de Pegcetacopla, no estudo Pegasus foram submetidos ao score facit-fadiga, e dados publicados demonstram uma melhora significativa na qualidade de vida destes pacientes. No que tange os custos com o tratamento, Pegcetacopla tem menor custo quando comparado ao Eculizumab e Ravalizumab, pois, trata-se de um medicamento que pode ser realizado em domicílio, diminuindo a necessidade de transporte de pacientes até centros infusionais (trazendo comodidade e benefício psicológico para o paciente), economia de insumos, economia do tempo da equipe de enfermagem/médica (já que a medicação pode ser realizada em domicílio), redução da ocupação de leitos hospitalares, uma vez que controla melhor a hemólise intra e extravascular comparado ao Eculizumab e Ravalizumab, com impacto importante na redução de transfusões de bolsas de sangue e de hemocomponentes. Não obstante, reduz o número dias de absenteísmo, o que é positivo para a economia. Por fim, segundo os estudos Pegasus, Prince e estudos de Vida Real, Pegcetacopla se demonstrou um medicamento seguro e eficaz, sem efeitos adversos importantes, com a característica de ser altamente eficiente no controle da hemólise, sobretudo a extravascular.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacopla, Positivo e facilidades: De acordo com o de fase 3, Estudo Pegasus (head-to-head), Pegcetacopla demonstrou superioridade ao Eculizumab na normalização da contagem absoluta de reticulócitos, com elevação mais rápida e sustentada de hemoglobina (ganho de 3,84 g/dL), na redução da necessidade transfusional fazendo com que mais de 70% dos pacientes em uso da medicação se tornassem livres de necessidade transfusional, bem como apresentou maior redução nos níveis de DHL e melhor controle dos níveis de hemoglobina. Além disso, Pegcetacopla foi superior ao Eculizumab no controle da hemólise intravascular e o único das medicações disponíveis para HPN com bom controle da hemólise extravascular. No que diz respeito à qualidade de vida dos pacientes com HPN em uso de Pegcetacopla, no estudo Pegasus foram submetidos ao score facit-fadiga, e dados publicados demonstram uma melhora significativa na qualidade de vida destes pacientes. No que tange os custos com o tratamento, Pegcetacopla tem menor custo quando comparado ao Eculizumab e Ravalizumab, pois, trata-se de um medicamento que pode ser realizado em domicílio, diminuindo a necessidade de transporte de pacientes até centros infusionais (trazendo comodidade e benefício psicológico para o paciente), economia de insumos, economia do tempo da equipe de enfermagem/médica (já que a medicação pode ser realizada em domicílio), redução da ocupação de leitos hospitalares, uma vez que controla melhor a hemólise intra e extravascular comparado ao Eculizumab e Ravalizumab, com impacto importante na redução de transfusões de bolsas de sangue e de hemocomponentes. Não obstante, reduz o número dias de absenteísmo, o que é positivo para a economia. Por fim, segundo os estudos Pegasus, Prince e estudos de Vida Real, Pegcetacopla se demonstrou um medicamento seguro e eficaz, sem efeitos adversos importantes, com a característica de ser altamente eficiente no controle da hemólise, sobretudo a extravascular. , Negativo e dificuldades: Não há pontos negativos a serem relatados. E espera-se que o medicamento seja o quanto antes incorporado ao SUS	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumab e Ravalizumab, Positivo: Conseguem controlar temporariamente a hemólise intravascular, com melhora dos níveis de hemoglobina e redução dos sintomas da doença. , Negativo: Eculizumab e Ravalizumab consegue controlar a hemólise intravascular, pelo menos, temporariamente, mas não são eficazes no controle da hemólise extravascular. Além disso, a periodicidade de administração das medicações é maior, o ajuste da dose é mais fino e requer que os pacientes se desloquem até centros infusionais para receber as medicações. A elevação dos níveis de hemoglobina e a redução do DHL e controle dos níveis de bilirrubinas é mais demorado.	4ª - Segundo estudos como o Pegasus, Prince e estudos de Vida Real, Pegcetacopla se demonstrou um medicamento seguro e eficaz atuando no controle da hemólise intravascular e principalmente na hemólise extravascular. Além disso, demonstrou superioridade ao Eculizumab na normalização da contagem absoluta de reticulócitos, com elevação mais rápida e sustentada de hemoglobina (ganho de 3,84 g/dL), na redução da necessidade transfusional fazendo com que mais de 70% dos pacientes em uso da medicação se tornassem livres de necessidade transfusional, bem como apresentou maior redução nos níveis de DHL e melhor controle dos níveis de hemoglobina. No que diz respeito à qualidade de vida dos pacientes com HPN em uso de Pegcetacopla, no estudo Pegasus foram submetidos ao score facit-fadiga, e dados publicados demonstram uma melhora significativa na qualidade de vida destes pacientes.	5ª - No que tange os custos com o tratamento, Pegcetacopla tem menor custo quando comparado ao Eculizumab e Ravalizumab, pois, trata-se de um medicamento que pode ser realizado em domicílio, diminuindo a necessidade de transporte de pacientes até centros infusionais (trazendo comodidade e benefício psicológico para o paciente), economia de insumos, economia do tempo da equipe de enfermagem/médica (já que a medicação pode ser realizada em domicílio), redução da ocupação de leitos hospitalares, uma vez que controla melhor a hemólise intra e extravascular comparado ao Eculizumab e Ravalizumab, com impacto importante na redução de transfusões de bolsas de sangue e de hemocomponentes. Não obstante, reduz o número dias de absenteísmo, o que é positivo para a economia.

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 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que deve ser incorporado no SUS pois é uma medicação que tem resposta muito boa nos níveis de hemoglobina, reticulocitos, LDH, bilirrubina, fazendo com que o paciente tenha uma melhor qualidade de vida, voltando a suas atividades de trabalho e vida social. Além disso não observamos reações adversas. É seguro e trás a comodidade do paciente poder fazer as aplicações em casa e sem custos para ele ou para o município/estado.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Pegcetacoplana , Positivo e facilidades: Observado um retorno aos níveis normais da hemoglobina em uma semana de tratamento, estabilização dos níveis de LDH, bilirrubina, reticulocitos. Paciente melhorou da fadiga e não precisou mais de transfusão. Além disso,vfaz suas aplicações em casa com mais conforto e sem custos., Negativo e dificuldades: Ate o momento não observei pontos negativos	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumabe, Positivo: Não percebemos pontos positivos , Negativo: O paciente continuou com muita fadiga e necessitando de transfusão mesmo usando o Eculizumabe	4ª - Nao	5ª - Nao
Interessado no tema 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Aplicações menos frequentes e redução do risco de hemolise de escape	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Bons resultados, Negativo: Aplicações quinzenais e pode haver hemolise de escape	4ª - HORNEFF, Regina et al. Three Years On: The Role of Pegcetacoplan in Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH) since Its Initial Approval. International Journal of Molecular Sciences, v. 25, n. 16, p. 8698, 2024.	5ª - Não
Profissional de saúde 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A HPN é uma doença debilitante, tem complicações cardiovascular, renal, hipertensão pulmonar, além da fadiga. O pegcetacoplana pode atuar na falha das outras terapias, possibilitando melhora clinica, mas comodidade posológica por ser subcutânea. Além de desafogar os centros de infusões dos estados.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Pegcetacoplana,, Positivo e facilidades: O pegcetacoplana, melhora a anemia, a transfusão de sangue , fadiga , possibilitando o paciente ter mais qualidade de vida. Melhora da condição clinica dos pacientes refratário ao tratamento anteriores., Negativo e dificuldades: O cuidado que tem com esses pacientes é a imunidade, tem que estar com a vacina em dia, além de ter que ir no hemocentro para fazer a infusão duas vezes na semana.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	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:
Paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A terapia curativa sugerida no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas de Hemoglobinúria Paroxística Noturna, Transplante de Células-Tronco Hematopoiéticas Alogênico, não é garantia de sucesso. É uma terapia que tem elevados riscos e pode resultar na morte do paciente, sendo desaconselhada pela maioria dos médicos no caso de HPN. As demais terapias não curativas, como transfusões de sangue, não são tão efetivas em tratar a doença. A transfusão de sangue, por exemplo, não consegue tratar diretamente a hemólise intravascular e extravascular. Então, para os pacientes em que o uso de inibidor C5 não é tão efetivo, faz-se necessário a adoção de outra medicação. É nesse contexto que o CONITEC não pode deixar de observar a necessidade e importância da Pegcetacoplane. Esses pacientes precisam de um tratamento digno e que consiga reduzir a hemólise intravascular e extravascular. Com isso, o HB do paciente irá aumentar, assim como sua disposição e qualidade de vida para atividades rotineiras (para quem tem hemólise extravascular não controlada até uma leve caminhada ou subir escadas pode ser um grande desafio, ou ainda atividades que envolvam memória e raciocínio ágil ficam comprometidas). Além disso, a adoção desse novo medicamento trará redução de custos para o SUS (impacto orçamentário positivo). Sem contar que pode aplicar em casa a medicação é um grande ganho de tempo e de liberação de espaço nos hospitais públicos. Para um paciente imunossuprimido o ideal é evitar ir a ambientes hospitalares. Medicamento incorporado em 2022 na Austrália, Canadá, Escócia e Reino Unido, pacientes com ótima resposta.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Eculizumabe (Soliris), Positivo: O Eculizumabe (Soliris), atualmente, é o sustentáculo dos pacientes que possuem HPN. É uma doença muito agressiva e sem essa medicação não há expectativa de sobrevida. Então, em minha experiência como paciente, o remédio controla bem a hemólise intravascular e reduz significativamente a desidrogenase láctica (DHL). Também observo a redução de dores abdominais, que sem o remédio são muito fortes. Com a melhora desses indicadores, a qualidade de vida do paciente é superior. , Negativo: Por ser um inibidor da via final do complemento, o Eculizumabe (Soliris) não consegue controlar de forma satisfatória a hemólise extravascular. Então, subsiste, nesse quadro, anemia, fadiga, icterícia, podendo haver a necessidade de transfusões de concentrados de hemácias para elevar o HB (mesmo na ausência de infecção). Tudo esse cenário, ao longo prazo, compromete outras partes do corpo, como o coração. Mas ainda assim, é melhor viver dessa forma do que não viver de forma alguma.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A chance de pessoas com essa doença terem uma vida melhor	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Profissional de saúde 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Eculizumabe, Positivo: Boa resposta clínica , Negativo: Necessidade de uso contínuo (aplicações periódicas) de medicação cuja administração é intravenosa. Possibilidade de resposta incompleta.	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:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/10/2024	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser encorporado ao SUS porque além de uma nova alternativa para os pacientes, com novos tratamentos o SUS também economizará com precedimentos médicos, pois novas tecnologias ajudam a melhorar a qualidade da saúde e do sistema de saúde.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Soliris Eculizumab, Positivo e facilidades: Vi uma melhora significativa na saúde da minha filha, portadora de HPN., Negativo e dificuldades: Infelizmente enfrentamos dificuldade para conseguir o remédio, demor. e atrasos do mesmo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Eculizumab., Positivo: Melhora da saúde e qualidade de vida da minha filha. , Negativo: Atrasos e demoras na distribuição do medicamento.	4ª - Não enviar .	5ª - Não enviar.