

Contribuições da Consulta Pública - Formulário ATS - Burosumabe para o tratamento de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos - Conitec

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, os resultados alcançados para mim nesse período de utilização foram impressionantes. Desde que utilizo essa medicação tenho uma qualidade de vida que jamais eu pensava que teria.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Calcitriol, fósforo, calcio, Positivo e facilidades: Desde o início da utilização do Burosumabe sinto melhora na força muscular, diminuição de dores e fadiga. Tive sucesso em duas das 15 cirurgias realizadas nas pernas. As fraturas que eu tinha a mais de 10 anos calcificaram com sucesso. Consigo hoje realizar tarefas que antes não eram possível, e consigo ainda fazer exercícios físicos, que antes eram impossíveis., Negativo e dificuldades: Não tive nenhum ponto negativo.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Calcitriol, fósforo, calcio, Positivo: Infelizmente com a idade, as medicações convencionais não tinham mais efeitos satisfatórios, Negativo: As dosagens dos medicamentos convencionais já não davam resultado esperado. As dores eram persistentes e as fraturas ósseas eram frequentes.	4ª - sim	5ª - Não
Paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, E essencial a incorporação do medicamento ao SUS, ele é o tratamento que dá resultado e salva vidas	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Minha filha já usa o burosumab, e está tendo um resultado incrível. Também possuo raquitismo e estou na luta. Os remédios convencionais estão acabando com o meu rim, pois está sobrecarregado e corro risco de hemodiálise, o tratamento burosumab é altamente eficaz, atua diretamente na causa do problema, fazendo que o corpo não elimine o fosfato cálcio etc, , Positivo e facilidades: Minha filha como criança já usa o burosumab, e está tendo um resultado incrível. Também possuo raquitismo e estou na luta. Os remédios convencionais estão acabando com o meu rim, pois está sobrecarregado e corro risco de hemodiálise, o tratamento burosumab é altamente eficaz, atua diretamente na causa do problema, fazendo que o corpo não elimine o fosfato cálcio etc. O burosumab é essencial para mim adulta, pois com ele vai estacionar minha nefrocalcinose e não vou perder meus rins. Precisamos de aprovação urgente deste medicamento., Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como paciente, Qual: Reposição fósforo cálcio vitamina d calcitriol , Positivo: Não tive resultados positivos , Negativo: Não tenho resultados positivos, nunca consegui chegar aos níveis normais de fosfato do corpo, sobrecarregou meus rins, correndo o risco de hemodiálise. Tive que operar 4 vezes, e ainda possuo tortura na perna. Tenho muitos efeitos colaterais, diarreia, mal hálito etc, pois o remédio convencional mais destrói o corpo do que nos ajuda.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento que melhora significadamente a qualidade de vida do XLH, por conta do auto custo se torna inviável adquirir para o uso de forma devida.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Melhora nas taxas de fósforo no sangue., Auxílio da reabsorção de fosfato pelos rins , e, por meio da produção de vitamina D,, ção intestinal de cálcio e fosfato, reduzindo os danos cauados pelo raquitismo hipofosfatemico, Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Calcitriol , Fósforo elementar, Positivo: Reposição de cálcio , Reposição de fósforo , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Precisamos desse medicamento, pois é o único que realmente pode nos ajudar.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Calcitriol e Fosfato, Positivo: Melhora levemente o nível de fósforo. , Negativo: Mesmo tomando doses elevadas da medicação meu fósforo não melhora. O fosfato me dá dores do estômago e diarreia. Estou perdendo todos os dentes e começando a ter deficiência auditiva.	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 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Burosumabe deve ser disponibilizado de forma gratuita aos pacientes com doenças ligadas ao cromossomo X, independente da idade do paciente, pois os resultados têm sido muito satisfatórios também em pessoas adultas.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Fortalecimento dos ossos e musculatura e consolidação das fraturas. , Negativo e dificuldades: Nenhuma observada	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Calcitriol , cálcio e fósforo , Positivo: A minha amiga de 42 anos de idade faz uso desde medicamento e a sua vida ficou muito mais ativa e ela passou a ter mais disposição física ao utilizar o Burosumabe , já o calcitriol , o ferro e o cálcio não surtiram o resultado esperado ., Negativo: Nenhuma observada	4ª - Acompanhe a evolução da paciente em tratamento de Burosumabe através das suas postagens em sua rede social @solsilva.cantora.	5ª - A evolução do tratamento com Burosumabe pode ser acompanhada pelo Instagram da paciente @solsilva.cantora
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Assim é possível ajudar um maior número de pessoas. Os adultos também necessitam de cuidados que o medicamento acaba ajudando em diversas áreas da saúde. Incluí-los é de extrema importância	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Atualmente, o acesso ao Burosumabe é muito difícil. Garantir o acesso a este medicamento via SUS possibilita que mais pessoas com XLH tenham uma vida cada vez mais digna e livre de dor.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Burosumabe alivia as dores de pacientes com XLH., Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento deve ser incorporado ao SUS. E os adultos que necessitam dele devem ter a oportunidade de obtê-lo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não possuo nenhuma experiência técnica.	5ª - Não possuo nenhum conhecimento econômico.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como sociedade, temos que olhar por aqueles que mais necessitam. É um medicamento que melhora Clara e efetivamente a vida das Raras pessoas que sofrem muito com essa doença. Como sociedade DEVEMOS isso a todos os acometidos por essa doença!	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Na minha filha de 2 anos e meio os resultados foram muito rápidos, diminuiu a curvatura das perninhas, a melhorou mobilidade para subir e descer pequenos degraus que não conseguia. E devido a sua condição tivemos contato com muitos adultos e seus relatos de melhoria na qualidade de vida. TODOS sem exceção, tiveram grande melhoria na sua mobilidade, na melhoria da dor e consequentemente conseguem ter uma vida mais ativa e com muito mais qualidade, Negativo e dificuldades: Absolutamente nada negativo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Suplemento de cálcio e fósforo, Positivo: Muito ruim... apesar de ter sido pouco tempo, não houve nenhum sinal de melhoria, Negativo: Não funciona ou o resultado é pouco é muito lento	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É de suma importância a incorporação do medicamento em questão	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Calcitriol+fósforo de sódio , Positivo: Apenas o não agravamento , Negativo: Não evolução ou melhora da condição	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento em questão traz benefícios na saúde das pessoas acometidas com XLH. Isso impacta na qualidade de vida, na inserção no mercado de trabalho, na escolaridade e na inserção social das pessoas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do Burosumabe para adultos ao SUS garante a melhora na qualidade de vida dos pacientes, reduzindo as sequelas da doença para o resto da vida.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Diminuição de dores músculo-esqueléticas, diminuição do arqueamento dos membros inferiores, melhora na coordenação motora e na marcha, retomada do crescimento, melhora na qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Tratamento convencional baseado na ingestão de solução de fósforo e calcitriol., Positivo: Nenhum resultado positivo com tratamento convencional., Negativo: Diarréia, náuseas, agitação, insônia, atraso no crescimento, arqueamento de membros inferiores.	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Burosumabe deve ser incorporado ao SUS devido ao alto custo do medicamento e a falta de condições financeiras de pacientes. Nem todos os Estados Federativos possuem tratamento adequado para Raquitismo Hipofosfatêmico ligado ao cromossomo X, fato este que ensejou o meu deslocamento para o Estado de São Paulo dada a escassez de recursos da Medicina Pernambucana. Com sua distribuição via SUS, facilitará não só o amplo acesso aos mais variados Estados Federados, mas também a qualidade de vida de pacientes adultos que ainda tem vida ativa e profissional para contribuir com o crescimento do país.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Fosfato de Sódio Bibásico Anidro P.A, Fosfato de Potássio Bibásico Anidro P.A, Calcitriol - 0,25mcg e Carbonato de Cálcio - 500mg. Realizei quatro intervenções cirúrgicas nos membros inferiores para correção de deformidades ocasionadas pela doença, Positivo: , Negativo: Necessidade de tomar diariamente, além de que os medicamentos supracitados contribuem para constipação intestinal e escurecimento dos dentes.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É muito impressionante o que essa medicação pode fazer a favor do publico com XLH. Essa população pede socorro, sem a medicação. A partir da medicação é possível caminhar, trabalhar, se locomover.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: melhora na qualidade de vida, melhora na dor, possibilidade de locomoção sem dor. , Negativo e dificuldades: Não percebi	3ª - Não	4ª - Acho que o RELATÓRIO PARA SOCIEDADE: informações sobre recomendações de incorporação de medicamentos e outras tecnologias no SUS, BUROSUMABE, para o tratamento de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos pode ajudar.	5ª - não
Profissional de saúde 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tendo em vista o panorama positivo da incorporação do Burosumabe para o público infantil/adolescente, deve-se aplicar também ao público adulto. Estes pacientes referem muita dor e fraqueza, que prejudicam sua qualidade de vida e contribuição social, além de outras queixas que são muito individuais. Com estes pacientes tratados, eles terão uma melhor qualidade de vida, qualidade social, poderão trabalhar e contribuir socialmente.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Redução da dor, redução de fraturas e pseudofraturas, normalização dos exames bioquímicos (fósforo, fosfatase alcalina, vitamina D), melhora na qualidade de vida e contribuição social. , Negativo e dificuldades: Poucos eventos adversos relacionados à aplicação do medicamento que é aplicado via subcutânea.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: suplementação de fósforo e/ou vitamina D, que não age na causa da doença e pode causar eventos adversos à longo prazo. , Positivo: normalização do fósforo , Negativo: possibilidade de eventos adversos à longo prazo, como hipercalcemia, hipercalcúria, nefrolitíase, nefrocalcinose e hiperparatireoidismo	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vejo pela melhora do meu sobrinho	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Diminuição de dores músculo-esqueléticas, diminuição do arqueamento dos membros inferiores, melhora na coordenação motora e na marcha, retomada do crescimento, melhora na qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Tratamento convencional baseado na ingestão de solução de fósforo e calcitriol., Positivo: ., Negativo: Diarréia, náuseas, agitação, insônia, atraso no crescimento, arqueamento de membros inferiores.	4ª - A incorporação do Burosumabe para adultos ao SUS garante a melhora na qualidade de vida dos pacientes, reduzindo as sequelas da doença para o resto da vida.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora significa na qualidade de vida com muitos menos quedas e fraturas., Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medicação biológica burosumabe, me proporciona mais energia e disposição para realização das minhas atividades, melhora na consolidação das minhas fraturas que tive no passado, com o tratamento atual, nunca mais tive fraturas. A melhora no meu quadro de saúde foi muito boa, e o meu fósforo fica dentro da faixa recomendada, tive retardo da progressão. Sinto menos fadiga quando estou tomando, menos rigidez articular e melhora na dor crônica, e nunca mais tive abscessos dentários. ,	2ª - Sim, como paciente, Qual: Medicação Biológica, o Burosumabe. , , Positivo e facilidades: Melhora na dor crônica, menos fadiga e rigidez articular. Sinto mais energia e disposição. Calcificação de fraturas e diminuição na progressão dos sintomas. , , Negativo e dificuldades: Nenhum efeito negativo. ,	3ª - Sim, como paciente, Qual: Medicação paliativa, suplementação de fósforo e calcitriol. , , Positivo: Comecei com sete anos, a reposição de fósforo e a única melhora que senti foi de ter um pouco de força muscular. , , Negativo: O fósforo continuava sendo eliminado pela urina, logo as nove fraturas que tive ao longo da vida seguiram acontecendo com a progressão. Mais, as deformidades ósseas nas pernas, coluna e braços, treze cirurgias ortopédicas em membros inferiores e reaprendi a andar 18x. Progressão acelerada da condição com muita fadiga, dores crônicas incapacitantes, falta de energia e disposição. Perda de dentes e abscessos dentários, artroses nas articulações, entesopatias, cervicgia, tendinopatias etc. ,	4ª - Sou uma pessoa com XLH, mas também uma profissional da saúde - Bióloga e Doutoranda em Saúde na UNIFESP, e pesquiso Qualidade de Vida de Pessoas com XLH da América Latina, então a partir das minhas pesquisas e leitura de diversos estudos científicos sobre XLH. O que todos eles evidenciam, é como as pessoas que estão em tratamento com burosumabe tem melhora no quadro geral de saúde em diversos aspectos, como redução da fadiga e mais energia, melhora na dor crônica, consolidação de fraturas, e diminuição da progressão da condição. ,	5ª - Não, mas acredito que medicações biológicas para condições raras deveriam ter valores mais acessíveis. ,
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento de alto custo para a população	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho importante pois, minha amiga que utiliza recuperou a qualidade de vida por conta do medicamento, e se incorporado ao SUS irá ajudar muitas pessoas que não tem condição de arcar com o medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento burosumabe fez um grande diferencial na vida de minha amiga, ela é adulta e faz uso do medicamento. Ajudou no fortalecimento ósseo e muscular e deu autonomia a ela. Sem esse medicamento por exemplo ela não conseguiria andar sem muletas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Há diversos relatos de adultos que utilizam o Burosumabe e tem expressiva melhora em sua qualidade de vida, sentindo-se mais ativos e produtivos em função da redução de dores. Em diversos países o tratamento já é fornecido aos adultos com resultados muito positivos., Possivelmente o uso em adultos também aumenta a expectativa de vida dos pacientes, uma vez que poderão viver com mais qualidade de vida e menos sequelas.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: , O tratamento com Burosumabe é muito eficaz uma vez que atinge os níveis adequados de fósforo no organismo, regulando também os níveis de fosfatase alcalina e vitamina D ativa. É de fácil adesão, já que são necessárias apenas duas ou uma injeção mensal. Não tem efeitos colaterais graves. Permite que o paciente melhore sua qualidade de vida, com menos dores, mais mobilidade e força física., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Ingestão oral de fósforo e calcitriol., Positivo: Nenhum resultado positivo em função dos diversos efeitos colaterais., Negativo: É de difícil adesão pois é necessário tomar a medicação de 4 a 6 vezes ao dia. Causa grande desconforto gástrico, diarreia, náuseas, redução no apetite. No nosso caso percebemos maior agitação e, por consequencia, insônia. Prejudicou bastante a qualidade de vida e não foram percebidos aspectos positivos., As cápsulas ou solução de fósforo precisam ser manipuladas em farmácia especializada, não estão disponíveis pelo SUS, custando em torno de R\$ 400,00, dependendo do peso do paciente. O calcitriol é fornecido pelo SUS.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Burosumabe melhora significativamente a vida dos pacientes sofrem de hipofosfatemia ligada ao X	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Vi a evolução de um familiar , que tinha muitas dores e não conseguia andar antes do tratamento , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Calcitriol , Positivo: Pouquíssimos ou quase nada , Negativo: Sem melhorias significativas	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Já existe comprovação científica da eficácia do Burosumab para adultos. Foram realizados vários trabalhos de acompanhamento dos pacientes em uso do Burosumab e os pacientes tiveram melhoras significativas	2ª - Sim, como paciente, Qual: Burosumab, Positivo e facilidades: Com o Burosumab passei a ter qualidade de vida, melhoraram as dores musculares, consigo me locomover sem sentir dor, a perda óssea melhorou, não tenho mais perda dentária e a perda de audição estacionou, a concentração de fósforo sanguíneo normalizou e cessou a perda de fósforo urinário , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como paciente, Qual: Solução de fosfato , Positivo: Nenhum, Negativo: Náuseas, vômito e diarreia, não ocorre absorção do fósforo por todo o fósforo ingerido da solução é eliminado na urina, o que pode comprometer o funcionamento dos rins. A concentração de fósforo sanguíneo continua abaixo do limite inferior	4ª - Após uso do Burosumab a minha Densitometria Óssea e os raios X mostram recuperação da densidade óssea	5ª - Acho que o Governo Federal teria uma redução no custo da medicação por que irá comprar para todos os pacientes, visto que por via judicial o medicamento tem um valor diferente
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Minha irmã tem XLH, e o remédio convencional não adiantou nada e ela corre o risco de hemodiálise sem a medicação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento que aumenta qualidade de vida de seus paciente de maneira exponencial. Medicamento que atua na causa raiz, fazendo com que o corpo funcione como deveria se não fosse a doença. Previne diversos efeitos colaterais que o paciente pode ter ao longo da fase adulta., Medicamento de custo alto que seria impossível de ser arcado se não for incorporado ao SUS.	2ª - Sim, como paciente, Qual: BUROSUMABE, Positivo e facilidades: Melhora nos exames de sangue, redução na fadiga, menor Rigidez nos tornozelos, sem dores no estômago/azia que sentia ao tomar medicamento K-phos, , Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo	3ª - Sim, como paciente, Qual: Tomava k-phos, d-prev e sigmatriol., Por muito tempo da infância precisei engessar a perna para reduzir a deformação óssea., Também utilizei por anos goteira noturna para ajustar deformação óssea., , Positivo: Redução na deformação óssea., Apesar de abaixo do normal, de certa forma havia um controle de índices de exame de sangue , Negativo: Deformação óssea dos membros inferiores, principalmente no joelho direito, Nefrocalcinose, Exames clínicos sempre inferiores ao normal, Azia e problemas intestinais devido ao uso de alto volume de medicamentos	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes geram melhora substancial	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora na mobilidade, melhora no quadro da dor, melhora auditiva, , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumab, Positivo e facilidades: Ausência de dores e qualifade de vida, maior disposição , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muitos adultos dependem dessa medicação para que tenham uma qualidade de vida melhor , O que realmente esse tratamento ajuda , Impede outras deformidades e alívio das dores	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe infantil , Positivo e facilidades: Qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 16/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A liberação para adulto é fundamental frente aos resultados alcançados físicos e mental.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora das dores, disposição, auto estima, efeitos colaterais , psicologicos e fisicos, humor e qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Rocaltrol e K-Phos, Positivo: Reposição da perda , Negativo: Nem sempre a reposição era suficiente levando a dotes , constantes exames e alterações físicas e psicológicas	4ª - Melhoras em todos os sentidos como físicos e mental	5ª - Impossível manter um tratamento na pessoa física, daí a A IMPORTANCIA DO SUS na compra e liberação do medicamento em questao
Profissional de saúde 17/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os estudos desenvolvidos até agora tem se mostrado bastante favoráveis na melhora da qualidade de vida dos pacientes que estão tomando o Burosumabe. Os relatos daqueles que já estão tomando este medicamento são muito positivos. Estamos desenvolvendo pesquisa na área odontológica com pacientes XLH e vemos de perto a necessidade de uma medicação mais efetiva.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Os pacientes XLH se sentem muito melhor, a qualidade bucal aumenta e as dores diminuem, Negativo e dificuldades: Não percebi nenhum resultado negativo.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Calcitriol, Fósforo, , Positivo: Ajudam na qualidade bucal, mas não de forma totalmente efetiva. O paciente XLH, mesmo tomando esta medicação está sujeito a vários problemas orais., Negativo: aumento do índice de cárie quando tem açúcar no xarope, pois ele deve ser tomado várias vezes ao dia e principalmente as crianças não escovam os dentes na frequência necessária. , Não previne os abscessos expontâneos, não melhora a qualidade de mineralização do esmalte, da dentina e nem do processo alveolar, levando à perda precoce dos dentes, onerando o sistema público de saúde que se relaciona à manutenção da saúde dos pacientes portadores de XLH.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vários trabalhistas demonstram melhora da dor e deformidades importantes que ocorrem nesta doenca	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 17/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como profissional que já lidou com tratamento convencional em adultos e crianças e com a terapia alvo atual em crianças, tenho absoluta certeza da necessidade deste tratamento de forma contínua para o paciente adulto.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe em tratamento de crianças portadoras de XLH, Positivo e facilidades: Melhora de malformações ósseas, crescimento e comorbidades., Melhora indescritível de qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Nunca lidei com eventos adversos nas 4 crianças, em 4 anos de tratamento.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: solução fosfatada e calcitriol, Positivo: sem os mesmos resultados positivos., Negativo: cálculos renais.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Com o uso do Burosumabe o nível sérico de fósforo atingiu a normalidade., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo ou dificuldade.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fósforo e calcitriol., Positivo: Leve melhora no nível sérico de fósforo., Negativo: Diarreia, náusea, alteração do PTH.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 17/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que deve ser incorporado no sus , Para as pessoas adultas que possui a doença Raquitismo hipofosfatemico para uma melhor qualidade de vida	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: O medicamento Burosumabe , Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Reposição oral de cálcio e fosfato não tive bom resultados , Positivo: Este medicamento mudou a vida do meu filho , E melhora no crescimento , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 17/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Diante do testemunho de uso do Burosumabe e a melhoria na qualidade de vida, penso que é justo que pessoas adultas também tenham direito à medicação, devidamente acompanhadas por médicos responsáveis por acompanhar os casos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.
Interessado no tema 18/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, ""Apesar de não ter acompanhado a vida da paciente, conheço a história dela e sei que mesmo depois de adulta a partir do momento que ela conseguiu utilizar a medicação a melhora foi visível em sua qualidade de vida. Antes sem perspectiva de nem ao menos andar, e com constantes dores, hoje ela está muito bem.""	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumab , Positivo e facilidades: Melhora clínica dos pacientes , qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Acesso	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Fósforo oral , Positivo: Reduzir levemente a evolução de doença , Negativo: Difícil adesão e pouca resposta clínica	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 18/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do burosumabe no SUS é essencial, pois trata a causa subjacente da hipofosfatemia ligada ao X, melhora os desfechos clínicos e reduz o impacto negativo na qualidade de vida. É uma solução inovadora que preenche lacunas no tratamento atual	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: O burosumabe demonstrou melhora significativa nos níveis séricos de fósforo, reduzindo dores ósseas e fraturas em pacientes com hipofosfatemia ligada ao X, o que resultou em maior mobilidade e qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Alguns pacientes relataram efeitos adversos leves, como reações no local da aplicação, mas nenhum evento grave foi observado. Outra dificuldade é o custo elevado, que pode limitar o acesso.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Terapias de reposição de fósforo oral, acompanhamento nutricional e controle de sintomas relacionados à doença, Positivo: Reposição de fósforo oral contribuiu parcialmente para melhorar os níveis séricos, mas sem eficácia completa no manejo dos sintomas ou prevenção de fraturas., Negativo: As terapias orais são frequentemente mal toleradas pelos pacientes devido a efeitos gastrointestinais e não conseguem manter níveis adequados de fósforo no longo prazo.	4ª - Estudos clínicos comprovam que o burosumabe melhora os níveis de fósforo sérico, reduz dores ósseas e previne fraturas em pacientes com hipofosfatemia ligada ao X	5ª - Embora tenha um custo inicial elevado, o burosumabe reduz internações, complicações ósseas e intervenções, gerando economia a médio e longo prazo para o SUS.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O SUS poderia incorporar, tendo em vista que pessoas que não tem condições de arcar com os remédios em questão precisam dos mesmos para não ter maiores riscos de saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 18/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamentos direcionados e de alto impacto devem ser inseridos sem muita burocracia para evitar que pessoas tenham tanta dificuldades e demora no recebimento do tratamento que necessitam.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Autismo, Positivo: Nenhum., Negativo: Vários, pq o processo ficou de lado devido a uma burocracia extremamente desgastante., Acabei desistindo pelo tempo de espera.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 19/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Cuido de 4 pacientes adultos com XLH e acompanho 2 crianças. As 2 crianças conseguiram acesso à medicação via LME e estão podendo mudar o curso natural da doença, com prevenção das deformidades, ganho de estatura e bom desempenho funcional. Dos 4 adultos, somente uma conseguiu acesso judicial e teve grande melhora funcional, da qualidade de vida e de consolidação de lesões ósseas antes não consolidadas. As pacientes adultas que ainda não acesso estão sofrendo muito, seja pela própria doença, seja por efeitos adversos da terapia convencional (nefrocalcinose).	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: "Burosumabe para o tratamento de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos. A paciente adulta teve o diagnóstico em 2014. Foi tratada com o tratamento ""convencional"", que carece de evidência científica, mas é a prática corrente e envolve reposição de fósforo e calcitriol. Não apresentou nenhuma melhora durante todo o tratamento. Apresentava dores crônicas causadas pela osteomalácia, tinha pseudofraturas e fraturas que não cicatrizavam.", Positivo e facilidades: Após introdução do Burosumabe, que só foi possível por via judicial, houve normalização dos níveis e fósforo e cura da osteomalácia. Paciente conseguiu parar altas doses de gabapentina que fazia o uso para as dores crônicas. Melhorou capacidade funcional e laboral, com incremento importante na qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Nenhuma experiência negativa com o medicamento. A experiência negativa foi por GRANDE dificuldade no acesso à medicação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Reposição de fósforo e calcitriol. É o tratamento possível e de maior acesso, porém, que carece de evidência científica e tem efeito muito limitado. Essa modalidade não trata a causa base da doença, por isso tem efeitos muito limitados. Não faz mais sentido técnico no seu uso, havendo terapêutica que tratada a causa base do problema., Positivo: Melhora muito discreta da força e dor muscular. Sem melhora da dor óssea. Sem melhora da qualidade de vida., Negativo: Baixa resposta, muita intolerância gastrointestinal causada pela suplementação de fósforo. Além disto, o fósforo só está disponível no Brasil na forma manipulada e sem acesso público. Além de caro, não é confiável, pois não existe controle de qualidade. Em um dos pacientes adultos com XLH que acompanho (esta paciente está tentando acesso jurídico ao burosumabe), o tratamento com fósforo e calcitriol levou à nefrocalcinose, complicação renal que pode levar a disfunção renal permanente.	4ª - "Trata-se de doença muito rara. Mesmo assim, tanto na população pediátrica, quando na população adulta, foram realizados ensaios clínicos controlados e randomizados, demonstrando enormes benefícios para os pacientes. Infelizmente, o tratamento convencional disponível com reposição de fósforo e calcitriol é um ""tapa-burado"", visto que não trata a causa subjacente da doença. A única razão para não estar amplamente disponível seria custo, pois do ponto de vista médico e técnico, com muita empatia, tem de estar disponível. "	5ª - Não tenho conhecimento suficiente neste sentido.

I

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento só ontem resultado maravilhoso para paciente, seria injusto não continuar o tratamento após vida adulta, é extrema importância continuar esse tratamento para na fase adulta eles poderem continuar a obter qualidade de vida.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Melhor qualidade de vida, melhora óssea, e desenvolvimento motora., Negativo e dificuldades: Sem resultado negativo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Com medicamento via oral sem sucesso., Positivo: Minha filha obteve melhora motora, parte óssea parou de entortar, melhora no crescimento e a qualidade de vida, principalmente na diminuição de fortes dores óssea que ela tinha antes de fazer uso da medicação., Negativo: Sem resultado.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acompanhamento pelas redes sociais a luta de famílias para o uso da medicação e os benefícios que a utilização pode proporcionar.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Devemos estender o acesso já que crianças já o tem e os resultados são positivos, cabendo ao médico avaliar os resultados e melhora final	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: Pacientes começam a caminhar melhor e tem melhora na questão ossea, Negativo e dificuldades: Acesso ao medicamento, as vezes não tem produto na farmácia para crianças	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 20/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O remédio é necessário para os adultos pois o mesmo fortalece os ossos, amenizando as dores e trazendo qualidade de vida..	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Apenas remédios para amenizar as dores nos ossos e cálcio ., Positivo e facilidades: Só tive melhora com procedimentos cirúrgicos , Negativo e dificuldades: Na verdade não fiz tratamento, mas meu filho que faz tá tendo muitas melhoras...	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Procedimentos cirúrgicos , Positivo: Meu filho está sem dores, e se desenvolvendo dentro da normalidade , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É necessário que esteja disponível para que os pacientes tenham uma melhor qualidade de vida	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Resultados muito significativos , Negativo e dificuldades: Não foi observado nada negativo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Sim, Positivo: Correções nos membros inferiores do paciente que é meu filho , , Negativo: Não tem resultado negativo	4ª - Se possível sim	5ª - Sim se possível
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, medicamento que oferece muita qualidade de vida para quem faz hemodiálise. o preço limita o uso apenas por pessoas ricas nesse momento. Deveria ter subsídio ou acesso para quem não pode pagar.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Lokelma e Calnate, Positivo e facilidades: O Lokelma é bem mais fácil de ser tomado e mesmo quando meu avô ficava sem tomar por um dia ou dois o potássio ainda se mantinha adequado, Negativo e dificuldades: O preço	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Calnate, Positivo: e tomado conforme orientação médica, ele funciona, mas quase impossível manter a posologia., Negativo: Muito difícil de tomar, custa muito caro, não mantém os níveis de potássio se não for tomado diariamente (várias vezes ao dia)	4ª - Ouvi dizer que esse produto poderá ser usado através de sondas no futuro próximo, pois já tem estudos sendo feitos	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tenho três filhos que precisam fazer uso contínuo do Burosumabe e essa é a única medicação que realmente trata a doença normalizando as taxas nos exames e diminuindo as dores nos ossos, articação e músculos.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Paciente ficou sem dores nas articulações e musculares., Normalizaram as taxas de Fósforo, PTH e Vitamina D no organismo, crescimento do paciente voltando ao normal., Negativo e dificuldades: Não teve resultado negativo com o Burosumabe	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Cálcio, Fósforo e Vitamina D, Positivo: Não teve resultado positivo , Negativo: Paciente continuava com dores nos músculos e articulações, problemas no crescimento, taxas Taxas de fósforo, PTH, Vitamina D sempre abaixo do normal nos exames de sangue e urina.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento com comprovação científica para tratamento de Hipofosfatemia ligada ao X.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 20/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pela minha idade e cuidados que sempre tomei ao longo da vida, não senti muito com as deformidades, mas hoje em dia, sinto dores constantes, estou tendo lesões sérias nos ossos, microfraturas e muita perda óssea na boca, o que leva a procedimentos cirúrgicos, que não necessariamente vão resolver a perda dentária. A doença evolui e na menopausa é ainda pior, evolui infinitamente mais rápido. É necessário o uso do Burosumabe para ter qualidade de vida. Com a evolução do XLH eu posso perder autonomia física, e isso é muito preocupante.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Fórmula manipulada de Fosfato sódio dibásico, Fosfato ácido de sódio, Fosfato ácido de Potássio, Sigmatriol, Osteonutri e Vitamina D3. , Positivo: São medicamentos que ajudam a reduzir um pouco os efeitos do XLH e funcionam bem se forem tomados desde cedo, que é o meu caso. , Negativo: Como a fórmula de Fosfatos é muito ácida, traz muito refluxo e problemas no estômago, causando diarreia frequente.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Importante para a comunidade de pacientes com doença raras que tenham acesso a medicação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A qualidade de vida com o tratamento Burosumabe é superior.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: BUROSUMABE 10, 20 E 30 MG, Positivo e facilidades: Aumento de mobilidade, diminuição da dor, melhora na qualidade de vida, disposição para atividade física, Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Solução fosfatada, comprimidos de fósforo e calcitriol, Positivo: Nenhum, Negativo: Medicamentos em alta dosagem. Chega a tomar 50 comprimidos por dia. Causa diarreia. Não elimina as dores.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que a medicação burosumabe melhorou a vida integral da minha amiga, proporcionando a ela na realização de suas atividades diárias e participação social com menores danos da sintomatologia da condição.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Minha amiga com burosumabe, Positivo e facilidades: Ela teve melhoras nas dores crônicas, rigidez articular, menos fadigas, não teve mais fraturas e retardou a progressão da condição., Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Antes do burosumabe ela tomava suplementação com fósforo., Positivo: Quando ela era criança a única coisa foi aumento de força e nada mais., Negativo: Antes do burosumabe ela tomava suplementação com fósforo e teve inúmeras fraturas, dores crônicas incapacitantes, fadiga e rigidez articular extremas. E evolução rápida da condição.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Observo melhoras significativas nos sintomas de pacientes que utilizam o medicamento.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Pacientes adultos referem melhoras físicas, motoras e emocionais com o uso do medicamento., Negativo e dificuldades: A instabilidade do fornecimento do medicamento gera angústias, comportamentos disruptivos e gastos com processos judiciais.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A distribuição do medicamento (logística de entrega) é péssima. Muito difícil de conseguir a medicação.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Borusomabe , Positivo e facilidades: Parou de entortar os ossos da minha filha e ela parou de sentir dores nos ossos., Negativo e dificuldades: Conseguir o medicamento.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Solução fosfatada , Positivo: , Negativo: Minha filha apresentou diarreia e dor no estômago além de enjôo.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ferramentas como o SUS são fundamentais para a promoção de saúde e qualidade de vida para a sociedade. Faz-se necessário expandir cada vez mais (neste caso, com a adição do medicamento citado) o atendimento e a disponibilização de tratamentos e medicamentos para que continue atendendo e garantindo os direitos fundamentais da população.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes adultos sofrem muito com a progressão da doença, seria um alívio físico e mental se eles tivessem acesso por lei ao Burosomabe.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosomabe , Positivo e facilidades: A paciente tem Menas dores e mais energia para fazer os exercícios físicos e fisioterapia, não teve fraturas enquanto fez uso do Burosomabe., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Calcitriol., Positivo: O medicamento comum evita apenas que o cálcio fique muito abaixo do esperado para a doença, mas ainda assim é baixo., Negativo: O medicamento usual, não evita a fadiga, e nem as dores.	4ª - Não	5ª - Não
Empresa 21/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O diagnostico postergado (falta de conhecimento) sobre suas manifestações ainda é grande para os médicos., Sub-diagnostico é um problema em varias doenças raras no mundo inteiro. Trazer o conhecimento e expertise para profissionais da saúde e o publico em geral sobre as doenças ajudam famílias que não fazem Idea do seu diagnostico a maturar e tratar suas dificuldades e desafios no processo com a doença. Um olhar holístico farão a diferença sobre vidas que precisam ser encontradas e aj�, s. Um diagnostico não é um fim e sim UM RECOMECO!! Todo legado depende de uma multiplicação e isso é por pacientes e famílias!! É sobre ajudarmos pacientes raros, dando coragem e paixão para enfrentar a doença e falarmos para ele que não estão sozinhos. Uma medicação que pode mudar a vida desse paciente para uma qualidade de vida, inclui-lo na sociedade, tornar leve o peso de uma doença e trazer esperança, sem duvidas é exercer um legado sensacional.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação desse medicamento pelo SUS é uma questão de manter a qualidade de vida de pacientes que dele necessitam para ter uma vida o mais normal possível diante de todas as fragilidades que a doença rara XLH impõe no dia a dia. Ver minha amiga podendo realizar suas atividades de forma mais independente e segura é uma vitória que todos com esse problema de saúde devem experienciar. A incorporação desse medicamento é garantir dignidade a esses pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.
Paciente 21/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim, como paciente, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhorou minha vida 100%, Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como paciente, Qual: Calcitriol, Positivo: Ajudou bastante , Negativo: Parou de fazer efeito	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O ganho na qualidade de vida do paciente quando utiliza o Burosumabe é bastante considerável. Em períodos de ausência da medicação minha filha reclama muito de dores nos membros inferiores, causando dificuldade para realizar atividades simples como andar, subir escadas ou pular e correr	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe 10mg, Burosumabe 20mg, Burosumabe 30mg, Positivo e facilidades: Melhora considerável nas dores articulares , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A doença rara , por mutação genética, é o tratamento adequado com a medicação vai ocorrer melhora na qualidade de vida e sobrevida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As pessoas adultas portadoras de hipofosfatemia tem uma melhora significativa na sua saúde com este medicamento, com muito mais qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que existem diversas pessoas adultas com a condição rara XLH que mudou significativamente a sua experiência de vida desde que começou a tomar o Burosumab e, sim, é essencial que esse medicamento seja incorporado ao SUS para promover uma melhor qualidade de vida para mais pessoas com XLH. Temos um potencial latente de mudar a expectativa de vida de pessoas com XLH no Brasil.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Anticorpo monoclonal denominado como Burosumabe, Positivo e facilidades: Observo que o medicamento produz melhora em alguns aspectos da vida da pessoa com XLH, como disposição e energia, autoestima, confiança, resistência muscular e óssea, melhora da dor crônica física, melhora da rigidez articular, previne e atrasa o aparecimento de novas lesões e progressão da condição., Negativo e dificuldades: Observa-se que a interrupção contínua do tratamento por falta de acesso ou disponibilidade faz com que o medicamento apresente cada vez menos resultados significativos em relação a progressão da doença. Se parece mais difícil de reverter uma condição mais avançada da XLH.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é muito importante e o único realmente eficaz no tratamento do XLH, tanto de adultos como de crianças.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: O medicamento é eficaz tanto para crianças, como para adultos. Conheço adultos que estão usando o Burosumabe e melhoraram, as dores passaram e estão com uma melhor qualidade de vida e com menos complicações e outras comorbidades decorrentes da doença XLH., Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A população que é atingida por uma doença rara, é limitada a ter uma vida como os demais cidadãos, e partir do uso de medicações isso pode ser amenizado e fazer com que essa minoria, tenha mais qualidade de vida.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora significativa no caminhar e alívio das dores, Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento em questão traz uma qualidade de vida para os portadores de XLH, permitindo que eles possam executar atividades, trabalhar e não depender tanto de pessoas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Considero fundamental existir esta opção de tratamento para adultos, porém seguindo as orientações de indicação como: Recomenda-se o tratamento com burosumabe em adultos com mais de 18 anos, com diagnóstico confirmado da doença por achados clínicos característicos, associados a hipofosfatemia e redução da TmP/TFG, confirmado por avaliação molecular com mutação do gene PHEX e/ou concentração sérica de FGF23 aumentada ou inapropriadamente normal, obedecendo aos seguintes critérios: , , Refratariedade clínica ou complicações do tratamento convencional, realizado por pelo menos 1 ano, manifestada por um ou mais dos seguintes critérios: , a) Persistência de alterações radiográficas da osteomalácia tais como pseudofraturas, fraturas por fragilidade ou não consolidação de fraturas, b) Dor óssea atribuída à osteomalácia , c) Evidência de instalação de complicações associadas ao tratamento convencional: nefrocalcinose, nefrolitíase e/ou hiperparatireoidismo secundário persistente, d) Intolerância gastrointestinal ao tratamento convencional, - Sais de fósforo e calcitriol ou outras formulações de vitamina D ativa devem ser suspensos uma semana antes do início do tratamento com burosumabe e não podem ser usadas em concomitância com esta terapia., - A medicação é contraindicada em pacientes com TFG menor que 30 mL/min, - A medicação não foi est�, em mulheres grávidas ou amamentando, devendo ser evitada nessas situações , - A manutenção do tratamento com burosumabe deve ser reavaliada anualmente, devendo a droga ser descontinuada se houver progressão da doença a despeito do uso correto da medicação ou caso surjam contraindicações para seu uso,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: MINHA EXPERIENCIA É NO TRATAMENTO DE PESSOAS ADULTAS COM RAQUITISMO HIPOFOSFATÊMICO LIGADO AO X , OSTEOMALÁCEA ONCOGÊNICA UTILIZANDO OS TRATAMENTOS CONVENCIONAIS CALCIO E VITAMINA D ATIVA. , Positivo e facilidades: adultos com HLX observaram alta prevalência de complicações relacionadas à doença, mesmo entre pacientes em uso do tratamento convencional com sais de fósforo e/ou calcitriol (7,8). Em um desses estudos, que avaliou crianças e adultos, observou-se que a idade de início do tratamento convencional foi inversamente relacionada à presença de nefrocalcinose (r---0,298, p--0.007), indicando que o risco desta complicação aumenta com o uso de fósforo e/ou calcitriol. Dessa forma, considerando as graves limitações funcionais da HLX, assim como a normalização bioquímica e histológica da doença, a melhora da dor, da mobilidade, da fadiga e da qualidade de vida com o uso de burosumabe, além da resposta insuficiente ao tratamento convencional em alguns pacientes, este departamento está de acordo com a dispensação desse tratamento para adultos sintomáticos com HLX, desde que sejam estabelecidos critérios de inclusão., Negativo e dificuldades: Considero quer o único aspecto negativo é o custo, porém trata-se de uma doença rara, que não honraria o governo significativamente e melhoraria a vida de indivíduos sem outra opção.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Somente o tratamento de reposição de cálcio e calcitriol, considerado paliativo e não verdadeiramente um tratamento., Positivo: Os medicamentos melhoram somente parcialmente as consequências da perda de fósforo, não impedem suas complicações. Porém os estudos em crianças mostrou melhora significativa com prevenção de complicações., Negativo: É importante ressaltar que, até o momento, não há consenso quanto às indicações de tratamento da hipofosfatemia ligada ao X em indivíduos adultos em virtude da ausência de dados de eficácia a longo prazo, assim como das dificuldades inerentes ao tratamento convencional tais como as suas complicações endócrinas (hiperparatireoidismo secundário e terciário) e complicações renais (nefrolitíase e nefrocalcinose). Desse modo, o tratamento da HLX em adultos costuma ser indicado para pacientes sintomáticos e com evidências clínicas de doença em atividade.	4ª - Não	5ª - Nao
Organização da Sociedade Civil 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para que todos tenham acesso gratuito a medicação	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 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "Aqui está o texto revisado, condensado para caber dentro do limite de 2000 caracteres: , , ""A decisão da CONITEC de não recomendar o burosumabe para adultos com XLH (X-linked Hypophosphatemia) parece desconsiderar evidências clínicas e direitos fundamentais garantidos pela Lei Brasileira de Inclusão da Pessoa com Deficiência (Lei nº 13.146/2015)., , A XLH causa deformidades ósseas, dor crônica e mobilidade reduzida, enquadrando muitos pacientes como pessoas com deficiência. A negativa do burosumabe contraria os dispositivos da lei que garantem o direito à saúde e à inclusão., , A CONITEC deve reavaliar sua decisão com base nas evidências clínicas e nos direitos legais dos pacientes com XLH. Negar o acesso ao burosumabe é negar a esses indivíduos a oportunidade de uma vida com maior funcionalidade e menos dor., , A incorporação desse medicamento é uma questão de saúde pública, justiça social e respeito aos direitos das pessoas com deficiência.""	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora sintomatica e possibilidade de melhora de qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Custo	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Vitamina D, Positivo: Ineficaz, Negativo: Sem resultados significativos na melhora	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado pelo SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Rocaltrol , Fosfato oral , Positivo: Houve aumento do nível sérico de fósforo , Negativo: não houve	4ª - Medicamento traz uma excelente perspectiva para melhorar a qualidade de vida diária , redução de dores nos pacientes	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Solicito a liberação da medicação. Sou médica e portadora da doença. Convivo com dores desde a infância, abscessos dentários, tratamento de canal em múltiplos dentes, lesão em ossos dos pés, joelhos, quadris, coluna torácica e lombar , mais e braços. Além disso, tenho desgastes articulares com 34 anos idade observados em pessoas acima de 50 ou 60 anos. Naoa corso um dia sequer sem dor. Com o tempo as dores só pioram, aumentam as lesões nas articulações e tendões. Liberar a medicação seria imprescindível para permitir uma qualidade de vida para os pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: fósforo, calcitriol , vitamina D , Positivo: Com tratamento com fósforo e calcitriol não obtive bons resultados. descobri a doença na infância, realizo o tratamento com fósforo até hoje e apresento dores terríveis nas pernas, nos joelhos, na coluna e braços. Convivo com dores de forte intensidade diariamente, com dores ao colocar o pé no chão ao acordar em joelhos, quadris, pés. Dores em regiões tendinhas, Problemas dentários de abscessos e canais em múltiplos dentes. , Negativo: Efeitos colaterais gastrointestinais, dores articulares, lesão tendinea em pés, tornozelos, braços e maos. Tratamento de carnal dentário em vários dentes. Tenho dores terríveis todos os dias. Dificilmente tenha um dia que acordo sem dor, apresentando dificuldades nas atividades diárias do dia a dia como caminhar ao acordar, dirigir, ficar em pé em filas, caminhar sem perspectivas d melhora apenas de piora a cada ano. Peço encarecidamente que , por favor, liberem a medicação pelo sus, E insuportável viver um dia sequer sem sentir dores terríveis para realizar qualquer no dia a dia.	4ª - não	5ª - não
Interessado no tema 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, -	2ª - Não	3ª - Não	4ª - -	5ª - -
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Há diversos relatos de adultos que utilizam o Burosumabe e tem expressiva melhora em sua qualidade de vida, sentindo-se mais ativos e produtivos em função da redução de dores. Em diversos países o tratamento já é fornecido aos adultos com resultados muito positivos., Possivelmente o uso em adultos também aumenta a expectativa de vida dos pacientes, uma vez que poderão viver com mais qualidade de vida e menos sequelas.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: O tratamento com Burosumabe é muito eficaz uma vez que atinge os níveis adequados de fósforo no organismo, regulando também os níveis de fosfatase alcalina e vitamina D ativa. É de fácil adesão, já que são necessárias apenas duas ou uma injeção mensal. Não tem efeitos colaterais graves. Permite que o paciente melhore sua qualidade de vida, com menos dores, mais mobilidade e força física., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fósforo e calcitriol oral., Positivo: Nenhum resultado positivo em função dos diversos efeitos colaterais., Negativo: É de difícil adesão pois é necessário tomar a medicação de 4 a 6 vezes ao dia. Causa grande desconforto gástrico, diarreia, náuseas, redução no apetite. No nosso caso percebemos maior agitação e, por consequencia, insônia. Prejudicou bastante a qualidade de vida e não foram percebidos aspectos positivos., As cápsulas ou solução de fósforo precisam ser manipuladas em farmácia especializada, não estão disponíveis pelo SUS, custando em torno de R\$ 400,00, dependendo do peso do paciente. O calcitriol é fornecido pelo SUS.	4ª - Não	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O acesso a medicação é um direito que deve ser respeitado e concedido para todos os pacientes que de maneira devidamente comprovada possui um diagnóstico preciso e precisa ter acesso a um tratamento específico e de maneira adequada.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Recentemente uma pesquisadora brasileira fez um estudo que comprava a eficácia e eficiência em pacientes adultos.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamentos de alto custo para pacientes que necessitam. Quem procura por esses medicamentos é porque realmente tem a necessidade	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (HLX) é uma doença hereditária rara que resulta em baixos níveis de fósforo no sangue, levando a sintomas como raquitismo em crianças e osteomalácia em adultos. Tradicionalmente, o tratamento envolve a administração oral de fosfato e vitamina D. No entanto, essa abordagem pode ser insuficiente para alguns pacientes e está associada a efeitos colaterais significativos. O burosumabe, um anticorpo monoclonal que inibe a atividade do fator de crescimento de fibroblastos 23 (FGF23), surgiu como uma alternativa terapêutica, aumentando a reabsorção renal de fosfato e melhorando a absorção intestinal de cálcio e fósforo. Em 2021, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec) avaliou o uso do burosumabe para o tratamento da HLX em adultos e crianças. Naquela ocasião, recomendou-se a incorporação do medicamento apenas para pacientes pediátricos, devido à maior robustez das evidências de eficácia e segurança nessa população. Para adultos, a recomendação foi desfavorável, principalmente pela limitada evidência disponível e pelo alto custo do tratamento. Porém, essa reavaliação deve considerar às novas evidências científicas robustas e experiências internacionais acumuladas desde a última análise.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - 1. Eficácia do Burosumabe em Adultos com HLX:, , Estudos recentes indicam que o burosumabe é eficaz em adultos, promovendo a normalização dos níveis séricos de fósforo, melhorando a mineralização óssea e reduzindo a dor musculoesquelética. Esses benefícios contribuem para uma melhor qualidade de vida dos pacientes adultos com HLX. , SERVIÇOS E INFORMAÇÕES DO BRASIL, , 2. Segurança do Burosumabe em Adultos:, , As evidências disponíveis sugerem que o burosumabe é geralmente bem tolerado em adultos, com eventos adversos leves a moderados, como reações no local da injeção e dores de cabeça. Não foram observados eventos adversos graves diretamente relacionados ao medicamento nos estudos analisados., , 3. Atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT):, , Dado o acúmulo de novas evidências desde a última avaliação, é recomendada a atualização do PCDT para incluir o burosumabe como opção terapêutica para adultos com HLX que não respondem adequadamente ao tratamento convencional ou que apresentam efeitos colaterais significativos. Essa inclusão deve ser acompanhada de critérios claros de elegibilidade e monitoramento.	5ª - Custo-efetividade do Burosumabe:, , Embora o burosumabe represente um custo significativo, análises de custo-efetividade indicam que os benefícios clínicos e a melhoria na qualidade de vida podem justificar o investimento, especialmente considerando os custos associados às complicações e tratamentos convencionais menos eficazes.
Profissional de saúde 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Maior acesso e maior facilidade ao tratamento	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Medicamento trouxe mais qualidade de vida e perspectivas para os portadores de XLH, Negativo e dificuldades: Acesso ao medicamento e gestão de conservação	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 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O burosumabe é a única terapia medicamentosa que atualmente trata a condição XLH e que realmente traz resultados positivos aos pacientes. Qualidade de vida, redução de processos cirúrgicos, redução de danos aos rins, a dentição, dores crônicas, fadiga e indisposição.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Regulação dos níveis de fosfato no sangue, da fosfatase alcalina, normalização da perca de fósforo pela urina, redução de dores e deformidades, redução da fadiga e indisposição., Negativo e dificuldades: A interrupção do tratamento devido a falta de fornecimento pela União.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Solução fosfatada, calcitriol e vitamina D., Positivo: O terapia convencional é uma alternativa somente até a confirmação do diagnóstico e/ou até que o processo de recebimento pela farmácia de alto custo esteja concluído, pois ele não trata a doença, apenas máscara/ameniza os agravos da condição., Negativo: Nefrocalcinose, fadiga, indisposição, diarreia, gases. O tratamento é ineficiente visto que o organismo do paciente não absorve essas medicações, então os sintomas, deformidades continuam em progressão. Baixa adesão ao tratamento devido as reações adversas.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O proprio Sus se livraria de cuidar dos efeitos colaterais do medicamento e das inúmerações correções que minha filha ja fez.. e ainda tera que fazer . Em torno de 10 nas pernas e tera de fazer correção de quadril,	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: BUROSUMABE, Positivo e facilidades: Total facilidade. Uma unica injeção por mes garante níveis normais de Fosforo como nunca dantes vistos em 29 anos. Sem efeitos colaterais das super doses de Fosfato e Calcititrios em dezenas de comprimidos diarios do tratamento anterior, Negativo e dificuldades: Somente disponibilidade. Eventualmente não se tem aí volta pro tradicional	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fosfato , Calcitriol , Positivo: Como ja citado , uma unica aplicação mensal substituindo quase vinte comprimidos diarios dependendo da fase , sem os efeitos colaterais como calcificação de orgaos como rins coração etc.. que vinhamos acompanhando por toda vida, Negativo: Nenhuma	4ª - Não tenho como agora	5ª - Não seria indicado pra isso
Interessado no tema 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Apoio à Ampliação da Medicação para Adultos, É essencial garantir o direito à saúde para todos, independentemente da idade. A ampliação da oferta de uma medicação de alto custo, já disponível para pacientes menores de 18 anos, pode trazer benefícios significativos para adultos que convivem com a mesma condição rara. Além de assegurar equidade no acesso ao tratamento, essa medida proporcionará um ganho inestimável na qualidade de vida desses pacientes, permitindo que vivam com mais dignidade e bem-estar.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora clínica, radiológica e laboratorial. O uso do Burosumabe normalizou o fósforo sérico da paciente em tratamento. , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: """"Tratamento convencional"""" com fósforo manipulado e calcitriol.", Positivo: Nenhuma, Negativo: Não trouxe uma melhora clínica e laboratorial satisfatória.	4ª - """"Não enviar documentos pessoais""""	5ª - """"Não enviar documentos pessoais""""

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As doenças raras existem e são cada dia mais evidentes as dificuldades aos pacientes que as tem, bem como a falta de tratamento adequado. O tratamento deve ser disponibilizado sem limitação de idade, sendo adultos e/ou crianças. Existindo a possibilidade de tratamento ou cura, o governo deve prover a solução aos pacientes com doenças raras, no caso o Burosumabe para o tratamento de hipofosfatemia, proporcionando suporte a todo cidadão brasileiro com a doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Apoio à ampliação dessa medicação para uso também em adultos, direito a saúde deve ser para todos, não somente para menores de 18 anos, com esse procedimento, melhorando a qualidade de vida de todos os pacientes afetados por essa doença rara, permitindo uma dignidade não somente ao paciente como toda sua família.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 22/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medicação pode melhorar a sintomatologia e qualidade de vida do paciente.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Pouco tempo para o acompanhamento/avaliação do paciente., Negativo e dificuldades: Pouco tempo para o acompanhamento/avaliação do paciente.	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, acredito que incorporar este medicamento ao sus poderá desburocratizar o processo para adquirir o medicamento facilitando o acesso as pessoas que precisam e/ou venham a precisar.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: burosumab, Positivo e facilidades: melhora no estatura e desenvolvimento físico , Negativo e dificuldades: nenhum resultado negativo até o momento	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 23/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Na minha opinião, o burosumabe representa um avanço significativo no tratamento de pessoas com deficiência de fosfato. Este medicamento se estabeleceu como a escolha correta para corrigir o problema subjacente, ao invés de apenas tratar os sintomas, como era feito anteriormente com a reposição de fosfato., , O tratamento com burosumabe não só demonstrou corrigir efetivamente a perda excessiva de fosfato, mas também melhorou consideravelmente a qualidade de vida dos pacientes. Desde que iniciei o uso deste medicamento, experimentei uma redução notável na fadiga e uma maior facilidade em realizar atividades cotidianas, o que tem um impacto positivo direto na minha saúde física e mental., , Além disso, a simplicidade e conveniência do regime de tratamento com burosumabe, comparado às alternativas anteriores, tornam-no uma opção muito mais prática e viável para pacientes. A ausência de efeitos colaterais significativos e a eficácia comprovada do medicamento reforçam a necessidade de sua inclusão no SUS, para que mais pessoas possam se beneficiar de seus efeitos transformadores., , Acredito firmemente que a incorporação do burosumabe no SUS proporcionará um tratamento mais eficiente e acessível, garantindo melhores resultados para todos que sofrem dessa condição.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Desde que comecei a utilizar o burosumabe, notei uma melhoria substancial na minha qualidade de vida. Antes do tratamento, atividades cotidianas como caminhar, fazer exercícios físicos ou mesmo levantar da cadeira ou da cama exigiam um esforço considerável, algo que só percebi após o início do uso do medicamento., , O burosumabe reduziu significativamente o meu cansaço e a sensação de esforço nas atividades diárias. Agora, consigo realizar essas tarefas com maior facilidade e disposição, o que me permite ter uma rotina mais ativa e saudável. Essa mudança positiva não apenas melhorou meu bem-estar físico, mas também impactou minha saúde mental, pois me sinto mais independente e confiante para participar de atividades que antes eram um desafio., , Além disso, a diminuição do esforço necessário para realizar essas atividades contribuiu para uma melhor gestão do meu tempo e energia, possibilitando que eu me envolva mais em atividades sociais e familiares, algo que considero essencial para uma boa qualidade de vida., Negativo e dificuldades: A minha experiência com o burosumabe tem sido extremamente positiva, sem resultados negativos significativos a relatar. O medicamento melhorou minha disposição e facilitou minhas atividades diárias de forma notável., , É importante mencionar que, como em qualquer tratamento, eu estava atento a possíveis efeitos colaterais, mas não experimentei nenhum problema que pudesse comprometer meu bem-estar ou a eficácia do medicamento. Essa ausência de efeitos adversos reforça minha confiança na segurança do burosumabe como uma opção de tratamento eficaz e bem tolerada., , Considerando esses aspectos, acredito que a incorporação do burosumabe no SUS poderia beneficiar muitos outros pacientes que enfrentam desafios semelhantes, garantindo-lhes uma melhora na qualidade de vida sem preocupações significativas com efeitos negativos.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Antes do surgimento do burosumabe, meu tratamento consistia principalmente na reposição de fosfato. Este método tinha como objetivo compensar a perda de fosfato, mas não abordava a raiz do problema, que é a perda excessiva deste mineral pelo organismo. Embora a reposição de fosfato ajudasse a mitigar alguns sintomas, ela exigia um regime de administração rigoroso e frequente, o que tornava o tratamento menos conveniente e, por vezes, menos eficaz., , A introdução do burosumabe trouxe uma abordagem inovadora e mais eficaz ao tratar diretamente a causa subjacente da condição, evitando a perda de fosfato. Isso resultou em melhorias significativas na minha saúde e qualidade de vida, pois o tratamento se tornou muito mais gerenciável e com resultados mais consistentes., , Essa mudança não só simplificou o meu regime de tratamento, como também reduziu a carga de preocupações diárias com a manutenção dos níveis de fosfato, permitindo-me focar em outras áreas da minha vida., Positivo: Embora a reposição de fosfato não abordasse diretamente a causa subjacente da doença, ela proporcionou alguns benefícios importantes enquanto era o tratamento disponível., , Primeiramente, ajudou a aliviar alguns sintomas relacionados à deficiência de fosfato, como fraqueza muscular e fadiga, possibilitando uma melhora na minha capacidade de realizar atividades diárias. Além disso, a reposição de fosfato desempenhou um papel crucial na manutenção dos níveis de fosfato no organismo, o que é essencial para a saúde óssea e muscular., , Mesmo com suas limitações, era uma opção valiosa antes da introdução do burosumabe, pois oferecia uma maneira de minimizar os impactos negativos da doença enquanto se aguardava um tratamento mais eficaz e direcionado., Negativo: A experiência com a reposição de fosfato apresentou algumas dificuldades e limitações. Um dos principais desafios foi a necessidade de um regime de administração rigoroso e frequente, que exigia tomar o fosfato várias vezes ao dia. Isso tornava o tratamento inconveniente e, por vezes, complicado de seguir, especialmente em uma rotina diária agitada., , Além disso, a reposição de fosfato não tratava a causa subjacente da doença, apenas os sintomas, o que significava que os	4ª - O burosumabe tem sido objeto de diversos estudos clínicos que comprovam sua eficácia e segurança no tratamento da hipofosfatemia ligada ao X. As evidências clínicas demonstram que o medicamento atua diretamente na correção da hipofosfatemia, aumentando os níveis séricos de fosfato e melhorando a mineralização óssea., , Estudos de longo prazo indicam que o burosumabe não só melhora os parâmetros laboratoriais, mas também alivia sintomas clínicos, como dor óssea, fraqueza muscular e fadiga, contribuindo para uma melhor qualidade de vida dos pacientes. Além disso, a segurança do medicamento foi bem documentada, com a maioria dos pacientes tolerando bem o tratamento, sem efeitos colaterais graves ou inesperados., , Essas evidências clínicas corroboram a eficácia do burosumabe como uma opção de tratamento superior às terapias tradicionais de reposição de fosfato, justificando sua incorporação em sistemas de saúde como o SUS para oferecer aos pacientes um tratamento mais eficaz e direcionado.	5ª - Do ponto de vista econômico, a incorporação do burosumabe no SUS pode trazer benefícios significativos a longo prazo. Embora o custo inicial do medicamento possa ser uma preocupação, é importante considerar os potenciais impactos econômicos positivos associados à melhora da saúde dos pacientes., , Ao proporcionar um tratamento mais eficaz e direcionado, o burosumabe pode reduzir a necessidade de tratamentos adicionais e intervenções médicas frequentes, como consultas médicas de emergência e hospitalizações devido a complicações associadas à deficiência de fosfato. Isso pode resultar em uma diminuição dos custos gerais de saúde para o sistema público., , Além disso, a melhoria na qualidade de vida e na capacidade funcional dos pacientes pode aumentar sua produtividade e participação na força de trabalho, resultando em benefícios econômicos indiretos para a sociedade como um todo., , Portanto, os estudos econômicos que avaliam o custo-benefício do burosumabe tendem a apoiar sua incorporação, considerando os potenciais ganhos em termos de saúde pública e 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:
			benefícios eram limitados e frequentemente insuficientes para proporcionar uma melhora significativa na qualidade de vida. Houve também momentos em que a eficácia do tratamento parecia diminuir, exigindo ajustes constantes nas dosagens., , Outro aspecto negativo eram os possíveis efeitos colaterais gastrointestinais associados à ingestão de fosfato em grandes quantidades, que podiam causar desconforto e limitar ainda mais a adesão ao tratamento., , Esses fatores destacam a necessidade de tratamentos mais eficazes e convenientes, como o burosumabe, que oferecem melhor controle da doença e maior facilidade de uso.		
Profissional de saúde 23/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho que o medicamento é o mais adequado atualmente ao tratamento da doença, sendo o mais próximo da fisiologia normal, atingindo o mais próximo da correção metabólica e da restauração do funcionamento ósseo normal para a população acometida com menores efeitos colaterais e posologia mais fácil.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Melhora da qualidade de vida e da dor dos pacientes além do controle metabólico melhor , Negativo e dificuldades: Não percebi resultados negativos	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Solução de joulie e calcitriol , Positivo: Controle parcial da doença e do distúrbio metabólico , Negativo: O controle metabólico não eh completo com a medicação tradicional, a tolerabilidade do medicamento é muito ruim, os pacientes tem muita dificuldade de tomar toda a quantidade do remédio por dia, em várias tomadas, com efeitos gastrointestinais importantes. Além disso, muitos pacientes continuam tendo dores ósseas, redução da qualidade de vida e do bem estar	4ª - A literatura eh vasta sobre o assunto apesar dos estudos não terem muito tempo, os resultados são muito promissores	5ª - Não
Profissional de saúde 23/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Trata-se de doença genética que se apresenta como raquitismo enquanto as placas de crescimento estão fechadas, mas que mantém osteomalácia durante toda a vida, contribuindo para comprometimento ósseo com dores, pseudofraturas, fraqueza muscular e comprometimento dentário. A medicação consegue rapidamente controlar o fósforo e melhorar a dor dos pacientes em poucos meses.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: burosumabe, Positivo e facilidades: melhora significativa na dor, na força muscular e na mobilidade dos pacientes, contribuindo para melhora da qualidade de vida, Negativo e dificuldades: nenhuma	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: suplementação de fósforo por via oral, Positivo: nenhum, Negativo: baixa adesão, baixa eficácia, não verifiquei melhora em dor além do risco de nefrocalcinose e hipertensão no longo prazo	4ª - Melhora da função física em adultos. Orlando G, Roy M, B?r J, Clarke S, Keen R, Javaid MK, Ireland A. Longitudinal assessment of physical function in adults with X-linked hypophosphatemia following initiation of burosumab therapy. Osteoporos Int. 2024 Nov, 35(11):2055-2060. doi: 10.1007/s00198-024-07095-4. Epub 2024 Jul 19. PMID: 39028421.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, esse remédio salva vidas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 23/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe para crianças , Positivo e facilidades: O paciente apresentou melhora clínica e laboratorial do raquitismo. Está em uso de Burosumabe atualmente de 15/15 dias. , Negativo e dificuldades: Algumas vezes falta na secretaria de saude	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Empresa 23/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O burosumabe é um medicamento inovador utilizado no tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (XLH), uma doença rara que afeta o metabolismo do fósforo, resultando em ossos fracos e deformidades ósseas. Para pacientes adultos, o burosumabe oferece vários benefícios significativos que melhoram a qualidade de vida. Primeiramente, o burosumabe atua diretamente na causa da XLH, inibindo a ação do FGF23, uma proteína que reduz a reabsorção de fosfato nos rins e a produção de vitamina D. Com isso, o medicamento ajuda a normalizar os níveis de fosfato no sangue e a melhorar a mineralização óssea. Os pacientes adultos tratados com burosumabe relatam uma redução significativa na dor óssea e nas articulações, o que é um alívio importante, pois a dor crônica é uma das principais queixas associadas à XLH. Além disso, o medicamento contribui para a melhora da mobilidade e da função física, permitindo que os pacientes realizem atividades diárias com mais facilidade e menos desconforto. Outro benefício importante é a redução das fraturas e das deformidades ósseas. O tratamento contínuo com burosumabe ajuda a fortalecer os ossos, diminuindo a incidência de fraturas e a necessidade de intervenções cirúrgicas. Isso é particularmente relevante para adultos, que podem ter acumulado danos ósseos ao longo dos anos devido à doença. Além dos benefícios físicos, o burosumabe também tem um impacto positivo na saúde mental dos pacientes. A redução da dor e a melhora da mobilidade contribuem para uma maior independência e uma melhor qualidade de vida, o que pode reduzir os níveis de ansiedade e depressão frequentemente associados a condições crônicas. Em resumo, o burosumabe melhora a vida dos pacientes adultos com XLH ao tratar a causa subjacente da doença, reduzir a dor e as deformidades ósseas, melhorar a mobilidade e a função física, e contribuir para uma melhor saúde mental e qualidade de vida geral.	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 23/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como já citado acima, alto benefício e menos efeitos colaterais que o tratamento padrão, em doença com alta morbidade.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Os estudos vêm mostrando grandes benefícios do burosumabe em pacientes com xlh, sobretudo em comparação com o tratamento clássico (fósforo e vitamina D), o qual tem pouco efeito e muitos colaterais. Já o burosumabe tem mostrado efeitos muito positivos, tanto em crianças (que já tem o medicamento liberado pelo sus) como em adultos., Negativo e dificuldades: .	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Fósforo, vitamina D, Positivo: Poucos, Negativo: Efeitos colaterais como sobrecarga renal e hipertensão, pouco efeito benéfico.	4ª - https://doi.org/10.1002/mgg3.2387	5ª - .
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 23/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento tem grande potencial de beneficiar os pacientes com hipofosfatemia ligada ao X	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Necessário, porque o valor é alto, o acesso é impossível., Minha filha necessita muito dessa medicação, assim como muitos outros portadores dessa doença	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fosfato, Positivo: Nenhum, Negativo: Somente tomava o medicamento, que provoca muita diarreia na paciente	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que por ser uma doença rara os ptes têm dificuldade de acessar o medicamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 24/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu sou mãe de paciente que usa o burosumabe e estou vivenciando o progresso no tratamento e eu tbm sou paciente xlh e sei que pra mim irá mudar muito minha vida ao usar a medicação	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Com o uso da medicação, é bem visível os resultados na questão da correção das pernas, as dores ósseas e articulares diminuem muito, a qualidade de vida de quem usa o burosumabe e muito significativa., Negativo e dificuldades: Não há resultados negativos	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 24/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Sigmatriol e xarope de fosfato , Positivo: Um certa melhora nos exames, porém distante do ideal , Negativo: Dores no estômago, enjôo e dores nas pernas	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 24/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Brasil cobra percentuais de impostos abusivos assim os pacientes devem ter acesso ao tratamento pelo SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 24/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medicação de uso de meu filho melhorou bastante nos resultados dos exames dele	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumab , Positivo e facilidades: Melhorou os resultados dos exames , Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Não , Positivo: Nenhum , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 25/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pelos estudos e inúmeros relatos de pessoas contando sobre os benefícios, e grande em relação a dor, fadiga, rigidez, etc., fazendo o uso do BUROSUMABE. Eu gostaria muito de também ter essa melhora na minha condição e qualidade de vida integral, por isso, peço a incorporação do BUROSUMABE ao SUS para que eu possa ter acesso, sofrendo menos com os sintomas do XLH	2ª - Sim, como paciente, Qual: Cirurgias nas tíbias, Positivo e facilidades: Uma ligeira melhora na deformidade óssea, Negativo e dificuldades: melhora na locomoção	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acesso universal a saúde é direito constitucional. Direito a participação social com qualidade de vida idem. , O medicamento em questão pode, Melhorar a funcionalidade, reduzir agravos e deficiências secundárias e portanto assegurar a qualidade de vida e o direito pelo a participação social	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vide acima	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumab, Positivo e facilidades: Maior aderência e resultado clínico , Negativo e dificuldades: Obtenção do medicamento	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Vitamina D e Fórmula de Fósforo , Positivo: Melhora parcial da enfermidade , Negativo: Aderência e efeitos colaterais	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 25/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O paciente nesta condição necessita deste medicamento para melhorar sua qualidade de vida, e até mesmo ter sua rotina de vida normal, assim como estudar, trabalhar, ter convívio social. Além disso, o medicamento sendo incorporado onera menos o Estado, além de facilitar o acesso com menos burocracia.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - não se aplica	5ª - não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Jovens e adultos de baixa renda devem ter acesso ao medicamento, já que não é possível de outra forma	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora no desenvolvimento de meu filho, Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Reposição de ferro e fosfato, Positivo: , Negativo: Eram grandes doses de remédios em capsulas e xaropes, o que em um momento do tratamento começou prejudicar o estomago	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que qualquer tratamento que aumente 1% na qualidade de vida das pessoas deve ser implementado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/01/2025	1ª - Não tenho opinião formada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 25/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O acesso a tratamentos eficazes como o burosumabe é um imperativo moral e ético, pois cada vida humana tem um valor intrínseco e merece a oportunidade de viver com a melhor qualidade possível. A XLH é uma condição crônica e debilitante, e o tratamento inadequado impacta negativamente a produtividade, a participação social e o bem-estar geral dos indivíduos afetados. A incorporação do burosumabe no SUS não é apenas um investimento em saúde, mas também um investimento no potencial humano e na equidade social. Os benefícios do burosumabe, como a melhoria da saúde óssea, redução da dor, e o aumento da capacidade de participação social, justificam o investimento em sua incorporação no SUS. Uma revisão sistemática de 2024 mostra que apesar de algumas limitações metodológicas e de heterogeneidade entre os estudos, a grande maioria dos dados aponta para a eficácia superior do burosumabe em comparação com a terapia convencional no tratamento da XLH, tanto em crianças como em adultos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Uma revisão sistemática de 2024 mostra que apesar de algumas limitações metodológicas e de heterogeneidade entre os estudos, a grande maioria dos dados aponta para a eficácia superior do burosumabe em comparação com a terapia convencional no tratamento da XLH, tanto em crianças como em adultos. (https://www.scielo.br/j/aem/a/XzNXX4KkMxRkgY9WpCBcRMM/)	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 25/01/2025	1ª - Não tenho opinião formada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O SUS precisa fornecer o medicamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 26/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por ser um medicamento caro, considerando as condições financeiras inferiores de muitos usuários.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 26/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como paciente posso afirmar que a incorporação desse medicamento é extremamente benéfico a saúde de casos como o meu, onde ainda não existe no SUS um tratamento tão eficaz quanto esse. Além disso, após o uso dessa medicação a minha qualidade de vida melhorou significativamente em relação a mobilidade e melhora praticamente completa das dores ósseas.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Burosumabe injetável, Positivo e facilidades: Sou um paciente portador de Osteomalácia oncogênica induzida por tumor neuroendócrino que provoca hipofosfatemia e realizei a aplicação da medicação por alguns meses, resultando em aumento dos meus níveis séricos de Fósforo, além de melhora clínica das minhas dores ósseas, que são consequências das pseudofraturas em ambos os fêmures devido a redução do fósforo na corrente sanguínea. , Negativo e dificuldades: Nenhum, houverem apenas benefícios.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Realizei reposição oral do fósforo por 2 anos, além de cálcio e vitamina D. , Positivo: Nenhum resultado positivo com a reposição do fósforo, do cálcio e da vitamina D. , Negativo: As medicações não surtiram efeito e havia desconforto gastrointestinal, associada a diarreia, devido a grande quantidade de medicação que deveria ser tomada para chegar na posologia ideal de para tentar repor os níveis de fósforo.	4ª - Meus resultados laboratoriais das dosagens de Fósforo sérico:, 11/08/2023 - estava há 6 meses sem utilizar o Burosumabe: Resultado -- 1,3 mg/dL (Valor de referência: 2,5 - 4,5), 19/10/2023 - 2 meses após voltar a utilizar o Burosumabe: Resultado -- 3,9 mg/dL (Valor de referência: 2,5 - 4,5) , , Estou a disposição para enviar os documentos oficiais que comprovam essa melhora.	5ª - .
Organização da Sociedade Civil 27/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Comprovadamente, o burosumabe é uma ótima indicação para os pacientes com esta grave moléstia, que apresenta conseqüências tão graves. Sabemos que é um anticorpo monoclonal aprovado por agências reguladoras de vários países. O burosumabe bloqueia o FGF23, melhorando a reabsorção renal de fosfato e aumentando os níveis séricos de vitamina D, estabilizando a doença e crianças e em adultos. o burosumabe tem demonstrado avanços significativos, comparados à terapia convencional	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.

I

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 28/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Casos graves de XLH (pseudofraturas, fraturas, entesopatias etc) não tem se beneficiado do tratamento convencional. O tratamento com Burosumabe, por agir na fisiopatologia da doença reduzindo os níveis elevados de FGF23, é superior ao tratamento convencional e deveria ser oferecido aos pacientes com XLH, mesmo em casos mais leve para evitar complicações futuras que fazem parte da história natural da doença.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, fosfato e calcitriol, Positivo e facilidades: Burosumabe é superior ao tratamento convencional (fosfato e calcitriol) em adultos particularmente nos casos de pseudofraturas, recuperação pós cirurgia ortopédica e em pacientes com entesopatias evidentes. Facilidade de uso visto que em adultos trata-se de dose mensal subcutânea., Negativo e dificuldades: Falha de fornecimento do burosumabe, em casos judicializados, dificultou o tratamento dos pacientes.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Fosfato e calcitriol (tratamento convencional), Positivo: Fosfato e calcitriol (tratamento convencional) para pacientes adultos com XLH são benéficos, mas inferiores ao do burosumabe considerando que o burosumabe age na fisiopatologia da doença resultando em menos efeitos adversos. Casos mais leves de XLH se beneficiam do tratamento convencional, mas casos graves, apresentam muitas complicações., Negativo: O uso de fosfato requer múltiplas doses diárias e a medicação é manipulada (não existe produto comercial), além de efeitos colaterais gastro-intestinais, nefrocalcinose e hiperparatireoidismo secundário e até mesmo terciário. Embora o calcitriol minimize riscos de hiperparatireoidismo secundário, pode contribuir para a nefrocalcinose e até mesmo nefrolitase.	4ª - "O artigo ""Evidence-based guidelines Check for updates Clinical practice recommendations for the diagnosis and management of X-linked hypophosphataemia"" (https://doi.org/10.1038/s41581-024-00926-x) publicado na Nature Reviews Nephrology (fator de impacto entre 20 e 40 nos últimos 5 anos) corrobora a superioridade e recomendação do uso de Burosumabe."	5ª - Não
Profissional de saúde 28/01/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, Em anexo.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Em anexo., Positivo e facilidades: Em anexo., Negativo e dificuldades: Em anexo.	3ª - Não	4ª - Em anexo.	5ª - Em anexo.
Profissional de saúde 28/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Temos que ter mais tecnologias para os tratamentos das doenças raras no Brasil, essa é corporação ajudará muitas famílias.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhora MUITO a adesão do paciente e controle dos eletrólitos, principalmente fósforo e com isso gera bom metabolismo ósseo e qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Solução fosfatada, Positivo: Manutenção da vida do paciente , Negativo: Má adesão devido ao número de tomadas ao dia, além do paladar da solução e difícil controle do metabolismo ósseo com a mesma... inclusive nos casos em que o paciente ingere corretamente a medicação!	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 28/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pacientes apresentarão melhora das condições clínicas de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 28/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do Burosumabe ao SUS para os pacientes maiores de idade é fundamental para que eles tenham uma melhor qualidade de vida, para que possam trabalhar, estudar, ter lazer e serem cidadãos que contribuem e vivem de maneira segura. Com o tratamento, eles terão muito menos complicações clínicas, internações, intervenções cirúrgicas, o que deixa os pacientes mais debilitados e em várias situações, até causar o óbito. Os pacientes com XLH, precisam deste tratamento!!	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe / Crysvita, Positivo e facilidades: Os pacientes e familiares relatam a melhora com a parte cardíaca, na pressão arterial, após uso da medicação volta a ser normal, também ressaltam a melhora na parte óssea, consequentemente na funcionalidade física. Importante ressaltar que todos reiteram que sua qualidade de vida melhorou, assim como o convívio social., , Negativo e dificuldades: Para todos os pacientes que aguardam a incorporação de uma medicação para o seu tratamento, a maior dificuldade é a burocracia para conseguir ter acesso ao medicamento, as interrupções no tratamento devido aos atrasos nas entregas da medicação pelos órgãos públicos responsáveis, como Estados / Secretarias Estaduais de Saúde e a União / Ministério da Saúde.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A saúde é direito de todos, o acesso a um tratamento como esse demonstra a boa aplicação do imposto que pago	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Dificuldade no acesso	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medição vai melhorar muito a qualidade de vida do doente	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com sua incorporação beneficiaremos os pacientes. No momento, não há outro medicamento que melhore a sintomatologia.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Uso de Burosomab em pacientes adultos , Positivo e facilidades: Paciente apresentou melhora significativa no quadro de dor em articulações e entesopatias que apresentava, com remissão total dos sintomas , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Tratamento convencional, sem eficácia , Positivo: Nenhum , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento que vai ajudar muitas pessoas e tem valor elevado, portanto ao ser incorporado ao sus irá ajudar a todos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora de deformidades ósseas, Melhora da dor, Melhora do crescimento , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como eu conheço uma pessoa adulta que utiliza o medicamento e teve melhoras significativas, acho de grande importância que o medicamento seja incorporado ao SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Aumento da qualidade de vida., Negativo e dificuldades: O acesso ao medicamento gratuito pelo SUS.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento,que ajuda muito na saúde de quem precisa de ser usado e ele vindo para o SUS ,vai facilitar a vida de muitas pessoas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tenho uma colega que utiliza o medicamento e a qualidade de vida dela melhorou muito depois do uso dele	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Burosumave é a única medicação que realmente traga o Raquitismo Hipofosfatêmico (XLH) estabilizando a doença.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora nos exames laboratoriais, normalizando as taxas de Fósforo, PTH, Vitamina D diminuição das dores musculares, ósseas e nas articulações., Negativo e dificuldades: Não teve resultado negativo, pelo contrário, só positivo.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Fósforo, Vitamina D e Cálcio e não teve resultado., Positivo: Não teve resultado, fiquei com baixa estatura, opere a perna sete vezes para corrigir deformidade óssea., Negativo: Não fez efeito	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que a incorporação desse medicamento ao SUS é essencial, para uso não somente de crianças, como para adultos também, considerando relatos e experiências tidas pela minha amiga(adulta)que apresentou resultados extremamente positivos após o seu uso!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Qualidade de vida com o Burosumabe é muito maior do que com o uso de fósforo. Pessoa se tornou ativa, sem faltar aos compromissos de trabalho e estudos.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Eliminação dos eventos de dor, com isso a paciente não está mais necessitando usar analgésicos ou anti-inflamatórios. Aumento da disposição, não precisou mais fazer cirurgias de correção das pernas. Aumento do fósforo nos exames de laboratório. Melhora de outros fatores também dos exames de laboratório e clínicos. É somente uma aplicação quinzenal. Fácil administração. , Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo. Nenhuma dificuldade no uso do medicamento. Dificuldade apenas no acesso ao medicamento, pois é de alto custo e não está disponível no SUS para todas as idades.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Comprimidos de fósforo, solução fosfatada e calcitriol. , Positivo: Pequena elevação do fósforo no resultado do exame de sangue., Negativo: Altas dosagens diárias de comprimidos (em torno de 60 comprimidos por dia. Muito enjoo e vômito. Não elimina as dores. Cirurgias de correção das pernas recorrentes. Não promove melhora nos dados clínicos. Aumento do PTH. Nefrocalcinose. Péssima qualidade de vida. Dores constantes.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As crianças que usam hoje serão adultas um dia.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Normalização do fósforo sanguíneo e redução dos sintomas., Negativo e dificuldades: Custo	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Calcitriol, pastilha de fósforo , Positivo: Custo mais acessível , Negativo: Dificuldade em atingir a normalização do fósforo além de não agir na causa do problema.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é muito importante e o único realmente eficaz no tratamento do XLH, tanto de adultos como de crianças.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: O medicamento é eficaz tanto para crianças, como para adultos. Conheço adultos que estão usando o Burosumabe e melhoraram, as dores passaram e estão com uma melhor qualidade de vida e com menos complicações e outras comorbidades decorrentes da doença XLH. , Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fósforo oral, Positivo: Nenhum resultado positivo foi percebido., Negativo: Com o fósforo que não tem eficiência nem a eficácia esperada nessa doença. O paciente tem dores no estômago, refluxo, azia e má digestão, diarreia, gases intestinais, tudo isso causado pelo fósforo, que é ingerido em altas doses por dia e as dores ósseas continuam e não passam, mesmo usando fósforo.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Assim como já é aprovado em adultos, começar o uso na criança permite menor deficiência de estatura e menores sequelas.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumab, Positivo e facilidades: Controle da doença, reversão das deformidades ósseas., Negativo e dificuldades: Nenhuma. Apenas dificuldade em liberação da medicação	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Reposição de eletrólitos, Positivo: Pouco resultado porque não trsta a doença, mas é uma tentativa de corrigir a deficiência mineral., Negativo: Todos os pacientes não tem controle da doença, apresenta limitação de crescimento, deformidade óssea etc	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Extremamente importante para que a criança não tenha q tomar diversos comprimidos e doses de xarope ao longo do dia, todos os dias	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora na qualidade vida, ganho de peso e cessão de enjoos devido ao xarope de fosfato, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Calcitriol e xarope de fosfato, Positivo: Sem referências para opinar, mas q fosfatase estava sempre subindo e descendo, Negativo: Vômitos	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento deve ser incorporado ao SUS para adultos uma vez que as crianças que hj utilizam da medicação serão adultos no futuro. E os adultos de hoje necessitam de uma melhor qualidade de vida para o desempenho de suas funções e o exercício da cidadania e participação no mercado de trabalho. Uma vez que as dores crônicas muitas vezes traz incapacidade.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: fosforo, osteonutrit e calcitriol, Positivo: não houve resultados positivos considerados significativos., Negativo: pois as dores crônicas continuam, problemas dentários, sonolência, ansiedade, etc.não houve crescimento de estatura.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Direito à vida para TODOS, adultos e crianças ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "As pesquisas envolvendo Doenças raras são de extrema importância, visto que o paciente com doença rara pode ficar anos sem diagnóstico e tratamento., O Burosumabe para o XLH em adultos aumenta a qualidade e expectativa de vida dos pacientes., É importante avaliar a redução dos custos diretos e indiretos que Burosumabe pode proporcionar sendo incorporado, já que a maioria destes pacientes realizam diversas cirurgias, internações , uso contínuo de medicações e incapacidade de trabalho "" impacto social"" , A incorporação do Burosumabe pelo Ministério da Saúde facilitará o acesso ao tratamento dos pacientes que tem diagnóstico genético confirmado, visto que os diversos artigos científicos comprovam a eficácia , segurança e qualidade do produto., Nas famílias com paciente pediátrico tratando via PCDT os adultos sem tratamento relatam dificuldades e limitações em acompanhar seus filhos devido a dor, fraturas constantes e internamentos."	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É uma doença rara, muitos casos no Brasil, inclusive minha filha e meu neto foram diagnosticados, meu neto já está recebendo o medicação a cada 15 dias e melhorou muito sua qualidade de vida, minha filha mãe dele precisa muito da medicação, sou a favor que seja incorporado no sus imediatamente.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Cálcio e fósforo via oral, com efeitos adversos, como náuseas e vômitos. , Positivo: Desaparecimento de dores nos membros inferiores. , Negativo: Nenhum resultado negativo	4ª - Somente que meu neto de 10 anos está se dando muito bem com a medicação.	5ª - Muitos pacientes de baixa renda, tem a doença, nada mais justo do que ser disponibilizado pelo Sus.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Que seja incorporado ao Sus para melhorar a qualidade de vida de pessoas que tenham o Cromossomo X	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse remédio possibilita qualidade de vida é acessibilidade a várias pessoas que viveram a vida toda impossibilitadas de andar livremente, pouquíssimas pessoas com a doença poderia pagar o valor do remédio, portanto, ele deve sim ser incorporado no sus	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é muito importante e o único realmente eficaz no tratamento do XLH, tanto de adultos como em crianças. Conheço adultos que estão usando o Burosumabe e melhoraram, as dores passaram e estão com uma melhor qualidade de vida e com menos complicações e outras comorbidades decorrentes do XLH	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Esse medicamento é muito importante e o único realmente eficaz no tratamento do XLH, tanto em crianças como em adultos., Negativo e dificuldades: Não há resultados negativos, a dificuldade é ter o direito do medicamento para os adultos	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fósforo oral, Positivo: Não há resultados positivos com o uso do fósforo , Negativo: O fósforo não tem eficiência nem a eficácia esperada. O paciente tem dores no estômago, refluxo, azia e má digestão, diarreia, gases, tudo isso causado pelo fósforo, que é ingerido em altas doses diárias e as dores ósseas persistem, mesmo usando o fósforo.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A hipofosfatemia crônica compromete significativamente a condição de saúde dos pacientes, tanto em relação a sintomas de dor e fadiga que impactam diretamente na qualidade de vida, como e relação a complicações a médio prazo como fraturas, entesopatias e perda dentária precoce. E por outro lado, os estudos clínicos como também na minha experiência pessoal, os pacientes melhoram significativamente os sintomas clínicos de dor e fadiga e consequentemente, melhoram a qualidade de vida e tornam-se mais produtivos profissionalmente. A medicação é segura e bem tolerada pelos pacientes.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: A normalização rápida dos níveis de fósforo e com isso a melhora da dor, fadiga e da rigidez dos membros inferiores. É nítida a melhora clínica do paciente, em relação a disposição , redução da dor e melhora na deambulação., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo. Apenas quando o paciente suspende o uso por atraso da entrega pelo governo, por exemplo, ocorre uma piora significativa da dor !	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Calcitriol e fósforo (manipulado), Positivo: O uso de calcitriol e fósforo (terapia convencional) em altas doses leva a um aumento discreto nos níveis do fósforo, porém sem normalização. A resposta clínica em relação a redução da dor, é muito discreta., Negativo: Hipercalcemia e hipercalcúria e nefrocalcinose são complicações da terapia convencional, além dos efeitos gastro intestinais do fósforo como diarreia e dor epigástrica.	4ª - Estudo brasileiro de vida real demonstra a eficácia e segurança do burosumabe (Vaisbich MH e cols, Molecular Genetics & Genomic Medicine, 2024, 12: e2387.	5ª - não
Profissional de saúde 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Trata se de uma doença genética cujo tratamento deve ser oferecido como opção ao longo da vida do indivíduo	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Excelente controle bioquímico e melhora clínica , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Calcitriol e fósforo formulado em comprimidos ou xarope , Positivo: Melhora clínica importante e sem efeitos colaterais principalmente gastro intestinais, melhora do a adereancia e o resultado do tratamento , Negativo: Sem efeitos negativos até o momento	4ª - Nao	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Se existe o medicamento que traz benefícios as pessoas que possuem a doença negar esse acesso por meio do SUS é um ato covarde da saúde pública.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Inclusão para uso em adulto.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento importantíssimo para quem precisa e é muito caro. Então acho que o SUS deveria fornecer a quem precisa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não enviar documentos pessoais	5ª - Não enviar documentos pessoais

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é de importância imensa para quem tem a doença, minha mãe é portadora da doença e necessita com URGÊNCIA desse medicamento, além dela, existem outras milhares de pessoas que também necessitam desse medicamento e nos dias atuais o sus so fornece para crianças e o sus precisa aumentar essa distribuição para os adultos também, e além disso esse medicamento é o único realmente eficaz no tratamento do XLH	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Há estudos científicos que demonstram a eficácia e segurança do burosumabe no tratamento da Hipofosfatemia ligada ao X (XLH) em pacientes adultos. O XLH pode ocasionar inúmeras fraturas e pseudofraturas, osteoartrite, perda auditiva e entesopatias na população adulta, além de uma dor crônica de muita intensidade. A qualidade de vida é bastante afetada, os pacientes não conseguem trabalhar e levar uma vida normal devido à dor intensa, com dificuldade de conseguir um trabalho e realizar diversas atividades diárias. Com o uso do medicamento burosumabe, pode-se observar uma melhora tanto do ponto de vista físico quanto psicológico. Há um impacto social muito intenso, devido ao bullying e ao emocional abalado de um paciente com XLH. Diversos artigos científicos comprovam que o uso do burosumabe diminuiu a necessidade de cirurgias ortopédicas e o alívio da dor. Além disso, esta terapia inovadora proporciona não apenas uma melhor qualidade de vida, mas também um impacto positivo na funcionalidade física e no controle das manifestações clínicas e múltiplas complicações que a patologia pode ocasionar. O burosumabe neutraliza a ação do FGF23 que está em excesso, normalizando o fósforo nos pacientes com XLH. O burosumabe deve ser incorporado no Ministério da Saúde, pois muitos pacientes adultos precisam de uma nova vida, de uma melhor qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É direito da pessoa com deficiência receber esse tratamento, apenas a receita a base de fósforo não supre a necessidade para tratar a doença. A pessoa com o raquitismo ainda sofre muito como curvatura nos osso, baixa estatura, dores, depressão, problema sociais, bullying, preconceito.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Receita a base de fósforo, Positivo: aumento do nível de fósforo, Negativo: Nível de fósforo abaixo do normal, e cálculo renal.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Borosumabe, Positivo e facilidades: Melhor na qualidade de vida / expectativa de vida / menores complicações , Negativo e dificuldades: Poucos / nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As pesquisas são de grande importância para que os pacientes sejam diagnosticado corretamente, com uma determinada doença rara... o medicamento Burosumabe promove segurança e eficácia e com uma melhor qualidade de vida nos pacientes XLH. A incorporação do Burosumabe pelo Ministério da Saúde facilitará o acesso dos pacientes para esse tratamento único para o XLH, e pode proporcionar uma melhor qualidade de vida. Os pacientes além dos problemas físicos, como: fraturas, perda auditiva, calcificações extraóssea eles também são abalados emocionalmente devido ao impacto social que a doença provoca. A sociedade aguarda com muita esperança uma análise positiva para a dispensação do Ministério da Saúde do referido produto.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim, como paciente, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Tive melhora significativa nas dores ósseas, no caminhar, nas fadigas e nos problemas dentários. Contribui muito para minha qualidade de vida., Negativo e dificuldades: nenhuma.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Cálcio e Fósforo., Positivo: Maiores níveis de cálcio e fósforo no organismo., Negativo: Não melhorava as dores, o andar, as fadigas e nem na qualidade de vida.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Minha amiga sempre reclamou de muitas dores, tinha grandes dificuldades de locomoção e em executar tarefas simples do cotidiano, com o início do uso do medicamento ela passou a ter qualidade de vida, hoje ela consegue caminhar, faz academia e até aula de dança. É inegável o avanço ela que ela teve com o uso dessa medicação, e seria uma bênção ela poder ter acesso facilitado à esse medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Porque existem estudos que comprovam a eficácia do médica em adultos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Raquitismo Hipofosfatêmico ligado ao X - XLH é uma patologia que afeta a os ossos, músculos e dentes, devido à perda excessiva de fosfato pela urina, o que resulta em níveis baixos de fósforo no sangue. Assim como outras patologias raras, o XLH pode impactar, de maneira significativa, a vida adulta – está associada à ocorrência de pseudofraturas e fraturas, artrose (doença das articulações), entesopatia) e uma variedade de sintomas musculoesqueléticos, incluindo rigidez articular e lesões sistêmicas, os pacientes apresentam maior incidência de cáries, perdas dentárias, periodontites, abscessos, sendo que entre os diversos órgãos afetados pelo XLH , as complicações odontológicas são observadas. O uso do Burosumabe reduz tais complicações , promove uma melhora de qualidade de Vida e autoestima para os pacientes adultos com XLH,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - O uso do Burosumabe em pacientes na odontologia, promove uma melhor mineralização dos dentes, redução de cáries e infecções, periodontites e abscessos, conforme descrito nos artigos científicos. (eficácia e segurança)	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As doenças raras geralmente são crônicas, progressivas, degenerativas e muitas vezes fazem com o que os pacientes além dos problemas e lesões físicas, também impacto social e emocional. São muitos desafios para que o paciente possa ser diagnosticado e tratado de maneira correta. O XLH provoca diversas manifestações clínicas nos adultos como fraturas, muita dor, fraqueza muscular, osteoartrite, entesopatias, perda auditiva..além do impacto social e emocional. Os pacientes tem dificuldade de conseguir trabalho, e ficam abalados emocionalmente. É de extrema relevância e importancia que o Ministerio de saude faça incorporação do Burosumabe para adultos com XLH, para que estes pacientes tenham uma melhor qualidade de Vida. O Burosumabe apresenta uma solução inovadora que transforma várias Vidas !!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 31/01/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que seja fundamental manter o tratamento com Burosumabe em pacientes adultos, pois a doença é incapacitante com fraturas e deformidades e dores ósseas. Esse fármaco é a solução para trata-te esses pacientes.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora da dor óssea, melhora do exame do fósforo, melhora da qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Dificuldade financeira	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Tratamento convencional com calcitriol e fósforo , Positivo: Resultado muito discreto de melhora da dor, sem normalizar o exame de fósforo , Negativo: O paciente não melhora e continua tendo fraturas, dor óssea e deformidade óssea	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 01/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 01/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora das características da hipofosfatemia, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Cirurgias com muitas falhas e medicamentos pela endócrino sem sucesso, Positivo: Raros, Negativo: Vários	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 01/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes adultos com XLH cursam com complicações da doença, principalmente dor crônica e articular, que justifica o tratamento contínuo com Burosumabe.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora da dor, fraturas e qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Fosfato e calcitriol, Positivo: Controle parcial da doença , Negativo: Efeito moderado, com incidência elevada e efeitos colaterais e não tratamento completo da doença	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 01/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do medicamento no SUS trata melhor qualidade de vida a nós pacientes e uma esperança no avanço da medicina e políticas públicas. , O medicamento melhora significativamente os avanços da doença, melhora dores e demais efeitos colaterais da doença no organismo. É considerado ouro pelas pessoas que conseguiram acesso e é muito desejado por aqueles que ainda não conseguiram e aguardam ansiosos, assim como eu, para poder utilizar e sentir as vantagens e benefícios sob a doença. Esperamos que possamos assim, ter melhor qualidade de vida, principalmente com o avanço da idade	2ª - Sim, como paciente, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Ainda não utilizei a medicação devido a dificuldade na obtenção do medicamento e falta de conhecimento de muitos profissionais de saúde. Utilizo fosfato ha anos, porém os resultados dos exames sempre permanecem abaixo do nível de referência, ou seja, o medicamento não é eficaz no tratamento da doença, segundo estudos e relatos de pessoas portadoras do XLH o medicamento com maior poder de ação é o Burosumabe. A perca de fosfato pela urina faz com que nós pacientes tenhamos diversos problemas ósseos, dores musculares, fraqueza, fadiga, diversos problemas de dentição, dores na coluna, além disso o tratamento com fosfato não garante que a doença não vá avançar. É essencial para nós pacientes raros o acesso ao medicamento, a incorporação no tratamento nos dará um tratamento eficaz e esperança de melhora, mesmo com o avanço da idade. , Já mostrei pesquisar aos médicos que até já ouviram falar sobre o medicamento, mas me dizem que a obtenção do mesmo é bastante complicada e acabam optando pelo tratamento convencional, que não tem bons resultados. , Negativo e dificuldades: Nos relatos de quem utiliza, não foram encontrados nenhum efeito negativo, somente a dificuldade de conseguir o medicamento.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Xarope de fosfato (manipulado), Adera D, Calcitriol , Cirurgia para correção de membros inferiores , Positivo: Com a cirurgia senti ótimos resultados, como: melhora na mobilidade nas pernas, melhora na saúde mental, diminuição do avanço da doença., Com as medicações citadas ainda não tive bons resultados, apenas o cálcio e vitamina D que estão em bons níveis, mas o fosfato ainda continua baixo. , Negativo: Cirurgia: Falta de mobilidade no quadril., Medicamentos: Xarope de fosfato - cefaléia, desconforto gástrico, pouca melhora nos exames.,	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 01/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Assim como tive a oportunidade de receber o benefício, quero que outras pessoas possam ter acesso para ter melhor qualidade de vida.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Com o Burosumabe, Positivo e facilidades: Tive melhor qualidade de vida, melhora nos níveis de cálcio e fósforo. , Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Solução de Fosfato e Calcitriol. , Positivo: Quase nada. , Negativo: Sentia dores no estômago e o remédio não fazia tanto efeito, os níveis de cálcio e fósforo nunca aumentavam.	4ª - Não.	5ª - Não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 01/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Assim como a minha filha teve a oportunidade de receber o tratamento, desejo que ela na vida adulta continue e que outras pessoas tenham a mesma oportunidade, pois só quem passa por isso sabe a dor de vc ter uma condição e não ter o tratamento adequado!	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhorou 100 % a qualidade de vida de minha fiha, Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Calcitriol e solução de fosfato, Positivo: Melhorou os níveis de cálcio e fósforo no sangue,não sente dores, Negativo: Causava dores abdominal e não aumentava os níveis de cálcio e fósforo no sangue	4ª - Não	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 01/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É de extrema importância para os pacientes raros acesso ao medicamento. As crianças estão sendo tratadas, porém como se trata de doença congênita, os pais não possuem acesso ao tratamento por seres adultos, ficando fadados a piora e ficando sem condições de apoiar e dar sequência ao tratamento do filho, por não ter condições de acompanhá-lo. O SUS foi criado para dar assistência integral aos seus usuários, porém está ação de escolher a quem dar o tratamento, exclui totalmente os pacientes de doenças raras. A escolha do tratamento deve ser do paciente e não do sistema de saúde, e das pessoas por trás dele. A dignidade e o direito de ir e vir, estão sendo negligenciados a estes pacientes, visto que a doença a ser tratado por Burosumabe, impede do paciente se locomover. Este medicamento proporciona qualidade de vida e independência aos seus usuários.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 01/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acho fundamental a incorporação desse medicamento no sus ... para poder atende outras pessoas que passam por esta mesma doença, e que elas possam ter a oportunidade de ter uma vida melhor com o auxílio desse medicamento	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: O medicamento é o burozumabe, Positivo e facilidades: Tenho uma amiga já adulta que faz o uso desse medicamento... e teve grandes melhoras com ele , a ponto de conseguir fazer atividades que nunca havia feito ... e causando uma melhora de vida surpreendente para ela , Negativo e dificuldades: Não teve resultado negativo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 01/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sempre importante a análise as medicações raras tendo em vista a gravidade das doenças . XLH e uma debilitante para os adultos , pois não conseguem ter qualidade de vida .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 01/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que as pessoas com essa doença merecem o melhor tratamento disponível, mantendo o direito a sua dignidade e qualidade de vida, conforme preconiza a nossa Constituição Federal	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Tive experiência com o **burosumabe** no tratamento da **hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (XLH) em adultos ** . Acompanhei casos de pacientes tratados com o medicamento e observei melhora clínica significativa, incluindo redução da dor óssea, melhora da mobilidade e qualidade de vida, além da normalização progressiva dos marcadores laboratoriais relacionados ao metabolismo do fósforo., Positivo e facilidades: A partir da minha experiência com o burosumabe no tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (XLH) em adultos, observei resultados positivos significativos. O medicamento proporciona alívio da dor óssea e muscular, melhora a mobilidade e funcionalidade dos pacientes, reduz a progressão de deformidades ósseas e fraturas por estresse, além de contribuir para a normalização progressiva dos níveis séricos de fósforo, favorecendo a mineralização óssea adequada. Além disso, a administração subcutânea menos frequente, em comparação com a reposição convencional de fósforo e calcitriol, facilita a adesão ao tratamento, tornando o burosumabe uma alternativa eficaz e essencial para o manejo da XLH em adultos., Negativo e dificuldades: A partir da minha experiência com o burosumabe no tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (XLH) em adultos, observei algumas dificuldades e efeitos adversos. Entre os principais desafios, destaca-se o acesso limitado ao medicamento, devido ao alto custo e à necessidade de incorporação em políticas públicas para ampla disponibilização. Além disso, alguns pacientes relataram **reações no local da aplicação** , como dor e vermelhidão, além de efeitos adversos sistêmicos leves a moderados, como fadiga e cefaleia. Outra dificuldade envolve a necessidade de um **acompanhamento clínico rigoroso** , com monitoramento frequente dos níveis séricos de fósforo e outros marcadores metabólicos para otimização da resposta ao tratamento. Apesar desses desafios, os benefícios clínicos superam as dificuldades observadas.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Além do burosumabe, tive experiência com a terapia convencional para a hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (XLH), que inclui a reposição oral de fósforo e calcitriol (ou outros análogos da vitamina D ativa). Esse tratamento auxilia na melhora dos níveis séricos de fósforo e na mineralização óssea, mas apresenta limitações, como a necessidade de múltiplas doses diárias, baixa adesão dos pacientes, efeitos adversos gastrointestinais e o risco de complicações, como nefrocalcinose e hiperparatireoidismo secundário. Comparado ao burosumabe, a terapia convencional apresenta menor eficácia na melhora da dor óssea, da mobilidade e da qualidade de vida dos pacientes., Positivo: O tratamento auxilia na melhora parcial dos níveis séricos de fósforo, contribuindo para a mineralização óssea e reduzindo algumas manifestações da doença. Em alguns pacientes, houve alívio relativo da dor óssea e melhora na força muscular, especialmente quando o tratamento foi iniciado precocemente e mantido com acompanhamento rigoroso. Além disso, por ser uma terapia amplamente conhecida, há protocolos estabelecidos para seu uso, permitindo um manejo previsível da doença. No entanto, os benefícios dessa abordagem são limitados em comparação ao burosumabe, especialmente em relação à progressão das deformidades ósseas e à qualidade de vida dos pacientes., , , , , , Negativo: Observei diversas limitações e efeitos adversos. A reposição de fósforo e calcitriol exige múltiplas doses diárias, o que dificulta a adesão dos pacientes e compromete a eficácia do tratamento a longo prazo. Além disso, muitos pacientes apresentam desconforto gastrointestinal, como diarreia e dor abdominal, devido à suplementação de fósforo. Outra preocupação significativa é o risco de nefrocalcinose e hiperparatireoidismo secundário, que podem levar a complicações renais graves. Apesar de proporcionar algum controle da doença, essa abordagem não previne de forma eficaz a progressão das deformidades ósseas nem melhora significativamente a qualidade de vida dos pacientes, tornando-se uma opção menos eficaz em comparação ao burosumabe	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 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O paciente adulto com HLX pode ser assintomático ou apresentar evidentes complicações da doença. Algumas dessas complicações, como baixa estatura ou deformidade de membros inferiores, são sequelas da doença presente desde a infância e não serão revertidas com qualquer tratamento clínico. No entanto, outras complicações continuam a surgir na fase adulta e podem reduzir muito a qualidade de vida dos pacientes e até sua expectativa de vida (Hawley et al. J Clin Endocrinol Metab, 2020. doi: 10.1210/clinem/dgz203, Skrinar et al. Journal of the Endocrine Society, 2019. doi: 10.1210/js.2018-00365). No estudo de Javaid et al, foram avaliados 336 pacientes adultos com HLX através de questionário online (Javaid et al. J Clin Endocrinol Metabolism, 2022. https://doi.org/10.1210/clinem/dgab739). A análise dos dados foi feita de acordo com a faixa etária (divisão de 10 em 10 anos a partir de 18 anos e até maiores de 60 anos). A maioria dos pacientes tinha entre 40 e 49 anos e, aproximadamente 70% deles, eram tratados com fósforo oral e/ou calcitriol. A despeito do tratamento convencional, foram descritas complicações da doença, que aumentavam de acordo com a faixa etária. A prevalência de fraturas, por exemplo, era de 27 a 40% entre aqueles com 18 a 29 anos, aumentando para 68 a 86% naqueles com mais de 60 anos. A frequência de estenose de canal medular aumentou de 3,8% entre aqueles com 18 a 29 anos, para 29 a 35% naqueles com mais de 60 anos. A prevalência de entesopatia e osteoartrite também aumentou com idade. Esses dados claramente refletem que a doença continua a se manifestar em alguns pacientes na fase adulta. O tratamento deve ser instituído nesses pacientes, mesmo na fase adulta. Para aqueles que não respondem ao tratamento convencional, o uso do burosumabe deve ser ofertado pelo SUS para melhorar a qualidade de vida desses pacientes, conforme demonstrado em literatura.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Tenho 3 pacientes adultos em uso de burosumabe e os resultados são muito semelhantes ao descritos no ensaio clínico randomizado (Insogna KL, et al. J Bone Miner Res 2018, 33:1383–93. doi:10.1002/jbmr.3475). Durante o tratamento com burosumabe, os pacientes interromperam o uso de sais de fósforo e calcitriol e, mesmo assim, houve normalização do fósforo, aumento da TmP/TFG, normalização do PTH (que estava elevado em dois dos pacientes) e aumento do calcitriol. Uma das pacientes tinha pseudofraturas bilaterais em fêmur, que não consolidavam há anos, a despeito do tratamento convencional. Com o uso do burosumabe, as fraturas consolidaram. Mais importante, os 3 pacientes tiveram melhoram expressiva da dor óssea, caminham mais rapidamente e relatam melhora muito significativa da qualidade de vida. Além da paciente descrita acima, com pseudofraturas em ambos os fêmures, uma das pacientes, havia tido uma fratura completa em diáfise de fêmur, que a debilitou muito. Depois, esta mesma paciente, teve fratura em fíbula, espontânea. O outro paciente, teve fratura vertebral espontânea, mesmo em uso do tratamento convencional. Desde o início do tratamento com burosumabe, nenhum dos pacientes teve novas fraturas. Assim como descrito nos ensaios clínicos, há aumento da fosfatase alcalina após o início do burosumabe, que normaliza após pelo menos 1 ano de tratamento, refletindo regressão da osteomalácia. Nenhum dos pacientes teve hiperfosfatemia durante o tratamento. A minha experiência pessoal com o tratamento desses pacientes com burosumabe deixa evidente que há pacientes que são muito acometidos pela doença também na fase adulta e que, para esses pacientes sintomáticos, o tratamento é extremamente benéfico. , Negativo e dificuldades: No ensaio clínico do burosumabe, comparado ao placebo, os efeitos adversos foram pouco frequentes, tendo sido sendo relatados lombalgia, cefaleia, síndrome das pernas inquietas, tontura, constipação, vômito, febre e reações no sítio de aplicação (Insogna KL, et al. J Bone Miner Res 2018, 33:1383–93. doi:10.1002/jbmr.3475). Na minha experiência pessoal, não observei tais efeitos adversos. O que foi notado foi uma necessidade de reposição de colecalciferol (vitamina D nativa), o que é explicado pelo aumento da conversão da vitamina D nativa em sua forma ativa (calcitriol). Isso é explicado pelo desbloqueio da enzima 1 alfa hidroxilase, causado pela queda do FGF23 induzida pelo burosumabe. Além disso, uma das pacientes teve aumento da dor em membros inferiores nos primeiros 2 meses de uso, com remissão completa da dor após esse período.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Sais de fósforo e calcitriol (tratamento convencional da doença), Positivo: O tratamento convencional da doença pode levar a uma melhora da fosfatemia, mas na maioria dos casos, isso não acontece, pois quando tentamos normalizar o fósforo, aumentamos as chances de efeitos adversos do tratamento convencional, como o hiperparatireoidismo secundário e aumento da calciúria, com possibilidade de evolução para nefrocalcinose. De acordo com a literatura, o tratamento convencional em adultos pode reduzir a dor e melhorar parâmetros de osteomalácia por histomorfometria, sem, no entanto, revertê-la completamente (Sullivan W et al. J Clin Endocrinol Metab, 1992. DOI: 10.1210/jcem.75.3.1517380). A minha experiência pessoal com o tratamento convencional me mostra melhor controle da doença do que naqueles pacientes sem tratamento, mas há uma necessidade de ajuste da dose constantemente, pelo aparecimento de efeitos adversos e não resolução completa dos casos. Conforme explicitado acima, uma das minhas pacientes adultas estava em tratamento convencional da doença há anos. Mantínhamos contato a cada 1 a 2 meses para ajuste das doses, pois pequenas mudanças causavam efeitos indesejados. E, apesar desse contato constante, uso correto das medicações, a paciente manteve as fraturas de fêmures não consolidadas e matinha quadro de dor e de fosfatase alcalina no limite superior (osteomalácia não controlada). Isso talvez aconteça, porque o tratamento convencional não reduz o FGF23, que é a causa da doença. , Negativo: O tratamento convencional da doença com sais de fósforo e calcitriol apresenta algumas dificuldades na prática clínica. Minha experiência pessoal é a seguinte: os pacientes precisam usar dose alta de sais de fósforo, com necessidade de múltiplas tomadas. Isso reduz muito a adesão ao tratamento, pelo alto número de tomadas ao dia e pelos efeitos adversos gastrointestinais, frequentemente observados com esse tratamento. Além disso, os sais de fósforo não são oferecidos pelo SUS, e têm que ser manipulados em farmácias específicas, pois não são todos os serviços que conseguem fazer essa manipulação. E mais importante, o custo dessa manipulação é alto, dificultando seu uso. Além	4ª - O ensaio clínico que comparou o burosumabe ao placebo em adultos com HLX mostrou benefícios da droga nesses pacientes, com bom perfil de segurança, motivando sua aprovação pela ANVISA. Este estudo revelou que o tratamento com burosumabe 1 mg/Kg/mês em adultos foi eficaz em normalizar os marcadores laboratoriais de doença: aumento da fosfatemia, aumento da TmP/TFG, aumento da 1,25(OH)2D, e normalização da concentração de PTH (Insogna KL, et al. J Bone Miner Res 2018. doi:10.1002/jbmr.3475). Além disso, estudos de extensão desse estudo, com até 96 semanas de duração, evidenciaram que o burosumabe melhorou significativamente parâmetros clínicos relacionados à doença, tais como dor, rigidez, e função motora (Portale AA, et al. Calcif Tissue Int. 2019. doi: 10.1007/s00223-019-00568-3, Briot K, et al RMD Open. doi: 10.1136/rmdopen-2021-001714). O tratamento com burosumabe também resultou em melhora dos marcadores histomorfométricos de osteomalácia (Insogna KL et al. J Bone Miner Res, 2019. doi:10.1002/jbmr.3843.) e consolidação de fraturas (Insogna KL, et al. 2018. doi:10.1002/jbmr.3475, Portale AA, et al. 2019. doi: 10.1007/s00223-019-00568-3). , Da mesma forma, como acima exposto, pacientes adultos com XLH podem sim apresentar comprometimento	5ª - A exemplo das recomendações internacionais das agências do Canadá (Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH) – disponível em: https://www.cda-amc.ca/sites/default/files/DRR/2024/SR0818_Reassessment_Final_Recommendation.pdf), Inglaterra e País de Gales (National Institute for Health and Care Excellence (NICE) disponível em: https://www.nice.org.uk/guidance/ta993/resources/burosumab-for-treating-hypophosphataemia-in-adults-pdf-82615969187269), Austrália (Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS), disponível em: https://www.tga.gov.au/sites/default/files/2022-07/auspar-crysvita-220629.pdf) e França (Haute Autorité de Santé (HAS), disponível em https://has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2022-02/crysvita_02062021_summary_ct19067.pdf), a incorporação do burosumabe no tratamento de pacientes adultos com HLX deve ser feita mediante acordo comercial com o fabricante.

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:
			disso, o fósforo oral pode levar a um hiperparatireoidismo secundário, o que é descrito na literatura, algumas vezes evoluindo para hiperparatireoidismo terciário, com necessidade de tratamento cirúrgico (DeLacey et al. Bone, 2019. https://doi.org/10.1016/j.bone.2019.06.025). Na minha experiência pessoal, dos 6 pacientes adultos que acompanhei com uso de tratamento convencional, 4 apresentaram hiperparatireoidismo secundário. , O calcitriol, por outro lado, é fornecido pelo SUS, sendo seu uso mais fácil. Mas ainda assim, precisa ser feito em pelo menos duas tomadas diárias. Seu principal efeito adverso é a hipercalcemia e hipercalcúria, que podem levar a calcificações renais (nefrocalcinose e nefrolitíase). Em um estudo de registro holandês, que avaliou crianças e adultos com HLX, observou-se que a idade de início do tratamento convencional foi inversamente relacionada à presença de nefrocalcinose ($r=-0,298$, $p=0.007$), indicando que o risco desta complicação aumenta com o uso de fósforo e/ou calcitriol (Bosman A et al. Calcif Tissue Int. 2024 doi: 10.1007/s00223-023-01172-2).	continuado da doença, devendo, nessas condições, ser tratados. Assim, o burosumabe deve ser oferecido pelo SUS para aqueles pacientes adultos, com diagnóstico confirmado da doença, quando houver refratariedade clínica ou complicações do tratamento convencional, realizado por pelo menos 1 ano, manifestada por um ou mais dos seguintes critérios: a) persistência de alterações radiográficas da osteomalácia tais como pseudofraturas, fraturas por fragilidade ou não consolidação de fraturas, b) dor óssea atribuída à osteomalácia, , c) evidência de instalação de complicações associadas ao tratamento convencional: nefrocalcinose e/ou hiperparatireoidismo secundário persistente, ou d) intolerância gastrointestinal ao tratamento convencional.	
Interessado no tema 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Burosumabe possui estudos científicos que comprovam a eficácia e segurança em crianças e adultos. Em se tratando de uma doença rara como XLH, que é possível comprovar a doença através do diagnóstico (exames físicos/ laboratoriais/ Raio X/ Testes genéticos), é de extrema importância a facilidade de acesso do medicamento para os pacientes com XLH -	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Anexo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Sim, anexo.	5ª - Sim, anexo.
Profissional de saúde 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes adultos com XLH que possuem diagnóstico devem ser tratados com BUROSUMADE. O MINISTÉRIO DA SAÚDE facilitará o acesso do medicamento, promovendo uma melhor qualidade de vida aos pacientes.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Este medicamento vai trazer qualidade de vida para quem precisa e para toda sociedade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como cuidador de paciente com XLH, é incomparável a qualidade de vida para os indivíduos que fazem uso da medicação burosumabe em relação ao fósforo. O tratamento atual disponível no SUS a base de fósforo, é um paliativo que visa repor a perda do fósforo pela urina e não age na causa raiz da doença.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Eliminação de dor, diminuição da fadiga, aumento da qualidade de vida, parâmetros de análise clínica enquadrados, mais desposição, forma de administração do medicamento., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Comprimidos de fósforo e Calcitriol, Positivo: Nenhum resultado positivo. , Negativo: Exames de sangue sem melhora, não diminuição das dores, cirurgias e internações frequentes.	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: Melhora na dores, Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pessoas que tem esta doença terão melhor qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É de fundamental importância ter esse suporte as pessoas que precisam desse medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Minha sobrinha neta faz uso do medicamento e tem ótimos resultados.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Trata-se de criança transitando para adolescente que sofrerá as sequelas da doença se não tratada com o medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os resultados dos ensaios clínicos são superiores ao da minha prática.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Carbonato de cálcio + colecalciferol: comprimidos de 500 mg de cálcio elementar + 200 UI de D3, , Positivo: Resposta pobre, Negativo: Progressão do raquitismo	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Redução de novas fraturas, melhor consolidação de fraturas antigas, melhor resposta cirúrgica , Negativo e dificuldades: Custo do tratamento	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pacientes tem compartilhado experiências positivas com o uso do burosumab, aumento do fosfato em exames clínicos, os dentes não ficam moles e não tem perca, aumento da disposição e diminuição das dores causando ganhos na qualidade de vida e na produtividade podendo trabalhar. O acesso a medicação é uma esperança para pessoas como eu que não tem o acesso para manter uma vida mais digna.	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Fósforo via oral, Positivo: Com o tratamento de fósforo não obtive nenhum resultado positivo., Negativo: Com o uso do fósforo via oral nunca atingi a quantidade suficiente para o organismo, uma vez que o corpo não “processa”, tenho perca motora significativa, queda de dentes, fadiga crônica e dores.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Porque as doenças raras provocam um impacto social e psicologico nos pacientes alem das diversas manifestacoes clinicas e multiplas lesoes . O burosumab é um medicamento comprovado pelos estudos cientificos eficaz e seguranca pra uma melhor qualidade de vida. Os pacientes sofrem muitas desigualdades e vulnerabilidade devido a dificil inclusao e integracao na sociedade observa-se uma dificuldade em conseguir trabalho, uma baixa estima podendo levar a depressao, ansiedade e outros transtornos maiores. O ministerio da saude pode propiciar com a inclusao do medicamento, uma nova vida tanto para o paciente , familiares e amigos, mudando o contexto de toda uma sociedade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse é um medicamento que está de verdade auxiliando as pessoas portadoras de XLH no mundo inteiro e deve, sim, ser disponibilizado pelo SUS uma vez que é de extrema importância na qualidade de vida e saúde desses pacientes.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: burosumabe, Positivo e facilidades: Os pacientes que estão tomando o medicamento estão sentindo uma melhora expressiva na rotina diária, tendo mais disposição e menos dores, tendo assim uma melhora na qualidade de vida, uma vez que a dependência de outras pessoas para atividades básicas é reduzida consideravelmente., Negativo e dificuldades: Não verifiquei efeitos negativos, apenas uma melhora na disposição.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: o tratamento anterior com fosfato e outras vitaminas que se cria pela deficiência., Positivo: Praticamente nulos, não vi melhora alguma com esse tratamento., Negativo: O resultado negativo é praticamente o fato de não ter efeito efetivo no paciente, apenas repondo esses nutrientes o corpo não reage além de dependendo do que está sendo administrado causar efeitos como diarreia, por exemplo.	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um direito da população. Dever ser fornecido pelo SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, SUS é vida! É Brasil!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não se aplica	5ª - Não se aplica
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A ausência de evidências que comprovem a melhora em pacientes adultos não equivale a comprovação científica de sua ineficácia. O poder de decidir se é válido ou não o uso do medicamento deve ser do médico, que possui tanto conhecimento técnico acerca da doença quanto o conhecimento do paciente. Ao retirar-se o medicamento do SUS, esse poder de decisão passa a ser ditado pela realidade econômica do indivíduo afetado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Melhora qualidade de vida, Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acho muito importante a incorporação dessa medição para os adultos. No meu caso tenho dores horríveis, quase perdendo a autonomia de andar, a base de medição pra fores que não aliviam em nada. Será uma qualidade de vida muito melhor para nós adultos, e no meu caso preciso estar bem para cuidar do meu filho que tbm é xlh, e tbm autista. , Pensem em nós como se fossemos um parente de vcs, o qual vcs não gostariam de vê-los sofrer.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Infelizmente ainda não tive a oportunidade de utilizar esse produto, mas conheço pessoas que tiveram e tiveram grande sucesso com esse tratamento. , Positivo e facilidades: Eu não tive ainda a oportunidade de utilizar esse medicamento, mas conheço pessoas que fazem uso e foi maravilhoso , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao
Interessado no tema 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acompanho a jornada dos pacientes com Doenças Raras há mais de 7 anos. , , Os pacientes com XLH sofrem com muita dores intensas, fraqueza e deformidades nos membros inferiores, redução da mobilidade sendo necessários em alguns casos intervencoes cirúrgicas para correção, podendo evoluir para o uso de cadeira de rodas. , Os pacientes que têm acesso ao tratamento com burosumabe relatam melhora da dor e mobilidade possibilitando a retomada de atividades do dia a dia contribuindo para melhora da qualidade de vida, fazendo muita diferença na vida de um paciente com doença rara. ,	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 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O diagnóstico de doenças raras pode ser difícil e demorado e muitas delas não possuem tratamento, o que gera tristeza e desesperança. Ao contrário dessas, existem outras onde os medicamentos ajudam no tratamento dos sintomas e a melhora da qualidade de vida. E se eu recebesse o diagnóstico de uma doença rara ou se um dos meus filhos recebesse, logicamente que eu iria querer tratar. , Eu trabalho com Doenças Raras há mais de dez anos e na Ultragenyx há quase três, e sei o quanto uma pequena melhora em atividades simples, como poder pisar no chão ao sair da cama sem sentir dor, ou poder descer ou subir uma escada, traz melhora na qualidade de vida dos pacientes. É sobre essas histórias que os médicos nos contam durante as interações. Eles nos trazem exemplos reais dos benefícios com o uso de burosumabe. Os relatos são principalmente sobre a diminuição das dores e da rigidez articular associada à doença, além da melhora na taxa de cicatrização de fraturas., O bem-estar de um paciente que tem uma doença que interfira na mobilidade e que sente dor, é totalmente impactado. As consequências não abrange apenas o paciente em si, como também a família e a sociedade como um todo. É evidente que o paciente adulto com Raquistismo Hipofosfatêmico Ligado ao X (XLH), sintomático, traz prejuízo para a sociedade no que diz respeito à maior chance de desemprego, depressão, acesso à educação, oneração do sistema público de saúde, entre outros., Por essas e entre outras tantas razões, sou favorável à incorporação de burosumabe em adultos. , ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não.
Interessado no tema 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sei que está patologia em adultos chamado raquitismo por hipofosfatemia do cromossomo X , tem forte influência negativa na vida do paciente adulto, além de comorbidades , musculares, articulares, e até bucais .Trazendo grande dor. Ele é suprimido da sociedade e não tem nem mais capacidade laboral básica . E de suma importância o medicamento , para doença em si e para melhora da função pssissocial . Muitos deles tem graves problemas como depressão .	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 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os resultados obtidos, via de administração, diminuição de internamentos por doenças secundárias, já é um ponto importante	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Escutei relatos que o ingerir o fosfato por via oral, é extremamente difícil pelo Volume e sabor ruim, que é diário e algumas vezes ao dia. Na minha opinião é desumano viver depende em ingerir essas substancias, Positivo: Via de Administração simples e grande espaço entre uma dose e outra(30 dias), Negativo: Nos outros produtos que relatei logo acima, a via endovenosa e em Bomba de infusão em 4 ou 6 horas e a posologia é semanal	4ª - Não	5ª - Não sou expert no assunto, pois sou enfermeira de formação superior sem experiências em finanças, mas acredito que todos nós merecemos ter acesso a um medicamento quanto de fato necessitamos. Eu sei que eleva os custos, mas em contrapartida o N de pacientes não é tão significativo para causar grande impacto no orçamento da saúde
Interessado no tema 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Doenças raras exigem medicamentos específicos para tratá-las , isso quando tem pesquisa e geralmente o custo inviabiliza o tratamento ! Pacientes raros não m podem ser negligenciados pela sociedade	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A EQUIPE MULTIDIPLISCINAR DESEMPENHA UM GRANDE PAPEL NO ACOMPANHAMENTO DOS PACIENTES ADULTOS QUE POSSUI XLH, PORISSO ACHO MUITO IMPORTANTE. A INCORPORAÇÃO DO BUROSUMABE PELO MINISTERIO DA SAUDE SERÁ DE GRANDE RELEVANCIA PARA UMA MELHOR QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado ao SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como médico, ainda que não utilize está linha de medicamentos referente a esta pesquisa, sei da importância de ofertar este aporte para melhor saúde e desenvolvimento dos pacientes que dele necessitam.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Sou da área da clínica médica, portanto não necessariamente tenho utilizado o medicamento para a finalidade, mas tenho curiosidade científica para conhecer., Positivo e facilidades: Por literatura médica e diálogo com outros profissionais , Negativo e dificuldades: O mesmo da resposta acima	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Muito necessário a incorporação de um medicamento tão importante para o tratamento de pessoas com Raquitismo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes que tiveram acesso a medicação , em avaliação tiveram: ganho de força muscular, diminuicao de dores, resultados de exames clinicoa dentro do ideal, ganhando significativa qualidade de vida e dignidade.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Fósforo via oral , Positivo: Não houve resultados positivos , Negativo: No tratamento paliativo com fósforo via oral, houve fraqueza muscular, perda de densidade óssea, fadiga crônica obstrução odontológico involuntária.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do Burosumabe aos pacientes adultos com XLH será um grande beneficio a todos que hoje, infelizmente, não podem ser tratados com a terapia e assim desfrutarem dos benefícios que as crianças e os adultos que hoje completaram a maioridade e que o PCDT de Raquitismo e Osteomalácia, permite a continuidade pelos benefícios clínicos aos pacientes e vejo isso como um indicador real do benefício da terapia para esses pacientes que transicionaram da fase pediátrica para a vida adulta.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Como MSL na Ultragenyx tenho tido oportunidade de visitar muitos médicos que tem manejado clinicamente pacientes adultos com XLH e tenho recebido como feedback que o medicamento tem concedido aos seus pacientes vários benefícios conforme foram observados nos clinicals trials, nos estudos de extensão, bem como no estudo de dados de vida real realizado na população brasileira e com pacientes que teriam sido excluidos por alguns critérios dos clinicals trials., Benefícios como a normalização da fosfatemia, a normalização da hiperfosfatúria, a normalização do PTH, a diminuição dos episódios de dor e um ganho enorme de qualidade de vida, pela melhoria da fadiga, da rigidez e da própria dor, sintomas que são muito presentes em pacientes com XLH., Negativo e dificuldades: Alguns relatos de efeitos adversos leves como vermelhidão no local da injeção.	3ª - Não	4ª - " Kamenicky P, Briot K, Brandi ML, et al. Benefício do burosumabe em adultos com, X- A hipofosfatemia ligada (XLH) é mantida com tratamento de longo prazo. RMD Open 2023, 9:e002676. doi:10.1136/, rmdopen-2022-002676 e Vaisbich, MH, et al. Dados do mundo real de adultos brasileiros com hipofosfatemia ligada ao X (XLH) tratados com burosumabe e comparação com outras coortes mundiais https://doi.org/10.1002/mgg3.2387 , , Quero compartilhar que as evidências clínicas encontradas nestes 2 artigos devem ser consideradas no processo de avaliação para o uso do Burosumabe em adultos com XLH, "	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É muito importante que o Ministerio de saude faça incorporação do Burosumabe para adultos com XLH, para que estes pacientes tenham uma melhor qualidade de Vida, o tratamento transforma a vida dos pacientes.	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 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Conheço uma pessoa adulta que utiliza o medicamento a alguns anos e após o início do tratamento com o medicamento obteve sucesso e deixou de utilizar cadeira de rodas ou mutetas para locomoção.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Uma amiga adulta que utiliza o medicamento, após o início do tratamento, obteve ótimos resultados e deixou de utilizar cadeira de rodas ou mutetas para locomoção, podendo hoje realizar atividades físicas diversas, frequentar academia e hoje pode desfrutar de mais qualidade de vida.	5ª - Uma amiga que utiliza o medicamento fornecido pelo SUS é pensionista e não tem condições de pagar pelo medicamento. Caso não tenha o medicamento fornecido pelo SUS, terá que abandonar o tratamento com o medicamento e pode voltar a ter que se locomover com o auxílio de cadeira de rodas ou mutetas.
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Atendimento de parente	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, esse medicamento é muito importante sim no sus, pois é um medicamento caro, e tem que ser sim para todas as idades, pois a doença não escolhe idade.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por ser a empresa fabricante da tecnologia avaliada, vide documento em anexo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Por ser a empresa fabricante da tecnologia avaliada, vide documento em anexo.	5ª - Por ser a empresa fabricante da tecnologia avaliada, vide documento em anexo.
Interessado no tema 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

I

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes com XLH precisam ter acesso a medicação que atua na causa da doença. Eliminando a perda de fósforo.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Eliminou dores, não fez mais cirurgias. Diminui cansaço e está uma pessoa mais ativa. Resultados dos exames de sangue e urina estão bons. Fácil administração. É somente uma aplicação sub cutânea., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Comprimidos de fósforo e calcitriol, Positivo: Nenhum. Não diminui dor. Continua tendo deformidade nos ossos., Negativo: Náuseas, efeitos colaterais, baixo índice de fósforo no sangue. Não elimina a dor. Precisa tomar grande número de comprimidos de fósforo diariamente. Deformidade óssea. Cirurgias de correção	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os tratamentos clínicos atuais não apresentam resultados satisfatórios, não controlam a doença. Progressão continua dos sintomas e deformidades	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora da dor, melhora da qualidade óssea , Negativo e dificuldades: Custo da medicação	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, mediante explanação nos itens anteriores	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Sou pediatra e mãe de uma paciente XLH. Minha filha iniciou o medicamento apenas há 4 meses visto o diagnóstico genético dela ter ocorrido apenas em setembro de 2024. Sua mutação foi aleatoria e de PHEX mutante o que retardou o diagnóstico genético que é uma das condições do PcDT. Como pediatra passei por vários profissionais pois percebi sua marcha alterada desde 2 anos. Ela tinha critérios clínicos , bioquímicos e radiológicos mas não genético até então. Isto retardou o uso do buroaumabe então as deformidades esqueléticas se instalaram. MAS após a medicação as dores melhoraram e os exames laborar melhoraram expressivamente. Pensando em evitar a evolução com sequelas em idade adulta jovem o medicamento é válido. Isso impacta no custo futuro do paciente para o sistema d e saúde. , Negativo e dificuldades: Resultado negativo nenhum. A única limitação é a questão do manuseio da medicação. Por exemplo, tem uma criança que se descola do interior do Amazonas para capital de 15/15 dias para uso da medicação. Isso impacta em falta escolar, deslocamento e custo para tal. Outro ponto é que minha filha teve diagnóstico em SP pois a acompanho lá desde os primeiros sinais. Preciso paralelamente acompanhar também, em, Manaus para conseguir renovar LME e receitas visto não aceitem essa documentação dos seus médicos assistentes principais. Entendo a burocracia mas se o sus é único o sistema deveria ser aprimorado para esses cruzamentos de dados e possibilidades	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Calcitriol e fósforo quelato. Usou por 2 anos. Apresentava muito efeito gastrointestinal e não apresentava nenhuma mudança de melhoria clínica ou laboratorial. Além do que também tinha uso 3 a 4 x ao dia o que dificulta muito a tolerabilidade do paciente principalmente as crianças que tendem a não compreender muito o processo, Positivo: melhoria das dores, melhoria laboratorial., Usa há 4 meses. Fizemos exs 10 dias sem, medicação nenhuma , 30 dias , 3 meses após medicação e é impressionante a melhora. Seu fósforo urinário normalizou , sua fosfatase alcalina também. Fatos que nunca ocorreram no uso das medicação es orais, Negativo: nenhum. zero efeito colateral	4ª - se precisar como mãe de paciente e profissional de saúde me coloco a disposição	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Desde a infância, passei por inúmeras consultas e fui levado a hospitais renomados no Brasil em busca de um diagnóstico. Fui submetido a botinhas ortopédicas, aparelhos de uso contínuo e dietas – mas nada resolvia minha deficiência. No auge do desespero, um médico sugeriu cirurgia, alertando que, sem ela, eu não voltaria a andar., , Minha família, mesmo humilde, fez de tudo para aliviar minha dor. Ainda hoje, sofro discriminação e preconceito. Essa dor não é só minha, mas de toda a minha família. Minha avó, recentemente, perguntou se eu lembrava de quando, na infância, dizia que queria morrer por causa das dores. E eu lembro., , Na vida adulta, o diagnóstico da minha filha trouxe de volta todos esses sentimentos. Dessa vez, eu sabia qual era a doença e como tratá-la, mas nem assim foi suficiente. Mesmo usando a medicação, minha filha precisou passar por cirurgias para corrigir as pernas. O médico disse que, se ela tivesse recebido o burosumabe 18 meses antes, seu próprio organismo teria corrigido a deformidade., , Hoje, estou praticamente inválido e, mais uma vez, recebo a medicação tardiamente. Não sei até quando, pois o tratamento foi judicializado e não duvido que nos privem até desse direito., , Fico triste ao saber que a Conitec foi desfavorável à inclusão do burosumabe. Em vez de rejeitar, deveriam negociar o custo e buscar erradicar a doença, como foi feito com a poliomielite. O que o SUS fará com essas crianças? Terão acesso a aconselhamento genético? A fecundação in vitro? Ou continuaremos permitindo que novas gerações enfrentem os mesmos desafios que enfrentei?,	2ª - Sim, como paciente, Qual: Tive experiência com o burosumabe, que é o medicamento em avaliação. Antes dele, utilizei outros tratamentos, como Sais de fósforo e calcitriol, K-phos Neutral e calcitriol, Burosumabe, e posso comparar os efeitos entre eles, , Positivo e facilidades: Com o burosumabe, senti melhora nas dores, menos rigidez nas articulações e mais disposição física. A frequência mensal da aplicação também é uma vantagem em comparação com comprimidos, que exigem horários rigorosos e podem ser difíceis de seguir devido a atividades do dia a dia ou até mesmo por esquecimento., , Negativo e dificuldades: No início do tratamento teve uma semana que senti dores um pouco elevada e reporte o caso para o fabricante. Foi apenas um evento específico, não houve nada depois.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Sais de fósforo e calcitriol, K-phos Neutral e calcitriol, , Positivo: Apenas percebi que K-phos Neutral trás menos diarreia devido a ser um produto industrializado ou invés de produto manipulado., Negativo: A quantidade de comprimidos diários e os horários rígidos sempre foram um desafio, além do alto custo da medicação. Não senti nenhum ganho significativo até o momento, talvez tenha apenas reduzido a velocidade do declínio clínico. Mesmo com o tratamento, continuo apresentando sequelas e sinto que, em breve, terei que colocar próteses na cabeça do fêmur. Além disso, enfrento dificuldades de locomoção e rigidez. Estou utilizando o Burosumabe há menos de 90 dias e, talvez, a medicação tenha chegado tarde para mim. Imagino que ainda estou deprimido por ter perdido parte da minha mobilidade e por sentir dores constantes devido às sequelas que ficaram. Também penso em como será passar por uma cirurgia caso precise de próteses, a qual já fui submetido na infância. Além disso, continuo sentindo dores, reflexo da baixa efetividade dos medicamentos anteriores., ,	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Burosumabe trata a doença, regulando a perda de fósforo do paciente. Dando qualidade de vida.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Não gerou mais deformidade nos ossos. Paciente não sente mais dores nas pernas, está mais bem disposto para realizar as tarefas. Melhora no quadro clínico e nos resultados dos exames de sangue. sem efeitos colaterais., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: solução fosfatada e calcitriol, Positivo: pequeno aumento no fósforo no sangue, Negativo: A solução fosfatada e os comprimidos de fósforo causam diarreia. Não eliminam a dor. Dificuldade para tomar o número elevado de comprimidos todos os dias. Preciso fazer cirurgias.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Alfalcidol, Positivo: Pequena melhora em dor, baixa resposta. , Negativo: Falta de redução de fraturas, falta de melhora em dor e humor	4ª - Não	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa medicação por uma melhora de condições de saúde deve ser incorporada ao sus para que seja de acesso para todos os que necessitam.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora nas dores, melhora no crescimento infantil e melhora na posição dos ossos da perna, Negativo e dificuldades: Não percebi pontos negativos	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhora na qualidade de vida, dor ossea e previne fraturas.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora das dores, fraturas, deformidades ósseas, melhora da qualidade de vida. E crescimento em crianças. , Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Solução de fósforo e calcitriol , Positivo: Melhora parcial com muitos efeitos colaterais. , Negativo: Desistem do tratamento em criança.,	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os pacientes com XLH precisam ter acesso a medicação que atua na causa da doença. Eliminando a perda de fósforo.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Eliminou dores, não fez mais cirurgias. Diminui o cansaço e está uma pessoa mais ativa. Resultados dos exames de sangue e urina estão bons. Fácil administração. É somente uma aplicação sub cutânea., , Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Comprimidos de Fósforo e Calcitriol , Positivo: Nenhum. Não diminui dor. Continua tendo deformidade nos ossos., Negativo: Náuseas, efeitos colaterais, baixo índice de fósforo no sangue. Não elimina a dor. Precisa tomar grande número de comprimidos de Fósforo diariamente. Deformidade óssea. Cirurgias de Correção.,	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhoria para assistência ao paciente .	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Redução dos efeitos adversos , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumab, Positivo e facilidades: Relato de melhoria do paciente. A administração da médica ao também não apresenta dificuldades, Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A hipofosfatemia ligada ao cromossomo X é uma condição desafiadora que, sem o diagnóstico e tratamento adequados na infância, pode levar a deformidades significativas, dor crônica e fadiga debilitante na vida adulta. No Brasil, muitos pacientes do Sistema Único de Saúde (SUS) não têm acesso a um diagnóstico precoce, o que sublinha a necessidade urgente de tratamentos eficazes como o Burosumabe., , Benefícios do Burosumabe, Eficácia comprovada: Burosumabe tem demonstrado eficácia em melhorar os níveis de fosfato sérico e a reabsorção renal de fosfato, aspectos críticos para mitigar a progressão das deformidades ósseas., Melhoria na qualidade de vida: Pacientes relatam reduções significativas na dor e fadiga, além de melhorias na função física e na capacidade de locomoção, levando a uma qualidade de vida substancialmente melhorada., Importância da continuidade: A continuidade do tratamento é essencial para manter os benefícios clínicos, conforme estudos indicam que interrupções podem levar à perda dos ganhos, mas são recuperáveis com a retomada do tratamento., Impacto nos pacientes do SUS, Para pacientes que não tiveram acesso a um diagnóstico precoce, como os seus, o burosumabe oferece uma nova esperança. Mesmo em estágios avançados, o tratamento pode proporcionar alívio significativo dos sintomas e melhoria na qualidade de vida. Este medicamento pode ser uma chave para transformar a trajetória de saúde destes pacientes, minimizando a dor e a fadiga e promovendo a função física., , Em suma, o Burosumabe representa uma intervenção médica valiosa para pacientes adultos que sofrem de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X, especialmente aqueles que, como seus pacientes, não tiveram acesso a um tratamento adequado desde a infância. A introdução e manutenção deste tratamento no SUS poderiam transformar vidas, oferecendo uma segunda chance de bem-estar e funcionalidade.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe na faixa pediátrica. , Positivo e facilidades: Melhora da dor crônica e que não melhorava com nenhum outro medicamento, melhora da distância de caminhada sem dor, diminuição de complicações renais e odontológicas. , Negativo e dificuldades: Falta de acesso ao tratamento aos pacientes adultos, necessidade de judicializar sempre que surge um novo caso e conhecimento dos profissionais de áreas gerais sobre a doença.	3ª - Não	4ª - SILVA, João, PEREIRA, Maria, OLIVEIRA, Lucas. Real-world data of Brazilian adults with X-linked hypophosphatemia (XLH) treated with burosumab and comparison with other worldwide cohorts. Journal of Rare Diseases, São Paulo, v. 10, n. 2, p. 123-130, 2023.	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 03/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, No outro tratamento disponível para maiores de 18 anos, não há muita mudança, sequer melhora dos sintomas do XLH, gostaria de conseguir tomar a Borusomabe para ter qualidade de vida, sem dores e problemas dentários	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Calcitriol e Cápsula de Fosfato , Positivo: Não houve melhora nos sintomas de XLH, nos exames não constou diferença também , Negativo: O tratamento de Calcitriol e Cápsula de Fosfato não trouxe melhoras nos sintomas do XLH	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Apesar de ainda não ter tido experiência clínica com o medicamento avaliado, a incorporação da nova tecnologia permitirá aos usuários acometidos uma opção terapêutica.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pela vasta experiência com pacientes de doenças raras, é extremamente importante essa incorporação medicamento. Causará impacto na vida dos pacientes que conseguirem acesso por esse caminho. Via SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Diante das informações e estudos esse medicamento dar uma sobre vida de longevidade ao paciente	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com a incorporação da medicação no SUS, podemos atender um número maior de pacientes, ainda que em estágios iniciais, facilitando a adesão, minimizando os impactos atuais e prevenindo complicações no futuro.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: O medicamento atua na fisiopatologia da doença, melhorando a condição clínica de crescimento ósseo, reduzindo as deficiências físicas (principalmente baixa estatura e deformidades nos membros inferiores) e calcificação insuficiente de ossos e dentes, reduzindo a incidência aumentada de fraturas e abscessos dentários. Além de reduzir as dores físicas importantes e muitas vezes incapacitantes que esses pacientes sofrem, além do sofrimento psicológico e do impacto direto em sua produtividade econômica e no desenvolvimento de sua vida profissional e pessoal. Inclusive agindo para que estes indivíduos tenham menos complicações associadas a doença na idade adulta. , Negativo e dificuldades: As dificuldades inerentes a liberação do uso do medicamento atualmente, com necessidade de laudos, processos, ajuste de idade, além da necessidade do deslocamento para grandes centros a fim de conseguir a medicação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Solução fosfatada, as vezes com necessidade de doses altíssimas e reposição de minerais. , Positivo: Pouca evolução nos exames laboratoriais, com necessidade de doses cada vez maiores, além de pouco impacto na sobrevida , Negativo: Alterações gástricas e esofágicas, pouca adesão devido custo, dificuldade de deglutição em crianças menores	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu acho muito importante que outras pessoas tenha acesso ao medicamento, pois tem ajudado muito meu filho no tratamento do problema	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Ele ajudou muito na saúde do meu filho que toma essa medicação, inclusive no fortalecimento dos ossos, Negativo e dificuldades: Não tem	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Calcitriol,, Positivo: Paleativo, Negativo: Não tem	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O uso do Burosumabe trouxe ganhos de qualidade de vida, aumentando inclusive a frequência da minha filha na escola, devido a não sentir mais dores, não realizar mais cirurgias. A doença nela está melhor controle e redução das sequelas.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Sou mãe e cuidadora de paciente com XLH que atualmente está em uso do Burosumabe. Essa medicação mudou o curso da doença na minha filha. Ela não sente mais dores, não tem evolução de deformidades ósseas, sente-se disposta, ativa, melhora nos resultado de exames de sangue, urina e avaliação clínica. Também tem a facilidade do paciente em aderir ao tratamento, pois se trata de apenas uma aplicação. Em contra partida, o outro tratamento disponível no SUS para adultos são mais de 30 comprimidos de fósforo por dia. , Negativo e dificuldades: Não vivenciamos nenhum resultado negativo com o Burosumabe. Tivemos dificuldade de acesso ao medicamento.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Comprimidos de fósforo, solução fosfatada e calcitriol, Positivo: pequena melhora no fósforo no sangue. , Negativo: Minha filha sentia dores constantes, principalmente nas pernas. Tinha náuseas e diarreia com o uso do fósforo. As pernas tinham deformidades, não ficavam alinhadas. Marcha não alinhada ao caminhar e tombos frequentes ao correr. Parâmetros de exames de sangue e urina fora do esperado. Não controle da doença.	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É muito importante ter no sus para os adultos, pois para criança já é liberado esse medicamento faz toda a diferença no tratamento dessa doença que não tem cura. Esse medicamento ajuda a controlar a doença e melhora muito a qualidade de vida dos pacientes.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Melhora muito significativa no tratamento da doença, melhora muito a qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo só positivo	3ª - Sim, como paciente, Qual: Calcitriol e fosfato, Positivo: Nenhuma melhora, não tem ponto positivo , Negativo: Esse medicamento não faz efeito nenhum não ajuda em nada na doença	4ª - Minha filha faz uso do burosumabe a doença está controlada, melhorou muito a vida dela principalmente ajuda nas dores que são praticamente 24hr por dia	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tive oportunidade, no internato, de observar pacientes com XLH em uso do Burosumabe que apresentou melhora significativa nos parâmetros bioquímicos e radiológicos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que a possibilidade de tratamento com o burosumabe pode impactar positivamente a vida de adultos portadores de XLH, prevenindo dores crônicas mesmo naqueles como eu, portadores de sequelas da doença. Promovendo assim uma melhor qualidade de vida na idade adulta e na velhice. Livre de limitações sociais e de mobilidade. Sobre o custo da medicação ser onerosa para o Estado, acredito que sendo o XLH uma doença rara, a incidência é pequena na população, e portanto não irá significar muito junto aos cofres públicos, ainda mais com a grande arrecadação de impostos que existe no país.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Minha experiência é com o burosumabe de 10 mg,no tratamento da minha filha de 4 anos., Positivo e facilidades: Minha filha antes de usar o burosumabe não tinha força muscular, apresentava inúmeras quedas ao caminhar, sentia dores e apresentava arqueamento importante nos membros inferiores. Há praticamente 2 anos e meio, em uso do burosumabe, ela já apresenta melhora significativa, tanto clinicamente, quanto laboratorialmente. Além da melhora nas funções de vida diária. Um tratamento que poderá livrá-las das sequelas as quais eu não tive a oportunidade de evitar, pois a medicação não existia. , Negativo e dificuldades: A falta de um medicamento adequado, no meu caso, me acarretou 17 cirurgias ortopédicas e inúmeras sequelas sociais, físicas e motoras. Se eu tivesse a oportunidade de usar o BUROSUMABE certamente minha qualidade de vida seria outra hoje em dia, outra experiência negativa foi em relação à minha filha de 4 anos, que mesmo sob prescrição do medicamento, por alguns meses não teve a medicação disponível pelo SUS. Atrasando o tratamento e desenvolvimento motor dela.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Tive experiência na infância, usando fósforo oral e também com inúmeras cirurgias ortopédicas , Positivo: nada positivo, Negativo: Tive experiência na infância, usando fósforo oral, que era administrado a cada 2 horas (um dificultador) e trazia desconfortos abdominais, como náuseas, vômitos e diarreia, Um medicamento que não foi eficaz, pois apesar do uso, precisei submeter-me a 17 cirurgias ortopédicas (traumáticas) e apresento sequelas na estatura e na mobilidade. Também administrei o fósforo na minha filha ainda bebê, sendo difícilimo a aceitação dela, pois o gosto é intragável, causava diarreia impossibilitando vida social..	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acho de extrema importância a incorporação do remédio no SUS para pacientes adultos visto os relatos de pacientes que relatam a melhora com o uso do fármaco. Eu como portadora do XLH espero ansiosamente pela liberação para todos os pacientes que necessitam	2ª - Não	3ª - Sim, como paciente, Qual: Calcitriol, Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo e qualquer avanço na ciência médica deve ser incorporado ao SUS . Todos devem ter acesso aos avanços na área de saúde	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora osteometabolica , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento Burosumabe deve ser inserindo no SUS devido seu alto custo para o paciente adquirir, impossibilitando assim as famílias mais desprovidas de numerários terem acesso ao mesmo e o medicamento em questão faz com que as dores dos pacientes desapareçam com a administração dele.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: A paciente sente muitas dores e com o medicamento essas dores desaparecem, Negativo e dificuldades: Quando a paciente fica sem esse medicamento, a mesma sente muitas dores	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/02/2025	1ª - Não tenho opinião formada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Possibilitar o melhor tratamento e conduta para esses pacientes	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deveria ter mais medicações, médicos, orientações em relação para com todas pessoas com deficiência.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Burusomab , Positivo e facilidades: No momento nenhum, pois estou em falta há quase 2 anos , Negativo e dificuldades: A falta de acesso, msis profissionais para atender a demanda	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com a incorporação do Burosumabe ao SUS, o acesso ao tratamento se torna mais fácil para todas as idades. O raquitismo hipofosfatêmico não tem cura, e pessoas como eu dependem desse medicamento para melhorar a qualidade de vida. Sem ele, enfrentamos dificuldades para caminhar, praticar esportes e realizar atividades do dia a dia. Com a liberação do Burosumabe, pacientes com essa condição terão a oportunidade de viver com mais autonomia e bem-estar.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Eu percebi uma melhora nas dores na perna que eu sentia devido ao raquitismo hipofastemico ligado ao cromossomo X, quando eu fiquei sem o uso do medicamento, eu percebi que as dores voltavam, alem da dificuldade de fazer longas caminhadas, Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Pastilha de fósforo e Cálcio, calcitriol e vítimas D, Positivo: Com o uso do medicamento de pastilha de fósforo e cálcio e do calcitriol, eu não notei muitas melhorias, muitas vezes só perdia com que eu pudesse fazer caminhas curtas sem sentir muitas dores., Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pela qualidade de vida dos pacientes com XLH.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumab, Positivo e facilidades: Aumento na qualidade de vida, redução de dores, maior mobilidade., Negativo e dificuldades: Nao identifico resultados negativos.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Calcitriol e suplementação de fósforo , Positivo: Não identifico resultados positivos, Negativo: A necessidade grande no volume de medicação diária, mal estar gástrico pelo uso da medicação, possibilidades de pedras no rim..	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é extremamente importante pois ele é o unico eficaz no tratamento do XLH, tanto de adultos como de crianças.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Não sentiu as dores na perna ao caminhar não sentiu fadiga e se sentiu muito.mais disposto, tenho sensação que até o modo de caminhar melhorou, Negativo e dificuldades: Nenhuma, somente a falta do medicamento é negativo	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Vitamina D w fosforo porém não houve melhorias, Positivo: Nenhuma, Negativo: Nenhuma	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Este medicamento é muito bom no tratamento de crianças então acredito que em adultos também terá um bom resultado na melhora da qualidade de vida do paciente	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Bom resultado, Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Solução fósforo , Positivo: Não teve muitos resultados positivos, Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento é muito importante e o único realmente eficaz no tratamento do XLH, tanto de adultos como de crianças.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Nao sentiu mais as dores nas pernas para caminhar , Não sentiu fadiga se sentindo mais disposto , Trazendo uma nova realidade para a vida dele, Nao houve mais desvio dos ossos das pernas , Permanecendo sem arqueamento , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Sim vitamina d e fósforo em altas doses , Sem melhorias e trazendo danos colaterais ao organismo , Positivo: Com a vitamina d e fósforo não vimos nada de positivo , Negativo: Nenhum , Apenas sem resultado efetivo e risco de danos colaterais	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Empresa 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os resultados da experiência de uso vão de encontro ao evidenciado no Relatório Técnico da Conitec, no qual as evidências avaliadas demonstraram eficácia do burosumabe.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe., Positivo e facilidades: A Secretaria do Estado da Saúde do Estado do Piauí disponibiliza atualmente o medicamento Burosumabe para 04 (quatro) pacientes. os quais tem bons prognósticos, alcançando as metas terapêuticas desejáveis.Conforme relatório técnico da CONITEC, as evidências avaliadas indicam que o burosumabe demonstrou eficácia e segurança, sendo uma terapia eficaz no tratamento da HLX. Ele promoveu melhorias nos níveis de fósforo sérico, na reabsorção renal de fósforo e na redução da atividade óssea anormal, resultando em uma diminuição na gravidade do raquitismo. Quanto ao perfil de segurança, o medicamento pode ser considerado adequado, uma vez que não aumentou de maneira significativa o risco de eventos adversos gerais ou graves quando comparado ao controle. No entanto, é relevante mencionar a ocorrência de reações no local da administração e artralgia. A qualidade da evidência variou entre certeza baixa e muito baixa para os desfechos avaliados. O valor de RCUI foi estimado em aproximadamente R\$ 2,3 milhões/QALY, e o impacto orçamentário incremental no período de 5 anos (2025-2029) foi calculado em cerca de R\$ 783,4 milhões., Negativo e dificuldades: Não foram verificados resultados negativos e dificuldades a partir da experiência com o medicamento em avaliação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Não tenho experiência com outras tecnologias, uma vez que, conforme relatório da Conitec, não foram detectadas na literatura tecnologias potenciais para o tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos., Positivo: Não tenho experiência com outras tecnologias., Negativo: Não tenho experiência com outras tecnologias.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS, Muito caro	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora de dor, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Fosforo, Positivo: Pouco ou nenhum resultado, Negativo: Intolerancia gastrointestinal	4ª - Nao	5ª - Nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: A criança deixou de ter as pernas tortas e parou de sentir dores. Está se desenvolvendo bem e já até cresceu., Negativo e dificuldades: A dificuldade em conseguir o medicamento.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado no SUS, para todos os pacientes q utilizam o medicamento no tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação desta medicação no PCDT do SUS para esta doença é de suma importância para os pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Sem mais a declarar tecnicamente.	5ª - Sem mais a declarar ou acrescentar.
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A hipofosfatemia ligada ao cromossomo X é uma doença rara, progressiva e debilitante que afeta a mineralização óssea e está associada a dores crônicas, fraturas e redução significativa da qualidade de vida dos pacientes., , Estudos clínicos mostram que o burosumabe é capaz de melhorar os níveis séricos de fósforo, promover a mineralização óssea e reduzir os sintomas associados à doença, melhorando a qualidade de vida dos pacientes. A introdução do burosumabe no SUS representa um avanço significativo no manejo dessa doença rara, oferecendo aos pacientes acesso a uma terapia eficaz e baseada em evidências científicas.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Pacientes com raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X apresentaram ótima resposta à medicação, com melhora nos exames laboratoriais e nas deformidades em membros inferiores., Negativo e dificuldades: Nenhum efeito negativo	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Tratamento convencional para raquitismo, com calcitriol e fosfato, Positivo: , Negativo: Com o tratamento convencional, utilizando calcitriol e fosfato, muitos pacientes persistem com deformidades importantes.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Doenças raras são muito difíceis de se chegar a um diagnóstico e tratamento, e são muitas doenças raras que para se obter o tratamento é necessário a judicialização,solicitar um processo para obtenção do medicamento. Nos pacientes adultos com XLH, temos diagnóstico e tratamento para patologia. A facilidade de acesso do Burosumabe para os pacientes, leva o paciente para uma melhora no quadro da doença e uma melhor qualidade de Vida. Acredito ser menos oneroso ao Sistema de Saúde , e a redução dos custos diretos e indiretos quando há uma facilidade de tratamento, quando ocorre a aquisição do medicamento pelo Ministerio da Saude., ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicacao indispensavel aos pacientes que precisam!	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora da dor, da funcionalidade, da fosfatemia, da nefrocalcinose , Negativo e dificuldades: Preço!	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Calcio e fosfato, Positivo: Melhora dos niveis de calcio e fosforo, Negativo: Nefrocalcinose com doenca renal cronica, nefrolitiasis	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A qualidade de vida ao usa-lo é percebida ainda nos primeiros meses. O paciente poderá ter uma vida sem dores (melhora na qualidade de vida).	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Meu filho já usou Fosfato em líquido e em comprimido, usou Calcitriol, porém foi uma medicação apenas paliativa, não havendo melhora ao usá-las. Sentia dores e mal andava. Após o uso do Burosumabe a qualidade de vida dele melhorou significativamente, diminuiu as dores e tem uma vida melhor., Positivo e facilidades: Antes do uso do Burosumabe meu filho sentia muitas dores e mal conseguia andar, após o uso desta medicação sua vida melhorou significativamente., Negativo e dificuldades: Com o fosfato e o Calcitriol meu filho reclamava constantemente de dor no estômago. Tinha muitas diarreias.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Fosfato líquido e comprimido, calcitriol, zinco e vitamina D3., Positivo: Nenhuma melhora., Negativo: Dor no estômago, dor nas pernas e diarreia.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Não sentiu dores nas pernas ao caminhar não sentiu fadiga e se sentiu mais disposto , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Desde meu diagnóstico aos 1 ano e meio realizei tratamentos convencionais e cirúrgicos difíceis, me afetavam no dia a dia, psicologicamente, fui zombada na escola várias vezes, com o passar do tempo decidi fazer medicina para justamente ajudar os pacientes com XLH, desde que entrei na faculdade venho ensinando, divulgando, fechando novos diagnósticos, conhecendo cada dia mais o que esta doença pode cursar, há casos que me deixam tristes, situações muito avançadas, tendo minhas duas perspectivas afirmo o Burosumabe sem dúvidas melhor tratamento e o mais adequado, trago tantos benefícios e previne novas sequelas. Deixo anexado meu relato de caso qual foi premiado pelo CFM no concurso raros em 2023.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Com o Burosumabe tenho experiência como paciente e profissional da saúde., Positivo e facilidades: Com o Burosumabe obtive uma excelente adesão, me trouxe vida novamente, alívio das dores, muita qualidade de vida, normalizou meus níveis de fósforo, melhorou minha qualidade de massa óssea, com a melhora da mobilidade pude me desenvolver com excelência na vida acadêmica. , Eu sou acadêmica de medicina na UFPR, acompanho outros pacientes com XLH, noto a grande diferença dos tratamentos, maioria dos pacientes não fizeram a adesão do tratamento com Burosumabe devido processos negados, percebo que com o tratamento convencional não há nenhum resultado positivo., Negativo e dificuldades: Como paciente utilizando o Burosumabe não tenho pontos negativos a descrever.	3ª - Sim, como paciente, Qual: Suplementação com calcitriol e fosfato., Positivo: Não há nenhum ponto positivo., Negativo: Como paciente durante a minha infância e adolescência tentei suplementar várias vezes, nunca normalizava os níveis de fósforo, só piorava minha qualidade de vida, meus ossos entortavam mais, precisei de 12 cirurgias para tentar corrigir e mesmo assim os resultados foram negativos além disso tinha uma baixa adesão ao tratamento convencional devido ter uma intolerância gástrica grande ao fósforo com irritação intestinal. , Como profissional da saúde enfrentamos dificuldades de realizar e proporcionar tratamento de equidade aos pacientes devido o governo não liberar e nem aprovar este tratamento, há estudos suficientes que mostram excelentes resultados, notamos na prática clínica o sofrimento com o tratamento convencional. Tratamento convencional totalmente inviável prescrever, não há nenhum benefício.	4ª - Relato de caso em anexo.	5ª - Não.
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Evitar que o paciente evolua para uma doença renal crônica ou outras comorbidades , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento vai trazer uma quantidade de vida aos pacientes em questão e uma vida mais digna e autonomia para essas pessoas	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Mais qualidade de vida aos pacientes , Negativo e dificuldades: Não houve	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Cirúrgico porém bem complicado para a população em geral , Positivo: São muito eficazes porém escassa mão de obra profissional capacitada e ferramentas ofertadas pelo Sus , Negativo: Dificuldade em ter profissionais capacitados	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Devemos ter alternativas mais modernas para essa doença que é rara.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhoria na rigidez corporal e função física, e relato de redução de dor e fadiga., Negativo e dificuldades: Não relatado.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Calcitriol, Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhora significativa de qualidade de vida, fadiga, cansaço, melhora do déficit de crescimento	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumab, Positivo e facilidades: Controle de hipofosfatemia e melhora significativa de qualidade de vida, , Negativo e dificuldades: Acesso à medicação aos que necessitam.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Metabolitos/ análogo de fosfato e Vit D, Positivo: Não se aplica , Negativo: Terapia de reposição, difícil manejo e a adesão tem que ser muito bem incentivado	4ª - - Brandi ML, Jan de Beur S, Briot K, Carpenter T, Cheong HI, Cohen-Solal M, Crowley RK, Eastell R, Imanishi Y, Imel EA, Ing SW, Insogna K, Ito N, Javaid K, Kamenicky P, Keen R, Kubota T, Lachmann RH, Perwad F, Pitukcheewanont P, Portale A, Ralston SH, Tanaka H, Weber TJ, Yoo HW, Sun W, Williams A, Nixon A, Takeuchi Y. Efficacy of Burosumab in Adults with X-linked Hypophosphatemia (XLH): A Post Hoc Subgroup Analysis of a Randomized Double-Blind Placebo-Controlled Phase 3 Study. Calcif Tissue Int. 2022 Oct, 111(4):409-418. doi: 10.1007/s00223-022-01006-7. Epub 2022 Aug 4. PMID: 35927518., - https://doi.org/10.1093/jbmrpl/ziad001 ,	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Creio q uma maior divulgação dos resultados positivos e esclarecer a população desse tratamento, minha amiga só conseguiu pq ela estudou bastante sobre o assunto,é uma pessoa esclarecida,daí,quem não tem conhecimento fica sem nem saber desse tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser disponibilizado para adultos também	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Meu Estado, Santa Catarina, incorporou a distribuição do medicamento e o tratamento tem dado a meu filho resultados muito bons.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Atraso na entrega do medicamento.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Calcitriol e Solução de Fosfato., Positivo: Paliativo. , Negativo: Não houve uma melhora na qualidade de vida de meu filho. Com o Burosumabe ele está tendo resultados muito bons no crescimento, diminuiu as dores ósseas entre outras situações condizentes com a doença.	4ª - Como responsável, estou disponível para auxiliar e dar meu depoimento a respeito do tratamento com Burosumabe.	5ª - Recebemos a medicação via SUS /SC e senfo assim não nos envolvemos com a questão econômica do medicamento.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para as pessoas com essa condição é muito importante que seja incorporado no SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é extremamente eficiente no tratamento da doença, interrompendo o processo degenerativo. Não há outro medicamento capaz de tratar esses pacientes. O valor é demasiadamente elevado, impossibilitando os pacientes de adquiri-lo.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: burosumab, Positivo e facilidades: controle da doença, eliminação total dos sintomas e sequelas., Negativo e dificuldades: valor elevado no varejo e iscasas.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Vide em anexo o documento que representa a opinião dos membros do Departamento de Metabolismo Ósseo e Mineral.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe., Positivo e facilidades: Posologia fácil, embora o uso seja por meio de injeção subcutânea a aplicação é intervalada em 4 semanas. Melhora do quadro de dor e qualidade de vida., Negativo e dificuldades: A experiência com a medicação é pequena, mas não tive experiência negativa.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Formula de sais de fósforo, calcitriol., Positivo: Melhora do quadro alérgico bem como das deformidades óssea em longo prazo., Negativo: Intolerância gastrointestinal, nefrocalcinose, hiperparatireoidismo secundário, manutenção da hipofosfatemia e dificuldade para adesão.	4ª - Vide em anexo o documento que representa a opinião dos membros do Departamento de Metabolismo Ósseo e Mineral.	5ª - Não.
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Hipofosfatemia, Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um remédio muito importante para ajudar a vida de muitos pacientes que precisam	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Importante para pacientes, que na maioria não possui condições financeiras para o alto custo.	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento importantíssimo para uma condição rara e muito inacessível aos portadores. É de extrema importância esse auxílio.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora da dor óssea. Redução de fraturas. Melhora na qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Custo elevado	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Reposição de fósforo, vitamina D , Positivo: Pouco controle da doença , Negativo: Baixa aderência. Náuseas	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora da hipofosfatemia, Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A hipofosfatemia ligada ao cromossomo X é uma doença rara, progressiva e debilitante que afeta a mineralização óssea e está associada a dores crônicas, fraturas e redução significativa da qualidade de vida dos pacientes., A introdução do burosumabe no SUS representa um avanço significativo no manejo dessa doença rara, oferecendo aos pacientes acesso a uma terapia eficaz e baseada em evidências científicas.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe , Positivo e facilidades: melhora dos níveis séricos de fósforo, promove a mineralização óssea e reduz os sintomas associados à doença, melhorando a qualidade de vida dos pacientes., Negativo e dificuldades: Nenhum resultado negativo	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Fosfato em comprimido ou solução , Positivo: Elevação muito discreta dos níveis séricos de fósforo , Negativo: São necessárias várias doses ao dia, não normaliza os níveis de fósforo, muitos efeitos colaterais	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumab, Positivo e facilidades: melhora os níveis séricos de fósforo, promove a mineralização óssea e reduzir os sintomas associados à doença, melhorando a qualidade de vida dos pacientes., , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Este medicamento é muito eficaz e importante para os pacientes com XLH, tanto crianças como adultos, retirando as dores ósseas e melhorando a qualidade de vida e as outras sequelas da doença.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Os resultados foram positivos pois as dores cessaram, Negativo e dificuldades: Nenhuma experiência negativa com o Burosumabe	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A melhora do acesso a medicação possibilita o tratamento de adultos que muitas vezes apresentam dores incapacitantes. Melhorando assim a qualidade de vida e a inserção social.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora importante da dor e consequentemente da qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Acesso a medicação	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Reposição com fósforo e calcitriol, Positivo: Discreta melhora da dor, Negativo: Aumento dos efeitos colaterais como nefrocalcinose e hiperparatireoidismo	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Este tratamento é o que há de melhor para esta condição, tanto é assim que já está incorporado ao SUS para pacientes até antes de completar 18 anos. Portanto, pacientes com 18 anos ou mais merecem ter acesso ao mesmo tratamento ou ainda evitar a sua interrupção quando completar esta idade.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: O burosumabe é uma terapia inovadora para hipofosfatemia ligada ao X (XLH), uma doença genética que afeta os níveis de fosfato e a saúde óssea. Estudos clínicos, como o de Insogna et al., evidenciam que, após 24 semanas de tratamento, 94,1% dos pacientes alcançaram níveis normais de fosfato sérico, comparados a 7,6% no grupo placebo. Além disso, houve um aumento de 16,8 vezes na taxa de cura de fraturas nos pacientes tratados. O burosumabe tem um perfil de segurança favorável, com eventos adversos leves a moderados semelhantes ao placebo, sem evidência de hipercalcemia ou progressão de nefrocalcinose. A inclusão do burosumabe no SUS para adultos com XLH é essencial para proporcionar um tratamento eficaz e seguro, melhorando a saúde e a qualidade de vida desses pacientes, além de prevenir complicações graves associadas à condição., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Apenas com reposição de cálcio e outros que não tratam de forma satisfatória as causas da doença e não evita sua progressão , Positivo: Nada de forma a ser efetivamente considerada., Negativo: Ausência de resultados satisfatórios e a progressão da doença	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ter	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Buromosumab, Positivo e facilidades: Existe um real benefício no uso desse medicamento para doenças relativamente comuns, Negativo e dificuldades: O preço muitas vezes é impeditivo para o paciente	3ª - Não	4ª - Artigo: Benefit of burosumab in adults with X-linked hypophosphataemia (XLH) is maintained with long-term treatment (http://dx.doi.org/10.1136/rmdopen-2022-002676), Artigo: Real-world data of Brazilian adults with X-linked hypophosphatemia (XLH) treated with burosumab and comparison with other worldwide cohorts (https://doi.org/10.1002/mgg.3.2387),	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do Burosumabe no arsenal terapêutico, sobretudo para aqueles casos em que as medidas iniciais não são suficientes contribui para que nossos pacientes com essa condição rara possam ter uma qualidade de vida melhor e um tratamento digno.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Melhora considerável do quadro clínico de pacientes com hipofosfatemia ligada ao cromossomo X tanto adultos quanto adolescentes., Negativo e dificuldades: Custo extremamente elevado para o paciente bancar por conta própria e dificuldades jurídicas para se conseguir via liminar judicial	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Suplementação de vitamina D e fósforo, Positivo: Atenuam os efeitos do curso natural da doença, Negativo: Alguns pacientes não conseguem ter seu quadro clínico totalmente controlado apenas com suplementação de fósforo e vitamina D	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para que todos os acometidos tenha o direito ao uso.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Há Literatura comprovando o benefício da droga imunobiológica (burosumabe) na doença. Logo, é dever do Estado garantir o acesso ao povo brasileiro que a necessita. Além disso, outras doenças com tratamento de alto custo possuem suas drogas liberadas, portanto não podemos selecionar entre as doenças qual é digna de tratamento ou não.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pela gravidade da sit? dis ppptadores desta patologia e perspectiva que seu uso.precoce possa impefdir graves sequelad.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao tenho contribuição neste nivel	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A hipofosfatemia ligada ao sexo é uma doença rara e debilitante, quer seja pelo comprometimento muscular e fratura de fragilidade. A medicação em discussão pode trazer qualidade de vida aos pacientes nessa condição.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Benefit of burosumab in adults with X-linked, hypophosphataemia (XLH) is maintained with long-- term treatment. Kamenicky P, et al. RMD Open 2023, 9:e002676. doi:10.1136/rmdopen-2022-002676, 1, Real-- world data of Brazilian adults with X-- linked, hypophosphatemia (XLH) treated with burosumab and comparison with other worldwide cohorts. Mol Genet Genomic Med. 2024, 12:e2387.	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um tratamento essencial para quem sofre desta doença. O tratamento é caro e de difícil acesso na saúde pública.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento importante para a evolução do paciente. E que o SUS deve incorporar esse medicamento.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O burosumabe é um medicamento que pode ser usado para tratar a hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos. A hipofosfatemia ligada ao cromossomo X é uma doença rara que afeta os ossos e a qualidade de vida dos pacientes. Todo medicamento que possa auxiliar na redução das dores e melhora da qualidade de vida deve ser oportunizado a todos os cidadãos que convivem com essa condição.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Sou Personal Trainer e tenho uma cliente com faz uso dos suplementos de fósforo para tratar a hipofosfatemia ligada ao cromossomo X. , Positivo: O suplemento fósforo não tem se mostrado eficaz para o tratamento, sendo necessário estudar o uso de novas estratégias para redução das dores e melhora da qualidade de vida de todos os pacientes que sofrem desta condição., Negativo: O suplemento fósforo não tem se mostrado eficaz para o tratamento, sendo necessário estudar o uso de novas estratégias para redução das dores e melhora da qualidade de vida de todos os pacientes que sofrem desta condição.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Eu como responsável por uma criança que faz uso da medicação e tbm fui diagnosticada com a doença, anseio fazer o tratamento para uma melhor qualidade de vida, assim como vejo resultados positivos na vida do meu filho, mas que o SUS não faz o fornecimento para adultos.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Burosumabe., Positivo e facilidades: Melhora dos sintomas da doença., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Estudos com bom nível de evidência e recomendação quanto aos dados de segurança e eficácia sobre o uso de burosumabe em pacientes adultos com XLH.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Burosumabe, Positivo e facilidades: Importante melhora clínica do paciente (redução das dores crônicas, melhora da mobilidade, do equilíbrio, da qualidade de vida), Normalização das concentrações séricas e urinárias de fosfato, concentrações séricas de calcitriol e fosfatase alcalina., Negativo e dificuldades: Morosidade de acesso do burosumabe pelo SUS e frequente desabastecimento do medicamento, obrigando os pacientes a ficarem períodos longos sem a medicação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Calcitriol, sais de fosfato, Positivo: Melhora parcial das dores crônicas e da força muscular., Negativo: Não corrige as concentrações séricas e urinárias de fosfato., Evolução das deformidades esqueléticas, necessidades de intervenções cirúrgicas ortopédicas para correção das deformidades.	4ª - Sim. Envio documento.	5ª - Não
Interessado no tema 04/02/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Há um grande número de doenças raras que não possuem diagnóstico e tratamento , levando ao sofrimento muitas pessoas . Para o XLH temos diagnóstico e tratamento com burosumabe , A incorporação desta tecnologia facilitara o acesso ao tratamento impactando a qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

I

I