Contribuições da Consulta Pública - Formulário ATS - Elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos variante não-F50... - 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:
Interessado no tema **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para melhor qualidade de vida dos pacientes que precisão	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Estamos falando sobre saúde ., Crianças , jovens em geral , Vidas em jogo ., Não só dos pacientes, mais famílias que vivem nesta luta ., Tudo oque agente que e a incorporação no SUS do medicamento., Sou mãe de um menino de 6 anos que tem uma vida pela frente , sonhos a ser realizados ...., Queremos e precisamos dar uma vida melhor para eles ., São humanos !	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação que já faço uso e melhorou muito minha condição de saúde, me deu vida nova , e as pessoas com mutações raras , e as crianças de 2 a 5 anos precisam disso, para ter uma melhor condição de vida.	2ª - Sim, Qual: O trikafta mudou minha vida e me deu qualidade de vida ,hoje levo uma vida quase normal graças a essa medicação e a incorporação no sus é de extrema urgência , para o bem daqueles que precisam fazer o uso., Positivo e facilidades: Aumento da função pulmonar, ganho de peso que antes era muito difícil pra conseguir, acabou a tosse , e diminuiu muito as infecções., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo e ja faço uso há 2 anos e até então so maravilhas	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme , creon ,colistimetato que são as medicações que faço uso além do trikafta que tem contribuem muito pra qualidade de vida., Positivo: Vários aspectos positivos, melhorou muito minha qualidade de vida , a função pulmonar , o peso e a saúde mental também ganhou muito com isso., Negativo: Nenhum aspecto negativo.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou portadora de fibrose cistica. E tenho mutações raras. , , A medicação já se mostrou eficaz em pacientes de mutações raras em outros países. Oque significa um grande avanço tecnológico. , Essa medicação proporciona qualidade de vida, bem estar psicológico e anos de novas experiências que pessoas com fibrose císticas poderiam vivenciar. , É uma tecnologia inovadora, benéfica ao SUS também, visto que diminuiria taxa de mortalidade, internações frequentes e	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Uso uma medicação de alto custo incorporada pelo SUS desde meus 7 anos de idade, chamada ALFADORNASE ela é capaz de me ajudar a expelir a secreção com mais facilidade. , , Positivo: Qualidade de vida, evolução do tratamento., Negativo: Nenhum.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Contribuirá para melhor prognóstico dos pacientes com fibrose cística.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pai de uma menina de 12 anos que já utiliza o Trikafta, sou prova viva que a quantidade de vida de minha filha se transformou. Estamos muito felizes e viver essa transformação dia a dia.	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Em todos aspectos, redução de todos os sintomas da fibrose cística., Negativo e dificuldades: Não tem.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Boa tarde , deve sim ser incorporado o Trikafta no SUS , pois estes moduladores estão dando uma nova chance de vida para os pacientes portadores de Fibrose Cística , tenho um filha que tem está doença rara e a vida dela mudou muito desde que ela começou a tomar o modulador Kalydeco , foi uma vitória na vida dela a chegada desta médicação , bem como na vida dos demais pacientes e serão também na vida dos pacientes que começarão a tomar o Trikafta .	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: minha filha toma graças a Deus e a vcs que liberaram o Kalydeco (ivacaftor), Positivo: minha filha ficou com melhora grande e aparente da saúde dela , diminui número de exacerbações , não tem mais tosse, falta de ar , se sente bem , consegue fazer exercícios , se alimenta melhor , enfim são muitas melhoras ., Negativo: não vi nada de negativo , e sim ficamos com muito medo quando tem falta da medicação na farmácia do SUS .	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Inúmeros pacientes deixando de ser tratados, já havendo indicação médica comprovada para este perfil de enfermos.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Melhorias na qualidade de vida e aumento de sobrevida no perfil de pacientes em discussão., Negativo e dificuldades: Não presenciei aspectos negativos com a tecnologia em discussão.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação com grande melhora significativa na qualidade de vida do paciente com fibrose cística,uma nova vida para eles	2ª - Sim, Qual: Medicamento , Positivo e facilidades: Paciente em uso,teve uma grande melhora nos sintomas em relação a doença,está totalmente sem tosse,sem secreção pulmonar,melhora na capacidade pulmonar também,melhoras na parte intestinal,aumento de peso,uma mudança incrível na qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo	3ª - Sim, Qual: Medicamentos basal para a doença,onde a doença estava progredindo de forma rápida,mas com o uso do TRIKAFTA tudo melhorou, Positivo: Mantendo conforto sem grandes melhoras , Negativo: Doença continuava a progressão	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou Stiliani Kalaitzidou Bueno, fisioterapeuta e mãe de Theodoro, portador de Fibrose Cística com genótipo composto F508del/S4X. A variante S4X é uma mutação rara do gene CFTR — exatamente a população desta consulta., Contribuo como profissional de saúde e como familiar diretamente afetado, com perspectiva clínica sobre a questão., O princípio clínico desta consulta é simples: o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor funciona atuando na proteína CFTR disfuncional, e esse mecanismo não se restringe à mutação F508del. O componente elexacaftor, como corretor de conformação proteica, é eficaz em diversas mutações responsivas — incluindo variantes raras como a S4X. A eficácia do medicamento não depende da frequência da mutação na população — depende do mecanismo molecular, que é o mesmo., A menor quantidade de dados clínicos formais para mutações raras é um problema de método, não de efeito. Estudos controlados de grande porte exigem populações numerosas para ter poder estatístico. Doenças raras simplesmente não têm esse volume de pacientes. Isso não pode ser interpretado como ausência de eficácia — seria confundir tamanho amostral com resultado clínico., Pacientes que acessam o medicamento judicialmente apresentam benefícios documentados equivalentes aos observados em populações F508del. Como profissional de saúde, reconheço esses dados de vida real como evidência clínica relevante., A Conitec deve aplicar o mesmo critério de equidade que fundamenta o SUS: eficácia demonstrada é suficiente para garantir acesso, independentemente da raridade da mutação.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Tratamento convencional da FC para pacientes com mutações raras (idêntico ao de F508del): enzimas pancreáticas, vitaminas lipossolúveis, nebulização com solução hipertônica, fisioterapia respiratória diária (que realizo como fisioterapeuta e mãe) e antibioticoterapia nas exacerbações. Historicamente, para mutações raras como S4X, esse foi o único tratamento disponível — sem nenhuma alternativa modificadora., Positivo: O tratamento convencional é eficaz no controle sintomático e aumentou a sobrevida nas últimas décadas. A fisioterapia respiratória bem executada reduz exacerbações e preserva temporariamente a função pulmonar. O acompanhamento em centros de referência melhora o prognóstico. Para pacientes com mutações raras que nunca tiveram acesso a nenhum modulador anterior, o tratamento convencional foi a única esperança disponível, e seus benefícios são reais., Negativo: Do ponto de vista clínico e profissional: nenhuma técnica fisioterapêutica corrige o defeito molecular subjacente. O transporte mucociliar comprometido pela proteína CFTR defeituosa continua em falência. A inflamação crônica das vias aéreas persiste. Para pacientes com mutações raras que ficaram excluídos de todas as gerações anteriores de moduladores, a carga acumulada de dano progressivo sem tratamento modificador é ainda maior. O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor representa, para esses pacientes, a primeira e única alternativa que age na causa. Negar incorporação é negar a esses pacientes o mesmo direito que outros já têm. Como profissional de saúde, não aceito essa assimetria.	4ª - Como fisioterapeuta com embasamento em fisiologia respiratória e fisiopatologia da Fibrose Cística, apresento contribuição técnica sobre a evidência clínica para pacientes com mutações não-F508del., O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor tem mecanismo de ação que transcende a especificidade para F508del. O componente elexacaftor atua como chaperone molecular, corrigindo o dobramento e o tráfego intracelular da proteína CFTR — mecanismo que é eficaz para diversas mutações que resultam em proteína com conformação alterada, incluindo a variante S4X presente no genótipo do meu filho., A menor representação de mutações raras em ensaios clínicos controlados de grande porte é uma consequência inevitável da epidemiologia — não do mecanismo de ação. Estudos de menor escala, dados in vitro e evidências de vida real formam o corpus disponível para essa população. A FDA, a EMA e a ANVISA avaliaram esse corpus e concluíram que a evidência é suficiente para aprovação. A Conitec não pode adotar critério de incorporação mais restritivo que o das agências regulatórias sem justificativa clínica adicional., Os dados de vida real de pacientes com mutações raras que já acessam o medicamento por via judicial no Brasil são clinicamente relevantes: melhora de VEF1, redução de exacerbações, ganho de peso, redução de hospitalizações. Na minha prática, sei que esses desfechos têm	5ª - Como fisioterapeuta, posso apresentar uma análise econômica fundamentada na realidade clínica do cuidado de pacientes com Fibrose Cística e mutações raras., O custo do tratamento convencional para FC não é trivial: fisioterapia diária (que frequentemente exige profissional especializado ou familiar com formação), nebulizadores, medicamentos de suporte, antibióticos de alta complexidade nas exacerbações, consultas em múltiplos especialistas. Para pacientes com mutações raras que nunca tiveram acesso a nenhum modulador CFTR, esse custo se acumula ao longo de uma vida inteira de progressão de doença sem intervenção modificadora., O argumento central é a prevenção de custos futuros. Pacientes com FC que não recebem tratamento modificador progressivamente desenvolvem bronquiectasias, insuficiência respiratória crônica e dependência de suporte ventilatório — desfechos que geram demanda contínua e crescente por serviços de saúde de alto custo. O transplante pulmonar, frequentemente necessário em adultos jovens com FC sem tratamento modificador, representa custo de procedimento,

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:
				significado clínico real — não são apenas números em tabelas., Exclui pacientes com mutações não-F508del responsivas da incorporação contraria o consenso das principais agências regulatórias mundiais e nega acesso a quem a ciência já reconhece como beneficiário da terapia.	imunossupressão vitalícia e cuidados pós-transplante que superam em muito o custo de anos de modulador CFTR., Para a população com mutações raras, o impacto orçamentário total é proporcionalmente menor que para F508del, porque o número de pacientes é menor. Um custo per capita elevado não equivale automaticamente a alto impacto macroorçamentário quando a coorte é restrita., Finalmente: a não incorporação não evita o custo — o fragmenta entre Defensoria Pública, sistema judiciário, fornecimento judicial sem poder de negociação e famílias que arcam com o que o sistema não cobre. A incorporação organiza, centraliza e reduz o custo
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Após o início do uso do Trikafta, minha esposa melhorou muito sua qualidade de vida. Agora ela fica bem menos doente em relação a antes de usar (não é mais qualquer resfriado que a deixa mal- ao contrário, ganhou até certa imunidade). Ela também tem mais fôlego para fazer sua rotina diária, ao passo que antes da medicação ela se cansava com bastante facilidade. Fato que, com a medicação, ela tosse muito menos também.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Melhora de imunidade, maior disposição, menos tosse, Negativo e dificuldades: Nenhuma até o momento.	3ª - Sim, Qual: Azitromicina, Pulmozyme, brometo de ipatrópio, fisioterapia pulmonar com colete, Positivo: Somente retarda um pouco o avanço da doença , Negativo: Não há melhoras significativas nos quadros de saúde dos que os usam nem trazem os benefícios do Trikafta	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento trás muita qualidade de vida a pessoas com Fíbrose Cística, acredito que deva ser incorporado para crianças de 2 anos, e também pessoas com mutações raras, visto que em outros países isso jé acontece. , é possível observar que aqueles que já fazem o uso dessa nova tecnologia estão muito bem, e que a saúde dessas pessoas não pode depender do custo dessa medicação. , Convivo com pessoas que possuem essa doença e vejo o quanto é difícil a realidade delas, com internações, uso de muitas medicações.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Quando essa medicação for incorporada ao sistema único de saúde, contribuirá com todos os portadores de fibrose cística que não tem condições financeiras de receber o medicamento, aqueles com mutações raras e principalmente estão em condições de saúde debilitadas. Todos (da família, amigos, cuidadores e portadores) contam com a esperança desse medicamento, por isso acho necessário que o SUS o inclua!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É de suma importância que todos que precisem possam ter acesso.	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:
Organização da Sociedade Civil **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Na condição de representante da Associação Pernambucana de Fibrose Cística – InspirAr, manifesto meu apoio à incorporação do Trikafta pelo Sistema Único de Saúde para todos os pacientes com indicação para seu uso., , A fibrose cística é uma doença genética grave, progressiva e de alta complexidade, que impõe uma rotina intensa de tratamentos, hospitalizações frequentes e grande impacto físico, emocional e social aos pacientes e suas famílias., , O Trikafta representa uma mudança no curso natural da doença, pois atua em sua causa básica. Na prática, observamos que pacientes que tiveram acesso ao medicamento apresentaram melhora significativa da função pulmonar, do estado nutricional, da qualidade de vida e redução das exacerbações e internações. Esses benefícios se refletem também na capacidade de estudar, trabalhar e participar plenamente da vida em sociedade., , Como associação de pacientes, acompanhamos diariamente as dificuldades enfrentadas pelas famílias e reconhecemos o impacto transformador que terapias modificadoras da doença podem proporcionar. Garantir o acesso ao Trikafta é promover equidade, dignidade e a oportunidade de uma vida mais longa e saudável para as pessoas com fibrose cística., , Diante das evidências científicas e da experiência acumulada por pacientes e profissionais de saúde, solicitamos que a CONITEC reavalie favoravelmente a incorporação do Trikafta, considerando não apenas os custos da doença, mas, principalmente, o valor da vida, da prevenção de complicações e da esperança proporcionada por um tratamento capaz de modificar o curso da fibrose cística.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Como associação de pacientes, acompanhamos diariamente as dificuldades enfrentadas pelas famílias e reconhecemos o impacto transformador que terapias modificadoras da doença podem proporcionar. Garantir o acesso ao Trikafta é promover equidade, dignidade e a oportunidade de uma vida mais longa e saudável para as pessoas com fibrose cística., , Diante das evidências científicas e da experiência acumulada por pacientes e profissionais de saúde, solicitamos que a CONITEC reavalie favoravelmente a incorporação do Trikafta, considerando não apenas os custos da doença, mas, principalmente, o valor da vida, da prevenção de complicações e da esperança proporcionada por um tratamento capaz de modificar o curso da fibrose cística., Negativo e dificuldades: O PREÇO É O UNICO EMPECILHO.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas pessoas não tem condições para adquirir essas médicacoes e com a incorporação facilitaria o uso,para eles terem uma qualidade de vida melhor	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu filho nasceu dia 14/05/2023 ele com 15 dias de vida pegou bronquiolite e pneumonia grave foi transferido para o hospital Sopai de fortaleza não passou nem 24 hrs no leito foi transferido pra UTI 2 foi entubado lá ele não reagia nem um antibiótico prós médicos ele não ia resistir pq dependia só dele a reagir os medicamentos, da ir os médicos foram investigando a fibrose cística eu mãe de primeira viajem não sabia o que era os médicos repetiram exames e veio o diagnóstico de FC ?? meu filho passou 2 meses na UTI ele é um guerreiro passou por muita lutas eu peço por tudo que é mais sagrado que essa medicação seja incorporada no SUS para ele crescer e aproveitar a vida com qualidade pq ele já sofreu muito graça a Deus ele tem a mutação delta 508 hj ele tem 3 aninhos	2ª - Sim, Qual: Hj ele ganha pouco peso através do Creon porque agir no pâncreas dele mais com todos os cuidados que eu tenho com ele mesmo assim ele pegou COVID e perdeu muito peso ficou desidratado mais ele depende de uma medicação que precisa ser incorporada no SUS pra ele ter uma qualidade de vida melhor vai pra escola tomando o trikafta , Positivo e facilidades: No meu ponto de vista de vários depoimentos de várias pessoas e crianças o antes e depois do uso do trikafta é uma reviravolta de dose de milagre através dessa medicação, peço sensibilidade a todos vocês pela aprovação dessa medicação dessa tecnologia do SUS , Negativo e dificuldades: No meu ponto de vista é muito triste a realidade de pessoas e crianças e bebês que sofrem por não ter acesso a essa medicação do SUS	3ª - Sim, Qual: Meu filho já passou por várias apresentações na vida hj ele tem 3 anos mais passou por muitos momentos ruins e hj eu vejo que meu filho foi tão forte desde recém nascido passando por 1 ano e 3 meses de internação no hospital eu morei por 1 não no hospital com ele , e só agora ele com 3 anos estamos indo só pra consultar no ambulatório da FC ??, Positivo: Uma qualidade de vida melhor e uma chance e oportunidade para eles viver e realizar sonhos e conquistas , Negativo: A falta dessa medicação no SUS	4ª - Meu filho nasceu dia 14/05/2023 ele com 15 dias de vida pegou bronquiolite e pneumonia grave foi transferido para o hospital Sopai de fortaleza não passou nem 24 hrs no leito foi transferido pra UTI 2 foi entubado lá ele não reagia nem um antibiótico prós médicos ele não ia resistir pq dependia só dele a reagir os medicamentos, da ir os médicos foram investigando a fibrose cística eu mãe de primeira viajem não sabia o que era os médicos repetiram exames e veio o diagnóstico de FC ?? meu filho passou 2 meses na UTI ele é um guerreiro passou por muita lutas eu peço por tudo que é mais sagrado que essa medicação seja incorporada no SUS para ele crescer e aproveitar a vida com qualidade pq ele já sofreu muito graça a Deus ele tem a mutação delta 508 hj ele tem 3 aninhos hj ele precisa dessa medicação #Trikfta uma vida melhor ????	5ª - Meu filho nasceu dia 14/05/2023 ele com 15 dias de vida pegou bronquiolite e pneumonia grave foi transferido para o hospital Sopai de fortaleza não passou nem 24 hrs no leito foi transferido pra UTI 2 foi entubado lá ele não reagia nem um antibiótico prós médicos ele não ia resistir pq dependia só dele a reagir os medicamentos, da ir os médicos foram investigando a fibrose cística eu mãe de primeira viajem não sabia o que era os médicos repetiram exames e veio o diagnóstico de FC ?? meu filho passou 2 meses na UTI ele é um guerreiro passou por muita lutas eu peço por tudo que é mais sagrado que essa medicação seja incorporada no SUS para ele crescer e aproveitar a vida com qualidade pq ele já sofreu muito graça a Deus ele tem a mutação delta 508 hj ele tem 3 aninhos #Trikfta salva vidas

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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo a 12 anos com minha namorada portadora de Fibrose Cistica, percebo que durante esses anos ela vem piorando devido a progressão da doença. Apesar de todo cuidado, atividades físicas, remédios internações e afins não tem sido suficiente para gerar qualidade de vida. , Hoje podemos acompanhar nas mídias, nas pesquisas, nas noticias de fora do país, o quanto essa nova tecnologia (medicação) está sendo eficaz para o tratamento da fibrose cistica, e como ela possibilita que essas pessoas possam ter uma vida normal. , Acredito que deva ser incorporado pelo SUS sim, assim beneficia essas pessoas, ajuda o sistema de saúde e também os familiares que convivem com a doença de perto. Visto que em novas pesquisas sobre esses moduladores é nítido a melhora e a mudança da história da doença. ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho um familiar que precisa do medicamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de portadora de fibrose cistica com mutações raras. , A medicação pode ajudar minha filha a ter mais qualidade de vida, melhorar seu quadro clínico, poder ter uma vida normal.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, estas medicações melhoram em muito a condição e qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Tricafta, Positivo: estas medicações melhoram em muito a condição e qualidade de vida, Negativo: nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho muito importante e de maneira urgente, vai salvar vidas!	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os hospitais precisam estar bem equipados para tender a todos os tipos de condições que vá contra a saúde da população, por mais rara e mínima que seja.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, SOU FISIOTERAPEUTA DE UMA PORTADORA DA FIBROSE CÍSTICA, E ACREDITO QUE A MEDICAÇÃO FARÁ TOTAL DIFERENÇA NA VIDA DAS PESSOA COM FIBROSE CÍSTICA, DANDO MAIS QUALIDADE DE VIDA, SEGURANÇA E AXIMA DE TUDO ANOS PARA VIVER, JÁ QUE A EXPECTATIVA DE VIDA DESSES PNEUMOPATAS SÃO BAIXÍSSIMAS.	2ª - Sim, Qual: TRIKFTA, Positivo e facilidades: MELHORA DOS SINTOMAS DA DOENÇA, MAIS QUALIDADE DE VIDA, MAIS ESPERANÇA, UMA VIDA TOTALMENTE DIFERENTE., Negativo e dificuldades: NEMHUM ASPECTO NEGATIVO	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tem que ser incerido por conta do custo muito alto do remédio.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que deve ser incorporada no SUS pois acredito que têm o potencial de ajudar muitas pessoas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação desses moduladores ao SUS significa salvar vidas ,eu não sou legível as mutações legíveis vivo mas tempo internado do que em casa sofro todos os dias com muita tosse e cansaço,hoje não vivo sem o oxigênio não tenho vida social não frequento a escola minha família toda sofre junto comigo,e sei que esse modulador tem dado uma sobre vida a outros pacientes tem relatos de pacientes que até deixaram de usar o oxigênio as tosses são quase zero ganharam peso pararam de se internarem e isso tudo é o meu sonho peço a Deus todos os dias que não demore pra sair um modulador para a minha mutação e esses moduladores precisam ser incorporado no SUS pois caso o contrário muitos pacientes não resistiram por muito tempo até eu que vos fala ??	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:
Pessoa com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com a fibrose cística desde que nasci. Meu diagnóstico veio aos três anos de idade e, desde então, são 26 anos de tratamentos diários, fisioterapia respiratória, medicamentos, internações, exames e uma rotina que poucos conseguem imaginar., , Mesmo diante de tantas dificuldades, nunca permiti que a doença definisse quem eu sou. Estudei, trabalhei, construí minha carreira, me casei e sempre lutei para viver da forma mais próxima possível da normalidade. Cada conquista exigiu muito mais do que esforço: exigiu coragem, resiliência e a decisão diária de seguir em frente., , Com o passar dos anos, porém, a doença avançou. Hoje, minha capacidade pulmonar é de 47% e começo a enfrentar escolhas que nunca imaginei precisar fazer. Talvez em breve eu tenha que abrir mão do trabalho que tanto amo, porque meu corpo já não consegue acompanhar o mesmo ritmo., , Também tomei uma das decisões mais difíceis da minha vida: não ter filhos. Não por falta de amor, mas porque reconheço os limites que a fibrose cística impõe. É doloroso aceitar que talvez eu não consiga cuidar de outra vida enquanto luto, todos os dias, para preservar a minha., , O que mais me frustra é saber que existe um medicamento capaz de mudar significativamente a minha qualidade de vida e o meu futuro, mas que ainda não está ao meu alcance. Minha vida, a do meu esposo e a dos meus pais depende de decisões tomadas por pessoas que talvez nunca compreendam o peso dessa luta iniciada ainda na infância., , Eu sonho com o dia em que meu médico dirá: “Caroline, você é elegível ao Trikafta.”, , Sei que ele não é uma cura. Mas também sei que pode representar mais tempo, mais fôlego, mais autonomia e mais esperança. Para quem convive com a fibrose cística, cada novo tratamento significa a oportunidade de continuar vivendo., , Porque cada novo tratamento é uma tentativa de reviver., , E, desde o meu nascimento, eu nunca deixei de tentar viver.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Concordo plenamente,não é fácil fazer um tratamento extremamente complicado sem um apoio.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação é de extrema importancia para a manutenção da sobrevivencia dos portadores dessa condição.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu presenciei o tratamento do meu irmão e é notório a incrível melhora que esse medicamento tem na qualidade de vida e na diminuição de remédios e internações. Hoje posso dizer que meu irmão consegue viver.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A doença não tem cura, o estrago que foi causado não pode ser revertido, porém pode ser feito a paralisia da doença e muitos sonhos que estavam mortos podem ser retomados, além do quê diante do tamanho do nosso país o número do pessoas com essa doença terrivel ainda é pequeno o quê pode ser facilmente pago pela união.	2ª - Sim, Qual: uma pessoa que possui o gene relacionado na bula do medicamento teve ótimos resultados, Positivo e facilidades: a doença parou de evoluir e a pessoa está ótima, Negativo e dificuldades: não teve	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Antes do Trikafta, minha rotina era ditada pela Fibrose Cística: cansaço extremo, tosses persistentes e diversas internações para antibioticoterapia venosa, o que limitava meus estudos e trabalho. Após iniciar o tratamento, a mudança foi imediata, em poucas semanas, a secreção praticamente desapareceu e recuperei o fôlego para atividades simples. Notei uma melhora expressiva no dia a dia, como conseguir subir escadas sem parar e dormir uma noite inteira sem tossir. Clinicamente, meu VEF1 saltou de 46% para 50,8%, ganhei 4kg em três meses e meu cloro no suor reduziu drasticamente. Hoje, não sou mais um paciente à espera de uma crise, mas alguém com planos de futuro. Saí da estagnação para uma vida ativa, com a perspectiva real de longevidade que a medicação me proporcionou."", , Viver com uma mutação rara (G85E/R334W)de Fibrose Cística era viver sem fôlego e sem planos. Minha rotina era voltada apenas para não piorar, com horas de fisioterapia e tosse incapacitante. Com o Trikafta, a 'limpeza' do pulmão aconteceu nos primeiros dias. Pela primeira vez, senti o que é respirar fundo sem dor. Meus índices clínicos melhoraram ,minha estabilidade respiratória nunca antes vista. Saí da fila de prioridade para transplante e hoje faço planos de longo prazo. Essa medicação me deu o direito de sonhar com a velhice, algo que, antes, as mutações raras nos roubavam diariamente."""	2ª - Sim, Qual: "Antes do Trikafta, minha rotina era ditada pela Fibrose Cística: cansaço extremo, tosses persistentes e diversas internações para antibioticoterapia venosa, o que limitava meus estudos e trabalho. Após iniciar o tratamento, a mudança foi imediata, em poucas semanas, a secreção praticamente desapareceu e recuperei o fôlego para atividades simples. Notei uma melhora expressiva no dia a dia, como conseguir subir escadas sem parar e dormir uma noite inteira sem tossir. Clinicamente, meu VEF1 saltou de 46% para 50,8%, ganhei 4kg em três meses e meu cloro no suor reduziu drasticamente. Hoje, não sou mais um paciente à espera de uma crise, mas alguém com planos de futuro. Saí da estagnação para uma vida ativa, com a perspectiva real de longevidade que a medicação me proporcionou."", , Viver com uma mutação rara (G85E/R334W)de Fibrose Cística era viver sem fôlego e sem planos. Minha rotina era voltada apenas para não piorar, com horas de fisioterapia e tosse incapacitante. Com o Trikafta, a 'limpeza' do pulmão aconteceu nos primeiros dias. Pela primeira vez, senti o que é respirar fundo sem dor. Meus índices clínicos melhoraram ,minha estabilidade respiratória nunca antes vista. Saí da fila de prioridade para transplante e hoje faço planos de longo prazo. Essa medicação me deu o direito de sonhar com a velhice, algo que, antes, as mutações raras nos roubavam diariamente.""", Positivo e facilidades: Com o uso do trikafta, não tenho pneumonia a 2anos , passei a prática caminhada e ciclismo.melhorou minha condição de respirar cada dia melhor , Negativo e dificuldades: Nenhum somente positivos	3ª - Não	4ª - "Antes do Trikafta, minha rotina era ditada pela Fibrose Cística: cansaço extremo, tosses persistentes e diversas internações para antibioticoterapia venosa, o que limitava meus estudos e trabalho. Após iniciar o tratamento, a mudança foi imediata, em poucas semanas, a secreção praticamente desapareceu e recuperei o fôlego para atividades simples. Notei uma melhora expressiva no dia a dia, como conseguir subir escadas sem parar e dormir uma noite inteira sem tossir. Clinicamente, meu VEF1 saltou de 46% para 50,8%, ganhei 4kg em três meses e meu cloro no suor reduziu drasticamente. Hoje, não sou mais um paciente à espera de uma crise, mas alguém com planos de futuro. Saí da estagnação para uma vida ativa, com a perspectiva real de longevidade que a medicação me proporcionou."", , Viver com uma mutação rara (G85E/R334W)de Fibrose Cística era viver sem fôlego e sem planos. Minha rotina era voltada apenas para não piorar, com horas de fisioterapia e tosse incapacitante. Com o Trikafta, a 'limpeza' do pulmão aconteceu nos primeiros dias. Pela primeira vez, senti o que é respirar fundo sem dor. Meus índices clínicos melhoraram ,minha estabilidade respiratória nunca antes vista. Saí da fila de prioridade para transplante e hoje faço planos de longo prazo. Essa medicação me deu o direito de sonhar com a velhice, algo que, antes, as mutações raras	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:
				nos roubavam diariamente.""""	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, a cada novo tratamento o SUS se integra mais a sociedade e salva mais vidas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento é praticamente a cura para os nossos filhos, e dá uma qualidade de vida quase normal a eles.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que irá ajudar bastante na condição	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, E de extrema necessidade que essas medicações sejam implementadas ao sus. Assim irar ajuda na qualidade de vida, aumentando a explicito de vida de pessoas com fibrose cística.	2ª - Sim, Qual: Minha irmã é portadora de fibrose cística, e agora necessita urgentemente dessa medicação., E vi relatos de pessoas que usaram, e sua qualidade de vida melhorou praticamente 100%., Positivo e facilidades: Muitos pacientes melhoraram sua capacidade pulmonar, deixaram de usar oxigênio o tempo todos, e etc., Negativo e dificuldades: Nenhuma.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todas as tecnologias existente, que visam, melhoria na vida da população e dessas pessoas deve ser implementada, e o SUS é o único capaz de favorecer a essa população	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho uma filha com FIBROSE CÍSTICA e ela depende de medicamentos doados pelo governo e essa medicação vai prolongar a vida dela de maneira segura e saudável	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu neto tem fibrose cística e acompanho de perto os desafios que essa doença traz para a vida dele e de toda a família. A disponibilização desse medicamento pelo SUS é extremamente importante, pois pode contribuir para uma melhor qualidade de vida, redução de complicações e mais esperança para os pacientes., , Peço que seja considerada a implantação desse tratamento no SUS, para que crianças, jovens e adultos com fibrose cística tenham acesso a uma terapia que pode fazer uma diferença significativa em sua saúde e bem-estar. O acesso igualitário ao tratamento é fundamental para garantir mais qualidade de vida e melhores perspectivas para os pacientes e suas famílias.	2ª - Sim, Qual: Por viver nesse mundo da fibrose cistiica acabamos conhecendo crianças que conseguiu por meio judiciais o fornecimento da medicação mudando assim a vida da criança em questão. , Positivo e facilidades: Qualidade de vida, poder correr brincar sem internações. , Negativo e dificuldades: Nenhuma.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **16/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Usar nossos recursos financeiro para salvar vidas deveria ser direito e não uma luta., Pessoas realmente morrem por falta de tratamento que poderia ser disponibilizado pelo SUS. E quando nosso dinheiro é gasto com ""carnaval"""	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que devemos ter acesso aos medicamentos e médicos especializados.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Irá ajudar muitas pessoas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento vai melhorar a qualidade de vida das pessoas que convivem com a doença	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Fisioterapia , Positivo: Melhora na função respiratória e ajuda a expelir a secreção , Negativo: É um cuidado paliativo e não tem um efeito duradouro	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Existem inúmeras famílias que sofrem com filhos e parentes diagnosticados com essa condição de saúde e sabendo que tem um medicamento que diminui esse sofrimento e dá uma esperança de uma vida mais tranquila, vale muito a luta pelo direito de usar esse medicamento e comparado a quantidade de pessoas com o diagnóstico vejo que o SUS tem plenas condições de ajudar essas famílias.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de uma criança com fibrose cística e sei na prática o quanto essa doença impacta a vida de toda a família. Nossa rotina é cheia de cuidados, terapias, medicamentos e preocupações constantes com infecções e internações. Quando existe um tratamento capaz de mudar a evolução da doença e dar aos pacientes a chance de uma vida mais próxima do normal, acredito que ele deve estar ao alcance de todos., Nem todas as famílias têm condições de buscar esse tratamento por conta própria. O acesso pelo SUS representa esperança, mais saúde, mais qualidade de vida e mais oportunidades para crianças e adultos que convivem diariamente com a fibrose cística. Como mãe, é difícil saber que existe uma possibilidade real de melhorar a vida do seu filho e que muitas pessoas não conseguem chegar até ela. Por isso, sou totalmente favorável à incorporação dessa tecnologia ao SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Os estudos de fase 3 publicados no New England Journal of Medicine demonstraram melhora estatisticamente significativa da função pulmonar, com aumento absoluto do VEF1 percentual previsto em aproximadamente 14 pontos percentuais quando comparado ao placebo. Também foi observada redução superior a 60% na taxa de exacerbações pulmonares, além de melhora importante nos escores de qualidade de vida avaliados pelo questionário CFQ-R, Outro resultado relevante foi a expressiva redução da concentração de cloro no suor, biomarcador diretamente relacionado à função da proteína CFTR, demonstrando que o tratamento atua sobre o mecanismo básico da doença. Os estudos também evidenciaram ganho de peso e melhora do estado nutricional, fatores fortemente associados ao prognóstico de pacientes com fibrose cística., Após a incorporação da terapia em diversos países, dados de vida real confirmaram os benefícios observados nos ensaios clínicos. Registros nacionais de pacientes demonstraram redução de hospitalizações, menor necessidade de antibioticoterapia intravenosa, redução de transplantes pulmonares e melhora da sobrevida. , , Fontes: estudos clínicos publicados no New England Journal of Medicine (Middleton et al., 2019, Heijerman et al., 2019)	5ª - Minha filha teve uma, Internação que chegou a superar 100 mil reais , estamos falando de apenas uma internação ! Ao longo da vida ela terá inúmeras e um custo elevado e ainda assim o custo econômico social, dela não ter uma vida plena, imensurável, que não tem preço , afinal todos temos direito a vida , O Trikfta pode reduzir custos com hospitalizações, diminuir custos com a carga de terapias diárias que tem um custo elevado , reduzir exacerbações pulmonares, , retardar doença pulmonar avançada, potencialmente reduzir transplantes pulmonares precoces. Com ela bem de saúde isso evita que eu me afaste do trabalho , e que então eu possa produzir e gerar renda !

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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporado pois é um medicamento essencial para a qualidade de vida de todos com fibrose cística	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida tal como diminuição de internações com estados graves, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, tenho um sobrinho com a doença e com as condições que ele vive hoje acredito que melhoraria muito a condição de vida dele	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A INCORPORAÇÃO DA MEDICAÇÃO IRÁ CONTRIBUIR COM A QUALIDADE DE VIDA DAS PESSOAS ACOMETIDAS DA DOENÇA.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou Fisioterapeuta Respiratória e acompanho pacientes com Fibrose Cística há mais de 10 anos e estamos vivendo um momento histórico na saúde com a excelente evolução clínica e funcional dos pacientes que fazem uso do elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor. Precisamos ampliar sua utilização para outras faixas etárias.	2ª - Sim, Qual: Medicamento Elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor, Positivo e facilidades: Redução da hipersecreção pulmonar, redução de infecções respiratórias de repetição, melhora da função pulmonar de forma objetiva através da espirometria, melhora da qualidade de vida, redução do número de nebulização realizadas ao longo do dia, o que impactando diretamente na liberdade do paciente e sua qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Acréscimo de 1 medicamento na rotina diária, o que é compensado mediante a retirada de outros.	3ª - Sim, Qual: Os medicamentos utilizados anteriormente ao elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor eram sintomáticos e o paciente não apresentava melhoras evidentes dos escores pulmonares, mesmo seguindo a risca a prescrição médica., Positivo: Nenhum, Negativo: Paciente restrito ao convívio social, devido à grande carga de cuidados domiciliares (NBZ, infecções respiratórias de repetição etc).	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento para fibrose cística melhora muito a vida dos paciente e tem um custo muito elevado para famílias suportarem o tratamento por conta própria.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Melhora da sobrevida dos pacientes, Negativo e dificuldades: Nenhum	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As mutações raras tem, muitas vezes, maior comprometimento na saúde do que a F508. A investigação é mais longa, existe desconhecimento por parte de médicos e sociedade em geral. , Fibrose Cística não é só a parte pulmonar. Crianças sofrem com baixo peso e desnutrição com toda parte gastrointestinal comprometida. O Trikafta pode ajudar a melhorar a microbiota intestinal. Quanto antes administrado, também pode ajudar a reverter a insuficiência pancreática exócrina grave. , Também é indispensável para quem tem questões pulmonares., Mutações diversas tem repercussões diversas. A Fibrose Cística não é só F508 e precisa ser assistida na sua totalidade. Até porque a trajetória até um exame que mostre o que está acontecendo já é longa e desafiadora. Enfrentar mais esse obstáculo da falta de medicação compromete a saúde de muitas pessoas que vivem as consequências da Fibrose Cística. , Hoje sabe-se que a triagem ao nascer deixa escapar muitas crianças com FC. Meu filho foi uma dessas crianças. O gasto até chegar nas mutações raras foi grande demais, as consequências para a saúde dele também. Chegando ali, ainda tivemos o obstáculo da mutação nem ter um modulador. Após algum tempo foi incorporado na bula internacional, porém, agora, com parecer desfavorável na Conitec. , , Diante da necessidade, compramos uma caixa do modulador, no dia das crianças do ano passado, como presente que toda criança nessa condição deveria receber. A partir dali só a fé nos manteve conseguindo doações de sobras de medicação. , Com grande empenho estamos a 8 meses com o Trikafta. , As melhoras foram vistas já no primeiro mês, onde a elastase subiu de 3 para 34. E se mantém nessa discreta melhora, porém, progressiva. Mais fôlego para brincar com os amigos, menos infecções, menos faltas na escola, melhora de toda condição gastrointestinal. Ele é um menino que já não tolera vários alimentos e sofre várias limitações. Precisa ter a chance de se beneficiar do uso do modelador.	2ª - Sim, Qual: Trikafta Melhora de toda condição gastrointestinal. , Criança com diarréia até os 3 anos, após encoprese por constipação e fezes endurecidas e grandes, devido a insuficiência pancreática exócrina grave e todo prejuízo gastrointestinal decorrente da FC. , Melhora no ganho de peso e altura. , Melhora dos suadores noturnos. , Melhora das infecções. , Mais tolerância a alimentação. Tem restrições graves com os alimentos inflamatórios e industrializados que fazem exacerbação da parte respiratória quando consumidos. Passou a tolerar, por exemplo, o multi vitamínico, tão necessário para o seu desenvolvimento. , Menos exacerbações da parte respiratória. Mais fôlego. , Positivo e facilidades: "Gostaria aqui de colocar o exemplo do meu pai, que nunca teve a oportunidade de fazer um tratamento que pudesse ajuda-lo com a FC, para entendermos quais são os aspectos positivos. , Meu pai não tinha tão ruim a parte gastrointestinal. Era pulmonar, porém, completamente desconhecida a causa até nos últimos dias de vida, onde o médico do meu filho olhou as suas tomografias e disse"" Seu pai tem enormes bronquiequistasias decorrentes de Fibrose Cística Atípica"". Nesse ponto ele já tinha fungos (bola fúngica de 6 cm) dentro das bronquiequistasias e já vivia a tempos forçando o coração pela falta de ar. , Estando em município do interior, sua ajuda final foi uma internação, sem realização de um único Swab que identificasse qual era a bactéria da sua pneumonia, sem fisioterapia respiratória... logicamente sem a chance de usar modulador...ele faleceu assim, sem a chance de ter menos intercorrências pela doença e de viver com os seus um pouco mais. , O modulador ajuda a preservar a condição de saúde dessas crianças até que um dia, quem sabe venha algo que traga a cura. , Gasta menos do SUS com tantas internações e intervenções. , Deixa os pacientes com condições para enfrentar alguma intercorrência de saúde. , O valor da medicação não poderia ser tão alto, sendo tão necessária para a manutenção da saúde e qualidade de vida dos acometidos por Fibrose Cística, que são também aqueles com mutações raras. ", Negativo e dificuldades: A adaptação levou alguns dias, o primeiro mês teve os sintomas esperados, que foram superados agora.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante para o tratamento dos usuários acometidos pelas doenças.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Moduladores da cftr aumentam expectativa de vida dos pacientes de forma significativa.	2ª - Sim, Qual: Ivacaftor , Positivo e facilidades: Melhora da doença, reversão da insuficiência pancreática., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento com certeza ira proporcionar melhor qualidade de vida as pessoas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que isso vai ser uma fonte de dignidade para as pessoas com essa condição. Os remédios e tratamentos são caros, não é justo apenas pessoas com condições consigam ter acesso 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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos que possuam pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR responsiva ao medicamento., , Conheço uma família cuja filha convive com a fibrose cística e acompanho os desafios enfrentados diariamente em decorrência da doença. Além das limitações impostas pela condição, existe uma preocupação constante com o acesso aos tratamentos mais eficazes., , Um aspecto importante é o alto custo dessa terapia, que pode chegar a cerca de R$ 50 mil por mês, tornando seu acesso inviável para a grande maioria das famílias brasileiras. Sem a incorporação ao SUS, muitos pacientes que poderiam se beneficiar do medicamento permanecem sem acesso a uma alternativa terapêutica capaz de atuar na causa da doença., , A incorporação dessa tecnologia representa uma oportunidade de promover maior equidade no acesso à saúde, permitindo que crianças, adolescentes e adultos elegíveis tenham acesso a um tratamento que pode melhorar significativamente sua qualidade de vida, reduzir complicações e diminuir a necessidade de internações e outros cuidados de maior complexidade., , Por essas razões, manifesto meu apoio à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para os pacientes elegíveis.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que se essa tecnologia (medicamento, produto ou procedimento) for incorporada ao SUS ajudaria inúmeras pessoas que não podem arcar com o tratamento particular.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Manifesto meu voto FAVORÁVEL à ampliação do uso do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor no SUS para pacientes com variantes não-F508del responsivas. A saúde é um direito de todos e, no caso de doenças raras e degenerativas como a Fibrose Cística, o tempo corre contra o paciente. O medicamento já se mostrou eficaz e seguro em âmbito global e nacional para as mutações já cobertas. Negar o acesso a pacientes que possuem outras variantes responsivas é uma exclusão injustificável. Além do ganho imensurável em qualidade de vida, o tratamento estabiliza a doença, gerando economia a longo prazo para o SUS com a redução drástica de internações em UTI, procedimentos cirúrgicos e suporte de oxigênio	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 **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Manifesto meu apoio à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos que possuam pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR responsiva ao medicamento., A fibrose cística é uma doença genética grave, progressiva e multissistêmica, que impacta significativamente a saúde, a qualidade de vida e a expectativa de vida dos pacientes e de suas famílias. O acesso a terapias moduladoras do CFTR representa um avanço importante no tratamento da doença, pois atua na causa subjacente, e não apenas nos sintomas., A ampliação do acesso ao elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pacientes com variantes não-F508del responsivas é uma medida baseada em evidências científicas e alinhada aos princípios da equidade no acesso à saúde. Esses pacientes também podem obter benefícios relevantes, como melhora da função pulmonar, redução das exacerbações, diminuição das hospitalizações, melhor estado nutricional e aumento da qualidade de vida., Além dos benefícios clínicos, a disponibilização desse tratamento pode contribuir para a redução de custos associados a complicações da doença, internações frequentes e necessidade de tratamentos mais complexos no futuro., Dessa forma, considero fundamental a aprovação da incorporação dessa tecnologia ao Sistema Único de Saúde, garantindo que pacientes elegíveis tenham acesso a uma terapia capaz de modificar o curso da doença e proporcionar melhores perspectivas de saúde e bem-estar.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou com certeza a favor da incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (trikafta)para o tratamento de pacientes com fibrose cística com idade de 6 anos ou mais, com pelo menos uma variante compatível com o medicamento. Pois meu esposo é portador de fibrose cistica e desde o início do uso da medicação teve uma melhora muito significativa na saúde e qualidade de vida. É um direito de todos ter saúde e se existe o medicamento capaz de oferecer saúde, qualidade de vida e expectativa de vida é um direito desses pacientes de fibrose cistica ter acesso.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (trikafta), Positivo e facilidades: Melhora na capacidade respiratória e função pulmonar com aumento da vf1, ganho de peso ideal, melhora na disposição, melhora da qualidade de vida e expectativa de vida pois a medicação além de trazer melhora significante na saúde em geral ela impede a evolução da doença., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo.	3ª - Sim, Qual: Alfardonaze, formoterol, enzimas pancreaticas, suplementos e polivitaminas, antibióticos como azitromicina, ciprofloxascino, gentamicina, tobramicina., Positivo: As outras medicações eram o único tratamento disponível no passado e atuavam de forma paliativa no tratamento da Fibrose cistica., Negativo: Atuavam de forma paliativa no tratamento da Fibrose cistica e não impedia as exacerbações infecciosas e não impedia o avanço da doença.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Moduladores da cftr aumentam expectativa de vida dos pacientes de forma significativa.	2ª - Sim, Qual: Moduladores da cftr, Positivo e facilidades: Aumento da qualidade e expectativa de vida, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Moduladores da CFTR aumentam expectativa de vida dos pacientes de forma significativa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante para pacientes com fibrose cistica	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Moduladores da cftr aumentam expectativa de vida dos pacientes de forma significativa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Mudança da qualidade de vida e redução de complicações fatais	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Melhora sintomática, radiologica, espirometrica e de qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Não percebi	3ª - Sim, Qual: Broncodilatadores, Antibióticos , Positivo: Melhora sintomatica, Negativo: Não trata a etiologia	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Moduladores da citr aumentam expectativa de vida dos pacientes de forma significativa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O trikafta melhora muito qualidade de vida, reduz sintomas e internações	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: O trikafta melhora muito qualidade de vida, reduz sintomas e internações , Negativo e dificuldades: Nada	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme, Positivo: Melhora pouco os sintomas , Negativo: Nada	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É doença de muito sofrimento para crianças com essa comorbidade e esse medicamento pode ser decisivo na melhora da condição de vida	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 **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas crianças podem ser beneficiadas com esse tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporado, pois salva vidas, acaba com dores e sofrimento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trata-se de uma oportunidade para melhora da qualidade de vida dos pacientes, assim como para potencializar sua sobrevida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor pelo SUS, pois esse tratamento representa uma importante evolução para pacientes com fibrose cística, podendo melhorar significativamente a qualidade de vida, reduzir complicações e aumentar a expectativa de vida. Garantir o acesso pelo SUS é fundamental para promover mais equidade e oferecer aos pacientes uma terapia eficaz e baseada em evidências.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou profissional de saúde que acompanha pacientes com a condição clínica que é beneficiada pela medicação, e, em nosso serviço, temos notado o benefício extraordinário nos pacientes que já fazem uso. Em países em que o uso desta medicação já é recorrente em mutações que ainda não são indicadas em nosso País, houve indiscutível melhora clínica e laboratorial, traduzindo - se, por enquanto, na única esperança de portadores e suas famílias, a fim de modificação da doença.	2ª - Sim, Qual: Já utilizamos em pacientes com mutação F508 Del, com reversão significativa nos sinais e sintomas clínicos. , Positivo e facilidades: Foi observado resposta indiscutivelmente positiva em pacientes com F508 Del, como ganho de peso, diminuição radical em quantidade de secreção, além da melhora em qualidade de vida de pacientes e familiares. , Negativo e dificuldades: Pudemos observar um caso de sintomas de pesadelos, bem como, rash cutâneo de leve a moderado, em cerca de 5 pacientes.	3ª - Sim, Qual: As medicações disponíveis, como Dornase alfa, Pancreatina, Ursacol, são medicações que não corrigem a doença, tratando apenas os sintomas. , Positivo: São medicamentos que apenas auxiliam na drenagem de secreções, reposição de enzimas pancreáticas, e não corrigem, de fato a patologia em questão. , Negativo: São medicamentos que não trazem a propriedade de reversão da doença, limitando - se a diminuir os sintomas.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Moduladores da cftr aumentam expectativa de vida dos pacientes de forma significativa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para ajuda as pessoas necessitadas.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação vem trazendo qualidade de vida para os seus pacientes., Minha filha depois que começou a usar a medicação tem tido ótimos resultados, o tratamento só teve benefícios pós trikafta!	2ª - Sim, Qual: Medicação: TRIKFTA , Positivo e facilidades: Melhora significativa na qualidade de vida dos pacientes! , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha melhor amiga tinha fibrose cística. Há época de seu falecimento, em 2014, com apenas 15 anos, o medicamento regulador estava para ser finalmente liberado para uso e com grande promessa da saída da mesma da fila de transplante de pulmão. Porém, por seu altíssimo custo, a família da mesma não pode arcar com tratamento para poder dá-la uma nova chance e infelizmente, ela veio a falecer ainda muito jovem. Eu vivi de perto todo a vida e o pós morte e lembro de todas as internações, tratamentos incansáveis e que, muitas vezes, não surtiam o efeito desejado. Desde então, venho acompanhando muitas pessoas do mundo todo com a mesma doença em redes sociais e todas, sem excessão, que puderam iniciar o uso destas medicações, tiveram melhoras extremamente relevantes, como: a independência do uso do oxigênio para atividades cotidianas, volta a trabalhos e estudos, pois as internações deixaram de ser frequentes, a possibilidade de realizar atividades físicas, lazer e muito mais. , Este medicamento não é apenas importante para a regulação de uma doença sem cura, mas ele é a possibilidade de devolver (ou dar) a vida a uma pessoa. , É de suma importância que todos tenham acesso a medicação, sem custas adicionais, visto que todo outro tipo de tratamento hoje disponível na rede pública de saúde, apenas visa solucionar algo imediato e não a longo prazo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho um sobrinho de 2 anos que está sofrendo com a falta do medicamento.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Não tenho opinião formada, Muito boa	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Muito bom
Pessoa com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou paciente com Fibrose Cística e creio que além de mim outras crianças vão se beneficiar muito da medicação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os pacientes apresentam melhora real e expressiva	2ª - Sim, Qual: Medicamento em pacientes com fibrose , Positivo e facilidades: Melhora clínica expressiva , Negativo e dificuldades: Não percebi	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **17/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou tia de um menino de 15 anos, portador de Fibrose Cística, que faz uso do Trikafta a mais de 2 anos. Depois que ele iniciou o uso de Trikafta, edesde então sua qualidade de vida melhorou significativamente. Antes, ele enfrentava infecções respiratórias frequentes, cansaço constante e muitas limitações nas atividades do dia a dia. Com o tratamento, sua função pulmonar apresentou melhora, reduzindo a necessidade de internações e o uso de antibióticos. O ganho de peso e a melhora do estado nutricional também contribuíram para mais disposição e energia. Atualmente, ele consegue participar das atividades escolares, praticar exercícios e conviver com os amigos com mais tranquilidade. A redução dos sintomas trouxe maior independência e bem-estar emocional. Além disso, a família passou a vivenciar uma rotina menos marcada por preocupações e hospitalizações. O tratamento proporcionou mais esperança e perspectivas para o futuro. Esses avanços demonstram o impacto positivo do Trikafta na vida de pessoas com fibrose cística.	2ª - Sim, Qual: Com o medicamento Trikafta., Positivo e facilidades: Há dois anos, um adolescente com fibrose cística iniciou o tratamento com o Trikafta, e desde então sua qualidade de vida melhorou significativamente. Antes, ele enfrentava infecções respiratórias frequentes, cansaço constante e muitas limitações nas atividades do dia a dia. Com o tratamento, sua função pulmonar apresentou melhora, reduzindo a necessidade de internações e o uso de antibióticos. O ganho de peso e a melhora do estado nutricional também contribuíram para mais disposição e energia. Atualmente, ele consegue participar das atividades escolares, praticar exercícios e conviver com os amigos com mais tranquilidade. A redução dos sintomas trouxe maior independência e bem-estar emocional. Além disso, a família passou a vivenciar uma rotina menos marcada por preocupações e hospitalizações. O tratamento proporcionou mais esperança e perspectivas para o futuro. Esses avanços demonstram o impacto positivo do Trikafta na vida de pessoas com fibrose cística., Negativo e dificuldades: Não teve aspectos negativos. Apenas positivos.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho importante pois abrange mais pessoas com mutações raras!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação de uma medicação tão sensacional representa não somente qualidade de vida e esperança para a pacientes com a doença, mas representa o renascimento de pessoas que reaprendem o significado de sonhar, planejar, confiar e acreditar na VIDA. , De outro norte, os pacientes que utilizam o trikafta, apresentam uma melhora de seus quadros tão significativa, que, gradativamente, reduzem o uso de outras medicações até então utilizadas, com menos internações e possibilidade real de incorporação ao mercado de trabalho. Ou seja, vários são os aspectos positivos, na verdade, eu só consigo enxergar cenário favorável para a incorporação.	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA , Positivo e facilidades: Sempre me emociono quando narro o quanto a medicação, TRIKAFTA, mudou minha vida. Acredito que Deus capacite pessoas para deixarem um legado nessa passagem…. , A Nathalia antes do TRIKAFTA era uma pessoa que chorava sozinha com medo do futuro que a aguardava, que dormia sentada com uma garrafa de água ao seu lado…. Que não podia dar gargalhadas sem cair em uma crise de tosse constrangedora até vomitar toda a secreção acumulada no seu estômago, que não sabia por quanto tempo seria abençoada com a companhia de seu filho, hoje com 06 anos. , O futuro sempre me parecia algo muito incerto, e, com o passar dos anos minha energia e as infecções foram se agravando, a ponto de uma colonização por pseudomonas não mais ser debelada por uma ampla gama de antibióticos que fazia uso, eu estava fadada a conviver com microorganismos que iam me matando dia após dia. , Hoje, posso dizer que confio num futuro com qualidade de vida, que me sinto uma pessoa próxima do “normal”, que posso sonhar com meu filho se formando, construindo sua família eu estando ao seu lado…, E meu desejo é que todos que compartilham da mesma doença, fibrose cística, tenha a mesma oportunidade de renascimento que tive com o TRIKAFTA. , Gratidão à Deus, ao homem que se interessou em pesquisar novas medicações para a doença e gratidão ao SUS, e que nunca nos falte nossa nossa caixa milagrosa!, Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo. A medicação representa VIDA para nós, fibrocísticos.	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme (alfa dornase) e Colimicina, Ambos com uso suspenso graças ao Trikafta, Positivo: Resposta no relato acima, Negativo: Nenhum	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou fisioterapeuta e tia de uma criança de 8 anos com fibrose cística. Acompanho de perto, tanto profissionalmente quanto pessoalmente, os desafios diários impostos pela doença. Por isso, considero fundamental a incorporação dessa tecnologia ao SUS., , A fibrose cística é grave e exige uma rotina intensa de tratamentos, fisioterapia respiratória, uso contínuo de medicamentos, exames frequentes , vejo de perto o quanto isso é desgastante ainda mais quando criança , pois vejo minha sobrinha perdendo vários momentos da vida pois está com a saúde fragilizada ! , , Como profissional de saúde, observo que os medicamentos moduladores da CFTR atuam na causa da doença, promovendo melhora significativa da função pulmonar, redução das exacerbações respiratórias, diminuição da necessidade de antibióticos e internações, além de proporcionar melhor estado nutricional e qualidade de vida além do impacto emocional para As crianças que quando começam a usar no início conseguem evitar sequelas pulmonares , tem casos até de reversão do uso de enzimas, uma vez que conseguiu recuperar o, Pâncreas ! Quando antes iniciar mais benefícios o paciente terá	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Burgel PR et al. Long-term clinical outcomes of elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor therapy in adults with cystic fibrosis and advanced pulmonary disease. Respiratory Medicine, 2023. , , O estudo mencionado acima envolvendo mais de 16 mil pessoas com fibrose cística mostraram redução das hospitalizações, diminuição da frequência de infecções respiratórias, melhora do índice de massa corporal e redução de 72% da mortalidade e de 85% da necessidade de transplante pulmonar quando comparados aos períodos anteriores à disponibilização da terapia. , , Esses resultados indicam que a incorporação da tecnologia tem potencial para modificar a história natural da doença, proporcionando maior sobrevida, melhor qualidade de vida	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor deve ser incorporado ao SUS porque ele não é apenas mais um remédio, mas uma tecnologia que transforma uma doença progressiva e grave em uma condição crônica totalmente controlável. Esse medicamento atua diretamente na causa da fibrose cística, devolvendo a capacidade respiratória, o ganho de peso e a dignidade aos pacientes. Como mãe, vivo essa realidade na pele: tenho uma filha com fibrose cística que está em tratamento desde janeiro deste ano devido a uma pneumonia causada por uma bactéria resistente. O tratamento dela vai se estender por longos 9 meses com antibióticos pesados, um desgaste físico e emocional que poderia ser evitado ou minimizado se ela tivesse acesso a esse medicamento modulador. Negar o acesso a essa tecnologia na rede pública significa limitar o futuro de crianças e jovens e prolongar o sofrimento de famílias inteiras. O SUS nasceu para ser universal e precisa oferecer o que há de mais moderno para salvar vidas, independentemente do custo de uma doença rara.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma criança com esta condição de saúde que necessita deste medicamento	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:
Pessoa com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como portadora da doença eu digo com muita propriedade, é uma rotina extremamente exaustiva e que me priva de fazer muita coisa. Todo dia fazendo fisioterapia, todo dia com uma carga enorme de remédio e inalação durante o dia todo, ser muito minuciosa aonde eu vou e com quem eu vou pra cuidar outras doenças. Pois qualquer doença que eu adquiri são dias ou até meses internada, já desenvolvi uma depressão por conta da rotina da doença. Além disso tudo também tem o fato de você falar o que você tem pras pessoas e todo mundo te olhar estranho como se você fosse um leproso. Eu espero que esteja disponibilizado pelo sus porque eu tenho certeza que vai mudar muito a minha vida e a minha qualidade de vida.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de um adolescente de 14 anos portador de fibrose cística. Ao longo de toda a vida dele, nossa família enfrentou inúmeros desafios causados pela doença. Foram anos de internações, infecções frequentes, consultas, exames e uso constante de medicamentos., Além das complicações respiratórias, meu filho sempre teve dificuldade para ganhar e manter peso adequado, o que impacta sua saúde e seu desenvolvimento. Muitas vezes, mesmo seguindo corretamente o tratamento, os medicamentos demoram a fazer efeito, e vivemos com a preocupação constante de novas infecções e agravamento do quadro., Como mãe, é muito difícil ver um filho enfrentar limitações que outras crianças e adolescentes não precisam enfrentar. A fibrose cística afeta não apenas o paciente, mas toda a família, que vive em estado permanente de atenção e preocupação., Por isso, peço que seja considerado o acesso ao Trikafta pelo SUS. Esse medicamento representa esperança para famílias como a minha, pois pode proporcionar melhor função pulmonar, menos infecções, menos internações, melhor ganho de peso e mais qualidade de vida., Acredito que nossos filhos merecem a oportunidade de ter acesso ao tratamento mais eficaz disponível. O custo do medicamento é inacessível para a maioria das famílias brasileiras, tornando o acesso pelo SUS a única possibilidade real para muitos pacientes., Espero que a decisão final considere o impacto humano dessa doença e a oportunidade de oferecer um futuro mais saudável e digno às pessoas que vivem com fibrose cística.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: * Enzimas pancreáticas (Creon, etc.), * Antibióticos para tratar ou prevenir infecções, * Fisioterapia respiratória, * Solução salina hipertônica, * Dornase alfa (Pulmozyme), * Suplementação nutricional, * Outros medicamentos para fibrose cística, Positivo: Os tratamentos utilizados ao longo dos anos foram importantes para ajudar no controle da fibrose cística. Eles contribuíram para o tratamento das infecções, auxiliaram na digestão e absorção dos nutrientes, ajudaram na eliminação de secreções pulmonares e permitiram uma melhor qualidade de vida. Graças a esses tratamentos, foi possível controlar diversas complicações da doença e proporcionar períodos de maior estabilidade clínica., Negativo: Apesar de serem fundamentais para o tratamento da fibrose cística, as tecnologias atualmente disponíveis não conseguem controlar completamente a progressão da doença. Meu filho continua apresentando infecções frequentes, necessitando de internações e uso constante de medicamentos. A rotina de tratamento é intensa, exige muito tempo e dedicação diária, impactando sua qualidade de vida., Além disso, ele enfrenta dificuldades para ganhar peso, tosse frequente e eliminação constante de secreções, chegando muitas vezes a vomitar catarro, o que causa desconforto físico e constrangimento social. Mesmo seguindo corretamente o tratamento, os resultados nem sempre são os esperados, o que gera preocupação constante para toda a família.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento tem um custo muito alto, pessoas estão morrendo por falta dele e o SUS é uma esperança.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: O SUS me proporcionou um tratamento com creon,pulmozyme inalatoria,tobramicina inalatória esse medicamentos para o tratamento de Fibrose cística., Positivo: Melhora na condição de vida, a falta deles resulta em internações de recorrência, como já ocorreu., Negativo: A falta dessas medicações já me ocorreram internações.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento é essencial para garantir a melhoria da saúde e a qualidade de vida do portador da doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha melhor amiga sofre com fibrose cística, vejo os efeitos da doença diariamente em sua rotina, fazendo-a voltar frequentemente ao hospital, tomando medicações fortes ao ponto de a deixarem fora de si. Se tem algo que possa fazê-la melhorar, só precisaríamos dessa liberação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - A realidade da grande maioria dos brasileiros está muito longe de conseguir pagar um valor tão alto por mês, muitas das vezes não conseguem nem se manter, o empresários então nem se fala sofrem diariamente com o mercado do país, uma medicação que seria para ajudar na realidade viraria mais uma dor de cabeça em muitas famílias.
Pessoa com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento mudou a minha vida, antes do medicamento minha expectativa de vida era baixa, com muitas intercorrências medicas, internações e uso constante de diversos medicamentos e hoje tenho uma vida normal tomando apenas esse medicamento., Hoje consigo praticar exercícios físicos que melhoram minha condição de saúde, consigo viver e trabalhar de forma normal.	2ª - Sim, Qual: Eu tomo regularmente o medicamento Trikafta onde tive uma melhora da minha função pulmonar em 40% me possibilitando ter uma vida normal e produtiva. , Positivo e facilidades: Uma grande melhora na qualidade de vida, consigo me exercitar, consigo viver uma vida normal sem a necessidade de internações e uso de diversos medicamentos., Negativo e dificuldades: Unico ponto negativo é a busca mensal que preciso fazer no Rio de Janeiro.	3ª - Sim, Qual: Eu tomava os remédios prescritos pelos medicos, que ajudavam mas não era o tratamento ideal para a Fibrose Cistica. , Positivo: Uma melhora de vida em 100%, melhora na respiração, melhora das dores pelo corpo, melhora nos exames medicos, Negativo: Não tive experiencia ruim.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acompanho o tratamento de perto de uma amiga	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Não sei informar os nomes , Positivo: É para minha tia e ela está sempre bem de saúde , Negativo: As vezes a falta do medicamento	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Saúde é um direito de todos e é um dever do estado., Esse é um princípio do sus. , Outro princípio diz que os iguais devem ser tratados como iguais e os diferentes devem ser tratados diferentemente de acordo com suas necessidades. Esse é o princípio da equidade., Necessidade de um paciente com fibrose cística, com mutação compatível , é o uso do trikafta. Entendemos que existe uma indústria por trás disso tudo que precisa lucrar e o sus que deve considerar os valores para que consiga oferecer tratamento para todos. Entretanto, sabemos que sem a medicação, o número de internações aumenta, uso de antibióticos e a resistência aos mesmos aumenta, assim como o número de cirurgias (traqueostomias e gastrostomias), diminui a função pulmonar, gerando dependência de O2 e até mesmo necessidade de transplante. Isso tudo leva a limitações do cotidiano , inclusive da capacidade de trabalho no futuro. E não é possível que o peso disso tudo seja infinitamente menor do que o custo do medicamento para o SUS. Isso tudo gera custo sim, custos altíssimos para a sociedade , que terá um indivíduo sem capacidade de trabalho, mas um custo ainda mais alto para as crianças e suas famílias.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importância para as crianças, diminuição no número de internações, resistência a antibióticos. Qualidade de vida para a família e o paciente, convívio social, menor gasto público com UTIs e internações.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu tenho uma neta com fibrose cistica ,e eu acho muito sofrimento para ele ,e pra td que convive com essa doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É uma medicação muito inovadora que faz dar qualidade de vida aos pacientes com fibrose cística e todos merecem ter o acesso a essa medicação todos merecem viver.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com essa medicação a Valentina vai melhorar muito., Pois ela faz muito medicações e isso atrapalha e sobrecarrega ela na vida cotidiana dela..	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Estará salvando vidas, que não tem recursos para as medicações necessárias.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acredito que esse remédio precisa ser liberado pelo SUS, porque ele pode representar uma grande mudança na vida da Valentina e de muitas outras pessoas que enfrentam a fibrose. Eu estou sempre presente no convívio dela e acompanho de perto as dificuldades que ela passa diariamente por causa da sua condição de saúde., , A Valentina enfrenta vários desafios, e a fibrose acaba trazendo consequências que podem afetar outros órgãos importantes, como o rim e o coração. Por isso, ter acesso a esse tratamento pelo SUS é algo muito importante, pois pode ajudar no controle da doença, melhorar sua qualidade de vida e trazer mais segurança para o futuro dela., , A saúde é um direito de todos, e quando existe um medicamento que pode ajudar pessoas como a Valentina, acredito que ele deve estar disponível para quem precisa. Esse remédio pode significar uma oportunidade de viver com mais cuidado, menos limitações e mais esperança. Por acompanhar a luta dela, vejo o quanto essa liberação é necessária e o quanto pode fazer a diferença na vida dela.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que deve ser incorporado pois as famílias que convivem com a doença além de não ter cura gera muita dificuldade financeira com o tratamento e conforme estudos indicam tem apresentado grande melhora , eu gostaria que fosse ofertado para meu filho assim teria esperança de vê-lo crescer saudável trabalhando e com vida independente .	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser implantado o mais rápido possível	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Quem tem Fibrose Cística precisa dessa medicação, esse é o único tratamento real para doença, outras medicações são apenas para tratamento de sintomas	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Antibióticos, enzimas, e muitos tratamentos que só funcionam para os sintomas. Nada conseguiu salvar meu pulmão então fui transplantada jovem por falta de medicação que realmente funcionava , Positivo: Quase nada positivo com outras medicações e tratamentos, só o transplante pulmonar que só foi necessário por falta de um tratamento eficaz. A falta de um tratamento específico me levou ao transplante , Negativo: Os tratamentos anteriores só melhoram pontualmente, é quase um paleativo e a gente só piora e piora até o pulmão colapsar e você precisar de outro.... Isso se der tempo de você conseguir outro	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que o medicamento Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor deve ser incorporado ao SUS porque a Fibrose Cística impõe uma rotina extremamente pesada aos pacientes e suas famílias. São horas diárias dedicadas a inalações, fisioterapia respiratória e uso de diversos medicamentos, além de consultas frequentes e internações recorrentes por infecções pulmonares. Essa realidade faz com que crianças e adolescentes percam aulas, convivência social e momentos importantes da infância, enquanto os pais muitas vezes precisam abrir mão do trabalho para se dedicar aos cuidados., , Além do sofrimento físico, a doença gera impactos emocionais e financeiros significativos para toda a família. O medo constante de infecções e o isolamento social limitam a vida dos pacientes. O Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor pode transformar essa realidade ao reduzir infecções, internações e a carga diária de tratamentos, devolvendo qualidade de vida, autonomia e a possibilidade de estudar, trabalhar e viver de forma mais próxima da normalidade.,	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Defendo a incorporação do Trikafta ao SUS para pessoas com mutações raras da fibrose cística porque o acesso ao tratamento não pode ser condicionado à questão financeira. Embora essas mutações atinjam um número reduzido de pacientes, seus impactos sobre a saúde, a qualidade de vida e a expectativa de vida são significativos e exigem resposta adequada do sistema público de saúde., , O princípio da equidade, que orienta o SUS, pressupõe justamente a adoção de medidas diferenciadas para atender necessidades específicas da população. Excluir pacientes com mutações raras do acesso a uma terapia modificadora da doença amplia desigualdades e perpetua barreiras ao tratamento., , Além disso, o Trikafta representa um avanço terapêutico capaz de atuar na causa da doença, reduzindo complicações, internações, infecções respiratórias recorrentes e a progressão do comprometimento pulmonar. Seus benefícios ultrapassam o âmbito individual, contribuindo para a redução de custos assistenciais de longo prazo e para a melhoria das condições de vida dos pacientes e de suas famílias., , A incorporação do medicamento para mutações raras também reafirma o compromisso do SUS com a integralidade da atenção e com a proteção das pessoas que vivem com doenças raras, garantindo que critérios de justiça social e evidências científicas prevaleçam sobre a simples dimensão financeira., , Por essas razões, considero fundamental que o Trikafta seja disponibilizado pelo SUS também para pacientes com mutações raras, assegurando acesso equitativo à inovação terapêutica e ao direito constitucional à saúde.,	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: A principal contribuição da tecnologia em avaliação é sua capacidade de atuar na causa da doença, proporcionando benefícios clínicos que vão além do tratamento apenas dos sintomas. A partir da experiência observada com pacientes que tiveram acesso à terapia, percebe-se melhora da função pulmonar, redução de exacerbações e infecções respiratórias, diminuição das internações e maior estabilidade do quadro clínico., , Além dos resultados físicos, a tecnologia tem impacto significativo na qualidade de vida. Minha filha, por exemplo, passou a apresentar maior disposição para atividades cotidianas, estudos, trabalho e convívio social, com redução da sobrecarga imposta pela doença e pelos tratamentos frequentes., , Outro aspecto positivo é a perspectiva de desaceleração da progressão da fibrose cística, contribuindo para a preservação da função pulmonar e para melhores desfechos em longo prazo. Isso representa não apenas um ganho para os pacientes e suas famílias, mas também potencial redução de custos relacionados a hospitalizações, complicações e procedimentos mais complexos., , Considero, portanto, que a tecnologia representa um avanço terapêutico espetacular, especialmente por oferecer a pacientes uma oportunidade concreta de viver com mais saúde, autonomia e qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Atualmente trabalho em um centro de Fibrose Cística e vivencio na pratica as melhorias (significativas) do uso de ETI nas crianças que atendo. A ampliação da bula é essencial para contemplar mais crianças	2ª - Sim, Qual: Medicação ETI - prescrição medica, Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida, função pulmonar, ganho de peso, redução das exacerbações em pacientes que acompanho, Negativo e dificuldades: Falta de ampliação na bula	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento pode melhorar significativamente a função pulmonar e a qualidade de vida.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho uma bebê de 3 anos e gostaria muitos que liberassem para todas as idades, para ter uma vida melhor sem medo e preocupação!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O uso da medicação é a única chance que esses pacientes têm para uma qualidade de vida adequada. Vamos, nos dias de hoje, deixá-los viver a história natural da doença que é trágica?,	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Redução do número de infecções e internações , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, São pacientes que têm sua vida muito alterada, com problemas físicos e psicológicos, que merecem uma atenção especial.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para ajudar crianças e adultos	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Embora a F508del seja a variante mais frequente do gene CFTR e tenha sido central para demonstrar a eficácia do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, ela não deve ser o único critério de acesso. A fibrose cística é causada por múltiplas variantes, e o benefício do tratamento depende da capacidade do modulador de restaurar a função da proteína CFTR, não apenas da frequência da mutação., O estudo de Bihler et al. (Journal of Cystic Fibrosis, 2024) avaliou in vitro 655 variantes CFTR e mostrou que diversas variantes raras não-F508del apresentam resposta funcional ao elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor. Em alguns casos, o ganho funcional pode ser relevante, comparável ou até superior ao observado em variantes já contempladas., Excluir pacientes com variantes raras comprovadamente responsivas cria desigualdade terapêutica dentro de uma doença já rara. Esses pacientes têm a mesma doença progressiva e uma proteína CFTR potencialmente recuperável, mas ficam sem acesso apenas porque sua mutação é menos comum. Em doenças raras, estudos clínicos específicos para cada variante são muitas vezes inviáveis, por isso, dados funcionais in vitro são uma ferramenta científica racional para orientar decisões., Assim, apoio a incorporação do tratamento para pacientes com fibrose cística portadores de variantes não-F508del responsivas, com critérios baseados na resposta funcional da mutação e no potencial benefício clínico.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - J Cyst Fibros, . 2024 Jul, 23(4):664-675. doi: 10.1016/j.jcf.2024.02.006. Epub 2024 Feb 22., In vitro modulator responsiveness of 655 CFTR variants found in people with cystic fibrosis, , Hermann Bihler 1 , Andrey Sivachenko 1 , Linda Millen 2 , Priyanka Bhatt 1 , Amita Thakerar Patel 3 , Justin Chin 1 , Violaine Bailey 1 , Isaac Musisi 1 , André LaPan 1 , Normand E Allaire 1 , Joshua Conte 1 , Noah R Simon 4 , Amalia S Magaret 4 , Karen S Raraigh 5 , Garry R Cutting 5 , William R Skach 6 , Robert J Bridges 3 , Philip J Thomas 2 , Martin Mense 7, Affiliations expand, PMID: 38388235 DOI: 10.1016/j.jcf.2024.02.006	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou totalmente favorável à incorporação do elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor (Trikafta®) pelo SUS para pacientes com fibrose cística elegíveis ao tratamento.. Os moduladores de CFTR, especialmente o Trikafta, têm proporcionado melhora expressiva dos parâmetros clínicos, maior estabilidade respiratória, redução da progressão da doença e melhora significativa da qualidade de vida dos pacientes com fibrose cística elegíveis ao tratamento.A fibrose cística é uma doença genética grave, progressiva e multissistêmica, que compromete principalmente os pulmões, o sistema digestivo e a qualidade de vida dos pacientes. Antes dos moduladores de CFTR, o tratamento era predominantemente paliativo, voltado apenas para o controle dos sintomas e das complicações., O elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor representa uma mudança de paradigma, pois atua na causa básica da doença, proporcionando melhora da função pulmonar, redução das exacerbações respiratórias, melhora do estado nutricional e maior expectativa e qualidade de vida., Embora o medicamento tenha alto custo inicial, a não incorporação gera consequências ainda mais onerosas ao sistema de saúde, como internações recorrentes, uso frequente de antibióticos, procedimentos de alta complexidade, afastamentos das atividades escolares e profissionais, além de transplantes pulmonares e suas complicações., A incorporação pelo SUS também representa uma medida de equidade. Atualmente, muitos pacientes só conseguem acesso ao tratamento por meio de ações judiciais, criando desigualdade entre aqueles que conseguem judicializar e aqueles que não possuem condições de fazê-lo. O acesso a uma terapia modificadora da doença não deve depender da capacidade de litigar, mas ser garantido de forma universal e igualitária pelo sistema público de saúde.,	2ª - Sim, Qual: elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: A melhora clínica proporcionada pelo Trikafta está associada à redução de exacerbações pulmonares, menor necessidade de internações, diminuição de procedimentos e tratamentos de alta complexidade e potencial redução dos custos relacionados às complicações da fibrose cística. Embora o medicamento tenha elevado custo inicial, sua utilização tende a evitar eventos graves e reduzir despesas decorrentes da progressão da doença. Após o início do Trikafta, observou-se melhora clínica significativa, com maior estabilidade respiratória, melhora da disposição física, maior capacidade para realizar atividades diárias, redução da sobrecarga relacionada aos sintomas e melhora da qualidade de vida. , O tratamento permitiu maior perspectiva de manutenção da função pulmonar e de um cotidiano mais próximo da normalidade.O tratamento proporcionou melhora significativa da estabilidade clínica, da capacidade respiratória, da disposição física e da qualidade de vida. Houve maior tolerância às atividades diárias, melhora do bem-estar geral e redução do impacto da doença na rotina do paciente e de sua família. A terapia também oferece a perspectiva concreta de retardar a progressão da doença e preservar a função pulmonar por mais tempo., , Negativo e dificuldades: O principal aspecto negativo não está relacionado ao medicamento em si, mas à dificuldade de acesso. O alto custo torna o tratamento inacessível para a maioria das famílias, fazendo com que muitos pacientes dependam de decisões judiciais e enfrentem períodos de incerteza quanto à continuidade do tratamento.	3ª - Sim, Qual: Antes dos moduladores de CFTR, os tratamentos disponíveis consistiam em reposição enzimática pancreática, vitaminas, fisioterapia respiratória, antibióticos, suporte nutricional e acompanhamento multidisciplinar., Positivo: Esses tratamentos são fundamentais para o controle dos sintomas e para a redução de complicações, proporcionando suporte clínico importante aos pacientes., Negativo: Nenhuma dessas terapias atua diretamente na causa da doença. Mesmo seguindo rigorosamente o tratamento convencional, muitos pacientes continuam apresentando progressão da doença pulmonar, infecções recorrentes, comprometimento nutricional, hospitalizações frequentes e deterioração progressiva da qualidade de vida.	4ª - As evidências clínicas disponíveis demonstram que o elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor promove melhora significativa da função pulmonar, redução das exacerbações respiratórias, melhora do estado nutricional, redução da carga terapêutica e aumento da qualidade de vida. Estudos e a experiência clínica acumulada mostram que os moduladores de CFTR modificam a história natural da fibrose cística, permitindo maior sobrevida e menor progressão das complicações., Os benefícios são observados não apenas em parâmetros laboratoriais e funcionais, mas também em desfechos relevantes para os pacientes, como redução de internações, maior capacidade para atividades diárias, menor limitação física e melhor inserção social e profissional.,	5ª - Embora o custo inicial do elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor seja elevado, a análise econômica deve considerar o custo total da doença ao longo da vida do paciente. A fibrose cística está associada a internações recorrentes, uso prolongado de antibióticos de alto custo, procedimentos especializados, acompanhamento multidisciplinar contínuo, incapacidades funcionais e, em casos avançados, transplante pulmonar., A melhora clínica proporcionada pelo tratamento reduz a ocorrência de exacerbações graves, diminui a necessidade de hospitalizações e de procedimentos de alta complexidade, além de retardar a progressão da doença. Esses benefícios têm potencial de gerar economia ao sistema de saúde no médio e longo prazo., Além disso, a incorporação pelo SUS pode reduzir a crescente judicialização relacionada ao acesso ao medicamento, proporcionando maior previsibilidade orçamentária, racionalidade na gestão dos recursos públicos e acesso equitativo aos pacientes elegíveis.,

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:
Pessoa com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor (Trikafta®) pelo SUS para pacientes com fibrose cística que atendam aos critérios de elegibilidade, em razão dos benefícios clínicos significativos e do potencial de transformação na evolução da doença.A fibrose cística é uma doença genética grave, crônica e progressiva, que afeta diversos órgãos, especialmente os pulmões e o sistema digestivo, comprometendo de forma importante a qualidade e a expectativa de vida dos pacientes. Durante muitos anos, os tratamentos disponíveis tiveram como principal objetivo controlar sintomas e tratar complicações, sem modificar a causa da doença., O elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor representa um importante avanço terapêutico por atuar diretamente no defeito da proteína CFTR, possibilitando melhora da função pulmonar, redução de exacerbações respiratórias, melhora do estado nutricional e maior estabilidade clínica., Apesar do elevado custo inicial, a ausência dessa terapia pode resultar em maiores gastos para o sistema de saúde devido às internações frequentes, uso contínuo de medicamentos de alto custo, procedimentos complexos e necessidade de transplante pulmonar em casos avançados., Além disso, a incorporação pelo SUS promove maior equidade no acesso ao tratamento. Atualmente, muitos pacientes dependem de ações judiciais para obter o medicamento, o que gera desigualdades e insegurança quanto à continuidade do tratamento. O acesso a uma terapia capaz de modificar a história natural da doença deve ser garantido de forma universal e igualitária.,	2ª - Sim, Qual: elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor , Positivo e facilidades: O tratamento proporcionou melhora importante da condição clínica geral, maior estabilidade respiratória, aumento da disposição física e melhora significativa da qualidade de vida. Houve redução das limitações impostas pela doença, maior capacidade de realizar atividades cotidianas e melhora do bem-estar do paciente e de sua família. A terapia também oferece a perspectiva de retardar a progressão da doença e preservar a função pulmonar por mais tempo., Negativo e dificuldades: O principal desafio observado está relacionado ao acesso ao medicamento. O alto custo dificulta sua obtenção pela maioria das famílias, tornando frequente a necessidade de judicialização e gerando preocupação constante quanto à manutenção do tratamento de forma contínua e regular.O principal desafio observado está relacionado ao acesso ao medicamento. O alto custo dificulta sua obtenção pela maioria das famílias, tornando frequente a necessidade de judicialização e gerando preocupação constante quanto à manutenção do tratamento de forma contínua e regular.	3ª - Sim, Qual: Antes dos moduladores de CFTR, o tratamento era baseado em reposição enzimática pancreática, suplementação vitamínica, fisioterapia respiratória, antibióticos, suporte nutricional e acompanhamento multidisciplinar., Positivo: Essas terapias são essenciais para o manejo da fibrose cística, auxiliando no controle dos sintomas, na prevenção de complicações e na manutenção do estado clínico dos pacientes., Negativo: Apesar de indispensáveis, essas abordagens não corrigem a causa da doença. Mesmo com adesão adequada ao tratamento convencional, muitos pacientes continuam apresentando progressão da doença pulmonar, infecções recorrentes, comprometimento nutricional e perda gradual da qualidade de vida.	4ª - As evidências clínicas disponíveis demonstram que o elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor proporciona benefícios relevantes aos pacientes com fibrose cística, incluindo melhora da função pulmonar, redução das exacerbações respiratórias, melhora do estado nutricional e aumento da qualidade de vida., A experiência clínica acumulada indica que os moduladores de CFTR têm capacidade de modificar a evolução natural da doença, proporcionando maior estabilidade clínica e reduzindo a progressão das complicações. Os benefícios são percebidos não apenas em exames e indicadores funcionais, mas também em aspectos concretos do cotidiano dos pacientes, como menor limitação física, redução de hospitalizações e maior participação nas atividades sociais, educacionais e profissionais.,	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor (Trikafta®) pelo SUS, considerando os benefícios clínicos e o impacto positivo na evolução da fibrose cística.A fibrose cística é uma doença grave e progressiva que compromete a função pulmonar, o sistema digestivo e a qualidade de vida dos pacientes. O Trikafta® atua na causa da doença, proporcionando melhora da função pulmonar, maior estabilidade clínica e melhor qualidade de vida., Apesar do alto custo inicial, sua incorporação pode reduzir internações, procedimentos complexos e a necessidade de transplante pulmonar, além de garantir acesso mais igualitário aos pacientes, evitando a judicialização.,	2ª - Sim, Qual: elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor (Trikafta®), Positivo e facilidades: O tratamento proporcionou melhora da condição clínica, maior estabilidade respiratória, mais disposição e significativa melhora da qualidade de vida, reduzindo as limitações impostas pela doença., Negativo e dificuldades: O principal problema é a dificuldade de acesso devido ao alto custo do medicamento, o que faz com que muitas famílias dependam de decisões judiciais para garantir a continuidade do tratamento.	3ª - Sim, Qual: Antes dos moduladores de CFTR, o tratamento era baseado em reposição enzimática, vitaminas, fisioterapia respiratória, antibióticos e suporte nutricional., Positivo: Antes dos moduladores de CFTR, o tratamento era baseado em reposição enzimática, vitaminas, fisioterapia respiratória, antibióticos e suporte nutricional., Negativo: Embora sejam essenciais, não atuam na causa da doença e não impedem sua progressão, sendo comuns infecções recorrentes, piora pulmonar e perda da qualidade de vida.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou prova viva de que a medicação é ótimo ela me tirou da fila de transplante de pulmão, hoje em dia graças a ela estou bem.	2ª - Sim, Qual: Com a medicação Trikafta (elexacaftor 100mg,tezacaftor 50mg,ivacaftor 75mg + ivacaftor 150mg, Positivo e facilidades: Melhoras clínicas uma vida nova hoje em dia , Negativo e dificuldades: No momento nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Não acho que deve ser incorporada no SUS, Devem ter direito à saúde e a cura quando tiver medicação todo cidadão com algum grau de doença e necessita do apoio do governo sem custo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, urgente precisam desses medicamentos, pois se está tendo essa petição é porque eles não tem condições para tratar	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É de grande importância que venha ser incorporada no SUS, pois tem pessoas que necessitam realmente dessa ajuda e não tem condições de pagar. Pessoas com doenças a espera de um milagre.	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 **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, nem todos tem a condição de comprar essa medicação!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Saúde é direito previsto na Constituição Federal de 1988.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Es uns tratamento de exima necessidade para muitos por isso acho muito importante que seja fornecido pelo SUS pois o custo e muito alto para que precisa para viver	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor pelo SUS, pois esse tratamento representa uma importante evolução para pacientes com fibrose cística, podendo melhorar significativamente a qualidade de vida, reduzir complicações e aumentar a expectativa de vida. Garantir o acesso pelo SUS é fundamental para promover mais equidade e oferecer aos pacientes uma terapia eficaz e baseada em evidências.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Isso irá salvar muitas vidas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor pelo SUS, pois esse tratamento representa uma importante evolução para pacientes com fibrose cística, podendo melhorar significativamente a qualidade de vida, reduzir complicações e aumentar a expectativa de vida. Garantir o acesso pelo SUS é fundamental para promover mais equidade e oferecer aos pacientes uma terapia eficaz e baseada em evidências.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **18/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pai de fibrocistico e minha filha terá uma vida mais normal com esta medicação. Sem declínio de sua saúde repentinamente, impedindo de trabalhar, estudar, ter vida social, para tratar sua saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhora significativa das crianças	2ª - Sim, Qual: Como pneumologista prescrevendo aos pacientes, Positivo e facilidades: Melhora significativa da qualidade de vida, função pulmonar e ganho de peso, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Ivacaftor, Positivo: Menos eficiente que o trikafta, Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma pessoa portadora da doença que está à espera do medicamento a anos e vejo a diferença que esse medicamento pode fazer na virada dela e de todos que o aguardam	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Aumenta a sobrevida do paciente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Precisa ser incorporada ao sus	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve sim , ser incorporada no SUS,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As pessoas precisam de ajuda, a esperança sempre deve vir acompanhada da a ação.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que seja importante para melhorar a qualidade de vida de quem vive com a doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "?""A incorporação desta tecnologia é fundamental para garantir o direito à saúde e ampliar as opções terapêuticas disponíveis na rede pública. Ela representa um avanço importante no tratamento, oferecendo maior eficácia, melhoria direta na qualidade de vida dos pacientes e a chance de um prognóstico mais favorável. Garantir o acesso universal a tratamentos modernos e validados cientificamente é essencial para reduzir as desigualdades na saúde e consolidar os princípios de integralidade e equidade do SUS."	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, tem q ser distribuido medicamento de graça	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Não tenho opinião formada, Não tenho opinião formada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas pessoas precisam de tratamentos e medicações que hoje não estão inclusas no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor pelo SUS, pois esse tratamento representa uma importante evolução para pacientes com fibrose cística, podendo melhorar significativamente a qualidade de vida, reduzir complicações e aumentar a expectativa de vida. Garantir o acesso pelo SUS é fundamental para promover mais equidade e oferecer aos pacientes uma terapia eficaz e baseada em evidências.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou a favor da inclusão desse medicamento no SUS. Ele pode ajudar muito quem tem fibrose cística a viver melhor e com menos complicações. É uma oportunidade importante para mais pacientes terem acesso ao tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Diante de casos de uma doença que agride tanto o corpo, não há motivos para não introdução visto que nosso país possui recursos para tal.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Não tenho opinião formada, NADA A DECLARAR	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque é algo que todos devem ter direito, e acesso	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor pelo SUS, pois esse tratamento representa uma importante evolução para pacientes com fibrose cística, podendo melhorar significativamente a qualidade de vida, reduzir complicações e aumentar a expectativa de vida. Garantir o acesso pelo SUS é fundamental para promover mais equidade e oferecer aos pacientes uma terapia eficaz e baseada em evidências.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ajuda na saúde da galera	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com certeza tem que ser incorporada no SUS, por ser um tratamento extremamente importante e salva vidas!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho muito necessária	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas pessoas precisam e não tem condições financeiras!	2ª - Sim, Qual: Avaliação genética , Positivo e facilidades: Tratamentos preventivo e precaução que evitam tratamento maiores futuros , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, De suma importância que todas as pessoas tenham acesso ao medicamento de graça	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Saúde e bem-estar é direito de todos, mesmo quem não tem condições.	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 **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Contribuição solicitada para a Amiga de uma filha que está muito doente!!!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor pelo SUS, pois esse tratamento representa uma importante evolução para pacientes com fibrose cística, podendo melhorar significativamente a qualidade de vida, reduzir complicações e aumentar a expectativa de vida. Garantir o acesso pelo SUS é fundamental para promover mais equidade e oferecer aos pacientes uma terapia eficaz e baseada em evidências.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu conheço uma pessoa que tem a doença e sei a diferença que esse medicamento farias na vida dessa pessoa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O SUS tem que ter todos os remédios que e necessário pra ajudar crianças e adultos com dificuldade financeira.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Bom	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que deva ser incorporado ao SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A saúde é um direito previsto na CF, seja de baixo ou alto custo , se existe medicamento que possa dar qualidade de vida ao paciente é obrigação do Estado, cumprir a constituição brasileira	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas pessoas sem condições financeiras necessitam da 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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Nada a falar	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil **19/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor pelo SUS, pois esse tratamento representa uma importante evolução para pacientes com fibrose cística, podendo melhorar significativamente a qualidade de vida, reduzir complicações e aumentar a expectativa de vida. Garantir o acesso pelo SUS é fundamental para promover mais equidade e oferecer aos pacientes uma terapia eficaz e baseada em evidências.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **20/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho importante pois nem todas as pessoas que sofrem com esse problema tem condições de pagar altos valores, e saúde é direito de todos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **20/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que seja importante para melhorar a qualidade de vida das pessoas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **20/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ajudar a dar mais qualidade de vidas as pessoas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **20/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor pelo SUS, pois esse tratamento representa uma importante evolução para pacientes com fibrose cística, podendo melhorar significativamente a qualidade de vida, reduzir complicações e aumentar a expectativa de vida. Garantir o acesso pelo SUS é fundamental para promover mais equidade e oferecer aos pacientes uma terapia eficaz e baseada em evidências.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **21/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento é caro e é uma luz na vida de muitos jovens portadores da doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **21/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Mais oportunidades de tratamento e cura para as pessoas com essa condição.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **22/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ter mais medicamentos gratuitos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **22/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu Filho tem muitas internações por não ter acesso a um medicamento mais eficaz. Acredito que utilizar o Trikafta seria uma grande chance de ajudar nas pesquisas e mesmo que não seja tão eficiente para o tratamento dele poderia reduzir as acebarções diárias que vem tendo. As mutações dele poderia ser estudada e beneficiar outras pessoas com a mesma situação.	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:
Organização da Sociedade Civil **22/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Grupo de Apoio ao Paciente Reumático Brasil manifesta apoio à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor no SUS para pessoas com fibrose cística, com 6 anos ou mais, que possuem variantes não-F508del responsivas ao medicamento., A fibrose cística é uma doença rara, grave, progressiva e sem cura, que impõe uma rotina de sofrimento, limitações, internações e medo constante da piora respiratória. Para os pacientes e suas famílias, cada melhora na respiração, na disposição e na qualidade de vida representa mais tempo de escola, trabalho, convivência familiar e esperança., Embora a Conitec tenha apontado preocupação com o custo e o impacto orçamentário, o relatório reconhece benefícios relevantes da tecnologia, como melhora da função pulmonar, redução de secreções, diminuição de exacerbações e melhora da qualidade de vida. Por isso, defendemos que a decisão final considere o valor humano dessa incorporação, especialmente para pacientes com variantes raras que também respondem ao tratamento., Solicitamos que a tecnologia seja incorporada ao SUS com critérios claros, monitoramento de resultados e negociação de preço, garantindo acesso responsável, sustentável e justo.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - O Grupo de Apoio ao Paciente Reumático Brasil manifesta apoio à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor no SUS para pessoas com fibrose cística, com 6 anos ou mais, que possuem variantes não-F508del responsivas ao medicamento., A fibrose cística é uma doença rara, grave, progressiva e sem cura, que impõe uma rotina de sofrimento, limitações, internações e medo constante da piora respiratória. Para os pacientes e suas famílias, cada melhora na respiração, na disposição e na qualidade de vida representa mais tempo de escola, trabalho, convivência familiar e esperança., Embora a Conitec tenha apontado preocupação com o custo e o impacto orçamentário, o relatório reconhece benefícios relevantes da tecnologia, como melhora da função pulmonar, redução de secreções, diminuição de exacerbações e melhora da qualidade de vida. Por isso, defendemos que a decisão final considere o valor humano dessa incorporação, especialmente para pacientes com variantes raras que também respondem ao tratamento., Solicitamos que a tecnologia seja incorporada ao SUS com critérios claros, monitoramento de resultados e negociação de preço, garantindo acesso responsável, sustentável e justo.,	5ª - O Grupo de Apoio ao Paciente Reumático Brasil solicita que a decisão final da Conitec considere a realidade das pessoas que vivem com fibrose cística no Brasil, especialmente aquelas que ainda não têm acesso a terapias capazes de atuar na causa da doença., A não incorporação pode ampliar desigualdades, pois pacientes com outras variantes já contam com moduladores da CFTR no SUS, enquanto pessoas com variantes não-F508del responsivas permanecem sem a mesma oportunidade terapêutica. A equidade exige que pacientes raros não sejam invisibilizados pelo tamanho reduzido de sua população., Defendemos a incorporação com estratégias de sustentabilidade, como negociação de preço, acordo de acesso gerenciado, acompanhamento em vida real, fortalecimento da genotipagem no SUS e definição transparente dos pacientes elegíveis., Para essas famílias, a incorporação significa mais do que acesso a um medicamento: significa respirar melhor, reduzir internações, preservar a infância, a juventude, a autonomia e a possibilidade de viver com mais dignidade. Por isso, pedimos uma decisão final favorável, responsável e comprometida com a vida.,

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 **22/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, seria muito importante o uso dessas medicações em todas as populçãoes que apresentem as mutações	2ª - Sim, Qual: trikafta, Positivo e facilidades: melhora clinica e radiológica., Negativo e dificuldades: efeitos colaterais reversiveis	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **22/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento salva vidas , assim como salvou do meu filho aos 9 anos , onde desse quando nasceu sempre foi uma criança com muita fragilidade, quadros de internações constante e vindo aos 8 anos ter 22% de função pulmonar devido a progressividade da doença. Ele nao tinha uma vida comum, era entre medicamentos, tratamento e privações. O medicamento deu a ele a oportunidade de viver como nunca, de ter uma vida normal e digna e acredito que o quando antes essas crianças vierem a tomar o Trikafta menos sequelas terão,mas vida salvas. As cuidadoras como nós mães voltaremos a viver nossas vidas e não viver em função apenas de tratarmos e mantermos nossos filhos vivos .	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, hj meu filho vivi uma vida que nunca imaginei que iria viver. Foi graças a essas medicações meu filho que nem antibiótico tinha mais opções de uso devido resistência aos antibióticos vive uma vida plena, feliz e longe de hospital Estuda ,prática esporte sem passa mal, função pulmonar perfeita, pois teve uma grande evolução no pulmão e via respiratória,eu como cuidadora voltei pra faculdade e o que antes era ansiedade e medo por tanta recorrência da FC ,o medo da morte que era quase certa . Nossas crianças precisam experimentar do que é ter uma vida normal, esse medicamento muda e salva as vidas., Positivo e facilidades: Respiração,saturação , ganho de peso e função pulmonar, zerou a secreção que ele produzia, E o principal, zerou internação ,dentre números efeitos positivos., Negativo e dificuldades: Nenhum .	3ª - Sim, Qual: Pulmozaime, tobramicina,dekas,colestimetato , Positivo: Todas ajudaram manter ele bem ate a chegada do remédio milagroso em questão. Porém era muito vago , nada tinha nenhuma tecnologia que pudesse de fato da qualidade de vida e expectativas de sobreviver por muito tempo ., Negativo: Nenhum tinha um efeito de transformação de saúde , eram tecnologias apenas para amenizar os efeitos da doença no organismo porém muito vago	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 **22/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como pneumopediatra que acompanha pacientes com fibrose cística diariamente, tenho presenciado uma verdadeira mudança de paradigma após o surgimento dos moduladores da CFTR, especialmente o Trikafta., , Durante muitos anos, nosso trabalho consistia principalmente em tentar reduzir a velocidade da progressão da doença, controlar infecções respiratórias, tratar exacerbações e minimizar complicações. Hoje, temos a oportunidade de atuar na causa básica da doença em muitos pacientes, proporcionando ganhos significativos na função pulmonar, no estado nutricional, na qualidade de vida e na redução de internações., , Tenho visto crianças que passaram a apresentar menos sintomas respiratórios, menos necessidade de antibióticos, maior disposição para brincar, praticar atividades físicas e viver uma infância mais próxima do normal. Tenho visto famílias recuperarem a esperança ao perceberem uma melhora que antes parecia impossível., , Quando falamos em disponibilizar essa terapia para crianças mais jovens, estamos falando da oportunidade de iniciar o tratamento antes que danos irreversíveis ocorram nos pulmões e em outros órgãos. Quanto mais cedo conseguimos controlar a doença, maiores são as chances de preservar a saúde e a qualidade de vida dessas crianças ao longo dos anos., , Da mesma forma, os pacientes com variantes raras também merecem acesso às melhores opções terapêuticas disponíveis. Cada paciente representa uma vida, uma família e uma história que não pode ser deixada para trás apenas por apresentar uma alteração genética menos frequente., , A ampliação do acesso ao Trikafta não representa apenas a incorporação de um medicamento. Representa a possibilidade de mais tempo com saúde, menos hospitalizações, menos sofrimento e mais oportunidades para crianças e adultos	2ª - Sim, Qual: trikafta, Positivo e facilidades: Durante muitos anos, nosso trabalho consistia principalmente em tentar reduzir a velocidade da progressão da doença, controlar infecções respiratórias, tratar exacerbações e minimizar complicações. Hoje, temos a oportunidade de atuar na causa básica da doença em muitos pacientes, proporcionando ganhos significativos na função pulmonar, no estado nutricional, na qualidade de vida e na redução de internações., , Tenho visto crianças que passaram a apresentar menos sintomas respiratórios, menos necessidade de antibióticos, maior disposição para brincar, praticar atividades físicas e viver uma infância mais próxima do normal. Tenho visto famílias recuperarem a esperança ao perceberem uma melhora que antes parecia impossível., , Quando falamos em disponibilizar essa terapia para crianças mais jovens, estamos falando da oportunidade de iniciar o tratamento antes que danos irreversíveis ocorram nos pulmões e em outros órgãos. Quanto mais cedo conseguimos controlar a doença, maiores são as chances de preservar a saúde e a qualidade de vida dessas crianças ao longo dos anos., , Da mesma forma, os pacientes com variantes raras também merecem acesso às melhores opções terapêuticas disponíveis. Cada paciente representa uma vida, uma família e uma história que não pode ser deixada para trás apenas por apresentar uma alteração genética menos frequente., Negativo e dificuldades: nao consigo avaliar aspectos negativos	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **22/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que deve ser incorporado, pois o TRIKAFTA significa vida. Existe um abismo muito grande entre o antes e o depois do uso da medicação. Meu filho a mutação rara G85E. Ele tinha muita tosse com secreção, vivia entre consultas e exames quase que mensais. Tinha internações recorrentes, inclusive com a possibilidade de transplante pulmonar. Cada internação era de no mínimo 10 dias para fazer tratamento intravenoso com antibióticos, isso atrapalhava muito a vida dele, o seu serviço, pois precisava ficar afastado por muito tempo e também a nossa rotina que tinhamos que acompanhar ele. Depois que ele começou a usar a medicação, a vida dele mudou em questão de dias. Não tinha mais tosse, não tinha secreção, ele conseguia fazer coisas que antes não fazia, antes o simples como tomar banho era um esforço absurdo, hoje ele tem uma vida totalmente diferente. Ele tinha crises muito fortes de ansiedade, por causa das crises de tosse, inclusive ele começou a tomar escitalopran por causa das crises, chegou a ir para a emergência no hospital por 3x por causa das crises de ansiedade, hoje ele já não precisa mais, pois as crises de tosse acabaram e consequentemente a de ansiedade também. Ele tinha sempre a pseudomonas aeruginosa presente e resistente nas secreções, hoje já não tem mais, ele tomava antibióticos direto para combater ela, depois que começou a usar o TRIKAFTA, em pouco tempo não precisou mais de antibióticos. Ele tinha uma rotina de fisioterapia e inalação de 3x ao dia para poder remover a secreção que ficava pressa, hoje ele faz fisioterapia 3x na semana apenas para controle, pois não tem mais secreção e a inalação 1x ao dia. No teste do suor, em 2012 quando descobriu a fibrose, o cloro estava em 123 mEq/l depois do uso do TRIKAFTA, em 2025 está 73 mEq/l. Antes do uso, ele consultava todos os meses, vivia com crises. Hoje ele consulta a cada 6 meses para controle. A possibilidade do transplante já foi descartada, pois a sua condição de vida não indica mais.	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 **22/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do TRIKAFTA para paciente com pelo menos 01 mutação nao F508del que seja responsiva ao tratamento baseado na literatura mundial é de extrema importancia visto que ja temos dados consolidados que melhora clinica substancial desses pacientes dentro de parametros como qualidade de vida, função pulmonar, imagem pulmonar e principalmente diminuição de exarcebações/internamentos, logo trata-se de um investimento publico tratar essa população pois assim diminuirá custos secundários hospitalares e torna-las produtivas para exercer trabalho e cidadania.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Trikafta para pacientes COM a mutação da deleação do F508., Positivo: Pacientes evoluindo com melhora clinica-funcional importante, saindo inclusive de dependecia de oxigenioterapia e fila de transplante pulmonar., Negativo: nenhum	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:
Pessoa com a condição de saúde **22/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acredito que o TRIKAFTA deve ser incorporado ao SUS porque ele representa vida. Existe um abismo entre o antes e o depois do tratamento. Tenho fibrose cística com a mutação rara G85E. Antes da medicação, convivia diariamente com muita tosse e secreção. Minha rotina era marcada por consultas e exames quase mensais, internações frequentes e, em determinado momento, até pela possibilidade de transplante pulmonar. Cada internação durava no mínimo 10 dias para tratamento intravenoso com antibióticos. Isso impactava meu trabalho, exigia afastamentos prolongados e alterava completamente a rotina da minha família, que precisava estar ao meu lado. Quando comecei a usar o TRIKAFTA, minha vida mudou em questão de dias. A tosse praticamente desapareceu, a secreção deixou de fazer parte do meu dia a dia e passei a conseguir realizar atividades simples que antes pareciam impossíveis. Até tomar banho exigia um esforço enorme, hoje tenho uma vida completamente diferente. Também sofria crises intensas de ansiedade provocadas pelas crises respiratórias. Cheguei a iniciar tratamento com escitalopram e fui três vezes à emergência por causa disso. Com o controle dos sintomas respiratórios, as crises de ansiedade desapareceram. Eu tinha presença constante de Pseudomonas aeruginosa resistente nas secreções e fazia uso frequente de antibióticos. Depois do TRIKAFTA, deixei de precisar deles. Minha rotina de fisioterapia e inalações passou de três vezes ao dia para apenas acompanhamento. No teste do suor, meu cloro caiu de 123 mEq/L em 2012 para 73 mEq/L em 2025. Antes eu consultava todos os meses e vivia em crise. Hoje faço acompanhamento a cada seis meses. O transplante foi descartado. Desde o início do tratamento não tive mais internações, nem crises, mesmo no inverno. Eu usava cerca de cinco bombinhas por mês, hoje uso uma e às vezes nem lembro dela. A vida não tem preço. O TRIKAFTA pode não ser a cura, mas me deu qualidade de vida, estabilidade e futuro. Hoje eu tenho esperança	2ª - Sim, Qual: trikafta, Positivo e facilidades: qualidade de vida, esperança em um futuro. Sem secreção, sem crises, sem tosse... agora tenho vida de verdade e vou ter mesmo quando o sus fornecer para todos, Negativo e dificuldades: nenhum	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **22/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considero essencial que o SUS assegure o acesso aos tratamentos para fibrose cística aos pacientes elegíveis, promovendo cuidado integral, diagnóstico precoce e acompanhamento adequado para melhorar a saúde e a qualidade de vida dessas pessoas. Tenho um familiar que convive com essa doença e necessita do tratamento contínuo, o que me faz compreender ainda mais a importância de garantir acesso rápido e igualitário aos medicamentos e cuidados especializados oferecidos pelo sistema público de saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **22/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considero essencial que o SUS assegure o acesso aos tratamentos para fibrose cística aos pacientes elegíveis, promovendo cuidado integral, diagnóstico precoce e acompanhamento adequado para melhorar a saúde e a qualidade de vida dessas pessoas. Tenho um familiar que convive com essa doença e necessita do tratamento contínuo, o que me faz compreender ainda mais a importância de garantir acesso rápido e igualitário aos medicamentos e cuidados especializados oferecidos pelo sistema público de saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **23/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha filha faz uso desta medicação, mudou a vida dela completamente..., Ela não tem mais quadros de tosse como tinha antes, tem uma vida normal. Diferente doque era antes da medicação. Vivíamos internando ela no hospital, com quadros respiratório, e baterias que não eram combatidas com medicação já existente... Depois do trikafta tudo mudou ..., Graças a Deus por esta medicação...,	2ª - Sim, Qual: Trikafta..., Positivo e facilidades: A melhora imediata do quadro pulmonar da minha filha... E do sistema imunológico dela..., Negativo e dificuldades: Não vi nada negativo, ela já faz uso do medicamento há 2 anos. Ela tem 9 anos de idade.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **23/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha filha de 9 anos faz o uso dessa medicação há 2 anos. São 2 anos que vivemos uma nova vida. Pois essa medicação trouxe fôlego para seus pulmões. Vivíamos internando e em hospitais. Hoje ela tem uma vida praticamente normal, fazendo o uso dessa medicação. Outras crianças precisam ter acesso à ela.	2ª - Sim, Qual: Com o TRIKAFTA. , Positivo e facilidades: Melhora significante na parte pulmonar., Seus exames se mostram cada vez melhores., Diminuiu o uso de antibióticos para tratar bactérias., Ganho de peso., Melhora nas suas condições clínicas., Negativo e dificuldades: Nenhuma	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:
Pessoa com a condição de saúde **23/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como portador de fibrose cística e tendo sofrido as consequências da doença , apesar das minhas mutações não serem elegíveis o Trikafta se mostrou eficiente , por favor leiam meu relato no anexo	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Minha função pulmonar aumentou de 35 para 42% , o pulmão que estava infectado por Pseudomonas " secou " , minha vida mudou , por favor vejam relato completo no arquivo anexo , Negativo e dificuldades: Nenhum efeito negativo	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 **23/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, EU SOU COORDENADORA DO CENTRO DE REFERENCIA DO ADULTO COM FIBROSE CISTICA DO ES DESDE 2009., TENHO 35 PACIENTE EM USO DA TERAPIA TRIPLA, ALGUNS DE FORMA JUDICIAL POR NÃO APRESENTEAREM 508DEL, E EU VEJO NA PRÁTICA A FANTASTICA RESPOSTA A ESSE MEDICAMENTO E COMO ISSO TEM MUDADO A VIDA DE MUITOS PACIENTES., EU TINHA PACIENTES ACOMPANHANDO NO AMBULATORIO DE TRANSPLANTE PULMONAR E DEPOIS DE INCIAR A TERAPIA TRIPLA, FORAM RETIRADOS DO ACOMPANHAMENTO POR CAUSA DA MELHORA CLINICA E DA FUNÇÃO PULMONAR. TENHO PACIENTES QUE GANHARAM QUASE 30% DE VEF1..	2ª - Sim, Qual: EU TENHO 35 PACIENTE EM USO DE TERAPIA TRIPLA, Positivo e facilidades: PACIENTE MELHORA FUNÇÃO PULMONAR, TENHO PACIENTE COM MELHORA DE QUASE 30% DE VEF1, GANHO DE PESO - PACIENTE SAI DA DESNUTRIÇÃO, GANHO NA QUALIDADE DE VIDA - PACIENTE PARA DE TOSSIR E TER SECREÇÃO, , Negativo e dificuldades: ALGUNS EFEITOS COLATERAIS PODEM SER OBSERVADOS, COMO ALTERAÇÕES DE PELE E HEPATICAS, MAS ESSES EFEITOS COLATERAIS SÃO TRANQUILAMENTE CONTORNADOS COM DIMINUIÇÃO DA DOSE DA MEDICAÇÃO. O BENEFICIO DO USO DA MEDICAÇÃO É TÃO GRANDE QUE SUPERAM ESSES POUCOS EFEITOS ADVERSOS QUE SÃO MANEJAVEIS.	3ª - Sim, Qual: ALFADORNASE, PANCREATINA, ANTIBIOTICOS INALATORIOS, Positivo: ESSAS OUTRAS TECNOLOGIAS AJUDARAM NO MANEJO DA DOENÇA, MAS NÃO SE COMPRARAM A TECNOLOGIA DOS MODULADORES DA CFTR. COM CERTEZA, OS MODULADORES SÃO OS QUE APRESENTA, MELHORES RESPOSTAS., Negativo: TAMBEM EFEITOS COLATERAIS, COMO BRONCOESPASMO, SANGRAMENTOS... QUE ALGUMAS VEZES NÃO CONSEGUIMOS MANEJAR E TEMOS QUE SUSPENDER AS MEDICAÇÕES.	4ª - A TRIPLA TERAPIA (ELEXACAFTOR+TEZACAFTOR+ IVACFTOR) MELHORA FUNÇÃO PULMONAR, MELHORA QUALIDADE DE VIDA, MELHORA NUTRIÇÃO, DIMINUI EXACERBAÇÕES E É SEGURA. CONFORME PODEMOS VER EM ALGUNS ESTUDOS ABAIXO CITADOS:, , , 1- Burgel, PR ? Orenti, A ? Cromwell, E ? et al., on behalf of the ECFS patient registry committee and the CF Registry Global Collaboration, Worldwide prevalence of F508del and rare CFTR variants responsive to elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor, J Cyst Fibros. 2024, 23:S3, , 2- Heijerman, HGM ? McKone, EF ? Downey, DG ? et al., Efficacy and safety of the elexacaftor plus tezacaftor plus ivacaftor combination regimen in people with cystic fibrosis homozygous for the F508del mutation: a double-blind, randomised, phase 3 trial, Lancet. 2019, 394:1940-1948, , 3- Barry, PJ ? Mall, MA ? Álvarez, A ? et al., Triple therapy for cystic fibrosis Phe508del-gating and -residual function genotypes, N Engl J Med. 2021, 385:815-825, , 4- Mall, MA ? Brugha, R ? Gartner, S ? et al., Efficacy and safety of elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor in children 6 through 11 years of age with cystic fibrosis heterozygous for F508del and a minimal function mutation: a phase 3b, randomized, placebo-controlled study, Am J Respir Crit Care Med. 2022, 206:1361-1369, , 5- Burgel, PR ? Durieu, I ? Chiron, R ? et al., Rapid improvement after starting elexacaftor-	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:
				tezacaftor-ivacaftor in patients with cystic fibrosis and advanced pulmonary disease, Am J Respir Crit Care Med. 2021, 204:64-73, , 6- Bower, JK ? Volkova, N ? Ahluwalia, N ? et al., Real-world safety and effectiveness of elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor in people with cystic fibrosis: interim results of a long-term registry-based study, J Cyst Fibros. 2023, 22:730-737	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **23/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Moduladores gênicos como o Trikafta são medicações revolucionárias para tratar a Fibrose Cística, porque são o primeiro tipo de tratamento que ataca a causa da doença, e não apenas os efeitos. Assim como os portadores da mutação mais comum já têm o direito de receberem o Trikafta e já se beneficiam desse tratamento, os outros cidadãos brasileiros com FC, portadores de mutações raras suscetíveis ao modulador,, também devem ter o mesmo direito, que é reconhecido pela Constituição Federal. O Trikafta tem eficácia elevada e freia o desenvolvimento da doença, prevenindo infecções, internações e necessidade de transplantes, o que já se justifica pelo bem-estar às pessoas tratadas, mas também resulta em diminuição de custos com tratamentos complexos e maior disponibilidade desses tratamentos para os outros pacientes que ainda vão precisar. Não faz sentido restringir acesso a medicamentos com esse poder de prevenção. A direção correta (humana, constitucional e responsável) é a ampliação ainda maior da lista de mutações suscetíveis aceitas, e não a restrição. Meu filho é portador de mutações raras para FC e ainda não tem acesso ao modulador, do qual ele se beneficiaria muito.,	2ª - Sim, Qual: Uso do Trikafta para tratamento de FC em pessoas com mutações raras., Positivo e facilidades: Participo de grupos de acompanhamento de pessoas com Fibrose Cística em todo o Brasil e todas aquelas que iniciaram tratamento com Trikafta tiveram melhora. A maioria teve melhora expressiva e muitos tiveram reversão do quadro., Negativo e dificuldades: Tenho notícia (de centro de acompanhamento) de que cerca de 2% dos pacientes (independentemente da mutação, o que inclui pacientes com F508del) têm manifestações hepáticas e precisam suspender o uso da medicação. Embora nos grupos que acompanho eu não tenha visto nenhum relato sobre isso.	3ª - Sim, Qual: O uso de moduladores não combinados ou com outras combinações., Positivo: Moduladores usados separadamente ou em combinações anteriores ao Trikafta mostraram benefícios discretos e mais direcionados a um conjunto menor de mutações., Negativo: Os moduladores anteriores à combinação (ETI) do Trikafta demonstraram eficácia menor e para menor número de mutações.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **23/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou a favor da distribuição gratuito por meio do SUS de Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística de 2 a 6 anos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **23/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esta medicação deve sim ser incorporada ao SUS pelo benefício que os pacientes terão ao usá-la, o que permite uma qualidade de vida para eles e para seus familiares cuidadores, pois o tratamento permite redução no uso e tempo dispensados diariamente para suprir as dificuldades que exige para manter a estabilidade da saúde. Sem dúvida com este tratamento, diminuirá as demandas por outros tantos medicamentos usados diário, e também quanto as fisioterapias e inalações, e até mesmo onternamentos e tempo de internamentos, que serão bem mais custosos do que o uso de um medicamento só que ´o trikafta	2ª - Sim, Qual: trikafta, Positivo e facilidades: houve melhora mais que significativa no dia a dia , diminuição de uso de medicamentos, eliminação de fisioterapias e inalações diárias...enfim, só traz beneficios para os pacientes e para seus familiares e cuidadores...., Negativo e dificuldades: não tivemos nenhum aspecto negativo, só positivos	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **23/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deveriam avaliar as condições financeiras das famílias., Tem famílias que não tem condições de comprar essa medicação, mal conseguem se manter.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **23/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha filha tem 11 anos, portadora de fibrose cística, mutação N1303K/N1303K, perde muita gordura nas fezes, muita cólica abdominal, muita tosse, onde ela não dorme por conta das cruzes de tosse que ocorrem nas madrugadas., Com o uso do medicamento acreditamos que ela terá uma melhor qualidade de vida, ela chora muito que não aguenta mais tossir, dor na barriga., Para uma mãe é desesperador ver o sofrimento de uma filha e não ter ação que possa fazer para ajudar.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **23/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considero importante a inclusao do medicamente no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todas as crianças tem direito de uma melhor qualidade de vida! Essa medicação comprovadamente muda a vida de quem a faz uso.	2ª - Sim, Qual: Trikafta! Minha filha faz uso do Trikafta a um mês, e já podemos dizer que é outra criança! As mudanças são muito visíveis, não se cansa mais ao brincar, a ausculta pulmonar limpa, sem chiado e sibilo, sem tosse, exames laboratoriais com alterações significativas!, Positivo e facilidades: Somente pontos positivos a relatar, mudança total na qualidade de vida, respiração, não tem mais exacerbação, etc..., Negativo e dificuldades: Não posso relatar nenhum ponto negativo! Somente positivos, Trikafta é a maior benção de nossas vidas! Trikafta foi nossa maior esperança de vida e saúde pra minha filha!	3ª - Sim, Qual: Alfadornase , Positivo: Manutenção de forma paliativa, porém nada tão eficaz quanto o Trikafta , Negativo: Não posso relatar pontos negativos, porém nada se compara ao Trikafta, sua ação em apenas um mês de uso é incomparável a qualquer outro medicamento antes usado	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As pesquisas preliminares da CFF propiciaram os beneficios da tecnologia para a grande maioria de pacientes portadores de pelo menos 1 variante F508del em todos os continentes. Entretanto, estudo com pacientes do continente europeu, onde a FC tem incidência elevada, portadores de variantes nao F508del (Brugel et al) mostraram-se respondedores à terapia tripla. Os achados de endossaram a ampliação do uso da tecnologia na França para os pacientes portadores de todas as classes geneticas, com excessão aos de classe I, onde nao ha produção de proteína. Com o desenvolvimento de novos estudos, nos EUA a bula do ETI foi expandida para contemplar outras variantes, excluidas na bula inicial . Assim sendo, sou favorável a que o Brasil, que apresenta incidência menor de FC, acompanhe a decisão dos outros paises, cientificamente fundamentada, e incorpore para os pacientes elegíveis esta tecnologia.,	2ª - Sim, Qual: Terapia tripla- trikafta (ETI), . , Positivo e facilidades: Beneficios clinicos nunca antes observados: redução significativa de sintomas respiratórios, ganho nutricional, redução de internações, ganho em qualidade de vida e aumento da expectativa de vida dos pacientes, Negativo e dificuldades: Falha em beneficiar outros pacientes com variantes de classe I. , Em nenhum paciente foi necessaria a suspensao da droga	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com portador da FC e a qualidade de vida mudou radicalmente depois de usar o trikafta, Redução das idas ao hospital, das crises, das tosses, das preocupações, do isolamento social pelo receio de pegar enfermidades. O Estado precisa cuidar do seu povo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É muito importante que seja incorporado pois é um medicamento de difícil acesso e é preciso que todos que tenham essa doença consigam se tratar e ter uma vida digna.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de um paciente com Fibrose Cística com idade de 25 anos e que faz uso do Trikafta há quase 2 anos. Posso dizer que a saúde do meu filho mudou de forma muito significativa, não apresentando problemas pulmorares como tosse crônica e infecções. Melhorou a qualidade de vida uma vez que não faz mais uso de medicamentos inalatórios e a sua disposição é outra. Ganhou peso e muita disposição para realizar as tarefas diárias como estudo e trabalho. Consegue conciliar o estudo com a carga horária de trabalho não apresentando mais cansaço físico que apresentava antes do início do uso do Trikafta.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Acompanhando o uso do medicamento pelo meu filho observei resposta terapêutica evidente resultando em melhora na sua qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Não observei aspectos negativos.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento deve ser incorporado ao SUS, pois os pacientes que estão em uso da medicação responderam muito bem, com melhora significativa na função pulmonar e melhoras na condição de saúde.	2ª - Sim, Qual: Ivacaftor, Positivo e facilidades: Melhora na função pulmonar e na função gástrica, ocorrendo reversão da perda da função exócrina do pâncreas., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil **24/06/2026**	1ª - Não acho que deve ser incorporada no SUS, Deixa pacientes sem alternativas de tratamento eficaz para mutações raras. Além desta negação focada no alto custo, ignorando a gravidade da doença. Outro fator importante diz sobre a judicialização, pois a não incorporação força famílias a buscarem o remédio por vias judiciais. que além das decisões demoradas, ainda oneram o estado ou a união. Essa decisão tambem impacta a desigualdade no tratamento: Cria uma divisão entre pacientes com mutação F508del (atendidos) e outras mutações (excluídos).Perda de qualidade de vida: Pacientes elegíveis perdem a chance de frear a progressão da perda da função pulmonar.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Extremamente necessário, para que todas as famílias que vivenciam essa realidade, possam receber o tratamento adequado aos seus familiares.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito, que precisa ser incorporada no SUS, pois após o uso do medicamento meu filho não internou mais, ele tinha pneumonia repetitiva, em 2 anos internamos mais de 10 vez, sendo assim após o uso do medicamento faz 1 anos que não i interna mais.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida, respiração, alimentação, não internou mais, cloro/sódio no suor diminuiu. , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Maior expectativa e qualidade de vida para os pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho obrigatório a incorporação ao SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, pois tem muitos que prescisam desta medicaçoes mas não tem como comprar	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Avanço importante no tratamento dos pacientes com uma doença tão grave como a fibrose cística	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **24/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento tem grade eficácia para que o portador de fibrose cistica tenho uma vida próximo do normal . O medicamento é caro e de difícil acesso para maioria da população portadora de fibrose cistica. A incorporação ao sus trás esperança de vida diminuindo gastos do serviço público com internações. E se cumpre a constituição brasileira que diz que todo brasileiro tenha direito a saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nos Estados Unidos o medicamento é oferecido a todas as crianças com fibrose cistica, com grande benefício independente da mutação e da idade. Sendo mais ou menus eficiente mas tendo avanços críticos excelentes na qualidade de vida. Será muito bom se minha filha puder ter acesso ao medicamento.	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 **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pneumopediatra e trabalho em um centro de referência no tratamento de crianças com fibrose cística. Tenho experiência técnica para afirmar que é de extrema importância a incorporação Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos, com pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR que seja responsiva ao medicamento., Trata-se de uma doença grave que progride para óbito em idade precoce. Pacientes que recebem o elexacaftor/tezacafotr/ivacaftor evoluem com melhora da função pancreática, muitos não precisam de reposição de enzimas pancreaticas. Também evoluem com preservação da doença pulmonar e não necessitam de outros medicamentos de alto custo, como Dornase alfa e Tobramicina inalatória. O tratamento irá diminuir as internações hospitalares, que muitas vezes são graves e necessitam de UTI, e também irá evitar progressão para transplante pulmonar.	2ª - Sim, Qual: No hospital em que trabalho, acompanhamos alguns pacientes com fibrose cística e idade igual ou superior a 6 anos, com pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR que é responsiva ao medicamento, já iniciaram o tratamento através de via judicial. , Positivo e facilidades: Os pacientes que iniciam o uso tem melhora da doença pulmonar, do ganho pondero-estatural e da qualidade de vida. As internações hospitalares são raras, observamos melhora clinica importante., Negativo e dificuldades: Raramente houve efeitos colaterais, com melhora sem necessidade de suspensao do tratamento,	3ª - Sim, Qual: O tratamento padrão era apenas sintomático, com medicamentos para facilitar a expectoração de secreção pulmonar e reposição de enzimas pancreáticas para atenuar a má-absorção. , Positivo: melhora parcial dos sintomas, Negativo: Não impedia a progressão da doença, com necessidade de multiplas internações hospitalares, transplante pulmonar e inevitavelmente óbito.	4ª - Na França, mais da metade da população com fibrose cística sem a variante F508del respondeu ao tratamento com elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor, sendo que a maioria dos respondedores não apresentava nenhuma variante aprovada pela FDA na época., Lancet Respir Med. 2024 Nov, 12(11):888-900.	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:
Pessoa com a condição de saúde **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Uso o medicamento trikafta a 2 anos e meio. Os primeiros 11 meses por via judicial e depois sendo pego pelo programa Alto Custo. Descobri a FC com 32 anos e comecei a usar o medicamento com 47. Na época tinha 43% de função pulmonar, não saia quase de casa, dor constante no peito, internações recorrentes, eventuais hemoptises, bolsa de colostomia, sem maiores expectativas. Com o uso do trikafta minha vida mudou. Quase 50% de função, parece pouco mas pude voltar a pedalar, voltei a atuar como músico, sem dores, sem tosse, com a possibilidade agora de reverter a ostomia e, o mais importante de tudo: consegui estar ao lado e cuidar da minha mãe até os últimos dias de sua vida. O medicamento é um verdadeiro milagre e propicia que os portadores da FC tenham uma vida muito próxima ao normal. Pude ainda doar algumas poucas cartelas para pessoas as quais não tinham indicação do medicamento em virtude de mutações diferentes e tive a felicidade de ver suas melhoras, resultado que possibilitou suas famílias ter embasamento para judicializar o pedido de remédio. Assim sendo, assistindo a tantos casos de pacientes que voltaram a ter uma vida além de consultas, sofrimento e internações, não tem como travar o acesso ao Trikafta.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor 100mg/ tezacaftor 50mg/ivacaftor 75mg, + Ivacaftor 150mg., Positivo e facilidades: Melhora significativa da função pulmonar. Ganho de peso. Estabilização da diabetes, redução das medicações, não tive mais internações, fim da tosse, possibilidade de reverter minha ostomia, volta a uma vida muito próxima a de uma pessoa sem a doença., Negativo e dificuldades: Tive um aumento da pressão arterial, mas controlada com Losartana.	3ª - Sim, Qual: Alfadornase, , Positivo: No meu caso não ajudou em nada as inalações com alfadornase, Negativo: Negativo nénhum, apenas não teve efeito	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como mãe de uma criança com fibrose cística, acompanho diariamente os desafios impostos por essa doença. Meu filho faz uso do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor por decisão judicial, e tivemos a oportunidade de ver de perto o impacto positivo desse tratamento na qualidade de vida dele., Por essa experiência, acredito que pacientes com idade igual ou superior a 6 anos que possuem outras mutações do gene CFTR comprovadamente responsivas ao medicamento também devem ter acesso a essa tecnologia pelo SUS. Não é justo que pessoas sejam privadas de um tratamento eficaz apenas por apresentarem uma mutação diferente da F508del, quando há evidências de benefício., A ampliação dos critérios de incorporação representa mais equidade no acesso ao tratamento e oferece a esses pacientes a oportunidade de viver com menos complicações, melhor função pulmonar, mais qualidade de vida e mais expectativa de futuro. Espero que essa incorporação seja aprovada para que nenhuma família precise recorrer à Justiça para ter acesso a um tratamento que pode mudar a história da doença.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (Trikafta). Meu filho faz uso desse medicamento por decisão judicial., Positivo e facilidades: Com o uso do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta), observamos melhora significativa na qualidade de vida do meu filho. Ele passou a apresentar menos infecções respiratórias, menor necessidade de antibióticos e internações, melhor disposição para as atividades do dia a dia e maior estabilidade clínica. Como família, também sentimos mais segurança e esperança em relação ao futuro. Essa experiência nos mostra que esse medicamento tem potencial para transformar a vida de pessoas com fibrose cística que possuem mutações responsivas e, por isso, deveria estar disponível pelo SUS para todos os pacientes elegíveis., Negativo e dificuldades: Durante o uso do medicamento, não percebemos aspectos negativos relevantes relacionados à sua eficácia ou segurança. O maior problema foi a dificuldade de acesso. Meu filho só conseguiu iniciar o tratamento por meio de ação judicial, e a incerteza quanto ao fornecimento contínuo gera preocupação para toda a família. Considero que a principal limitação não é o medicamento, mas a dificuldade de acesso a ele.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pneumologista pediátrica e vejo como a incorporação desta medicação em crianças >6 anos com 2 variantes do gene F580del mudou a qualidade e expectativa de vida de pessoas com fibrose cística. Além disso, do ponto de vista financeiro, reduziu drasticamente gastos associados com internação hospitalar, necessidade de transplante pulmonar, entre outros. Tal medicação já é comprovadamente segura e eficaz em crianças com apenas 1 variante do gene e, portanto, deve ser incorporada pelo SUS brasileiro.	2ª - Sim, Qual: A medicação em questão em crianças >6 anos com 2 variantes do F580del, Positivo e facilidades: Melhora de qualidade e expectativa de vida de pessoas com fibrose cística. Além disso, do ponto de vista financeiro, reduziu drasticamente gastos associados com internação hospitalar, necessidade de transplante pulmonar, entre outros., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento que modifica a história natural da doença.	2ª - Sim, Qual: As medicações desta consulta., Positivo e facilidades: Melhora significativa do quadro clínico., Negativo e dificuldades: Eventualmente elevação de transaminases.	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme, creon, ADEKs, Positivo: Tratamento de suporte., Negativo: Não tratam a doença em si.	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 **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação tem sido modificadora, melhorando a qualidade de vida dos pacientes e evitando internações.	2ª - Sim, Qual: Experiência com tratamento convencional com medicações inalatórias e antibióticos inalatórios e agora com moduladores da CFTR., Positivo e facilidades: Além da diminuição do número de internações o paciente apresenta melhora a qualidade de vida e ganha peso. A maioria dos pacientes que tem fibrose cística são crianças e jovens que precisam de tratamento que ajudem a ter melhor qualidade de vida e maior sobrevida., Negativo e dificuldades: Não presenciei nehum efeito adverso, somente dificuldade na obtenção da medicação.	3ª - Sim, Qual: Tratamento convencional usando inalações com solução hipertônica , antibióticos inalatórios e antibióticos sitemicos , não mostram o mesmo efeito . , Positivo: Uma melhora clínica evidente dos pacientes em uso de moduladores da CFTR, com diminuição de infecções respiratórias e da necessidade de nternações., Negativo: Não observei aspectos negativos em relação a outros tratamentos, a medicação nova é modificadora.	4ª - Melhor qualidade de vida, diminuição de internações, melhor função pulmonar e ganho de peso: , , - Clinical Trial Lancet Respir Med. 2025 Mar, 13(3):256-271. doi: 10.1016/S2213-2600(24)00411-9. Epub 2025 Jan 2., - Clinical Trial Am J Respir Crit Care Med. 2022 Dec 1, 206(11):1361-1369. doi: 10.1164/rccm.202202-0392OC	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **25/06/2026**	1ª - Não tenho opinião formada, Sou tia de uma criança com Fibrose Cistica e vejo a luta diária de seus pais. A criança precisa de fisioterapio motora e respiratória, faz natação, e uso de muito medicamento durante o dia. É uma luta intensa, cansativa, e custosa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou avó de uma criança portadora da doença de Fibrose Cística, seria essencial a implementação de medicamentos para essas crianças. Os pais da minha neta possuem muitos gastos para manter um estilo de vida saudável para a filha. Ela já ficou internada alguma vezes. Precisa de fisioterapia e medicamento todos os dias.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que a tecnologia Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor deve ser incorporada ao tratamento de pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos, com pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR porque é possível observar com muita clareza o impacto clínico positivo nas vida dos pacientes que já estão em uso. Diminuição significativa da tosse, das secreções, melhora da absorção dos nutrientes, especialmente das vitaminas, melhora da qualidade de vida, do apetite e do estado nutricional.	2ª - Sim, Qual: Tive experiência com a utilização do Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos, com pelo menos uma variante F508del do gene CFTR. Nestes pacientes, pude observar melhora importante do apetite, do ganho de peso, do paladar, de forma que o gosto e sabor dos alimentos passaram a ser mais apreciados. , Positivo e facilidades: Os pacientes se mostraram mais esperançosos e passaram a apreciar as refeições, uma vez que os sentidos de paladar e olfato foram mais aguçados. , Negativo e dificuldades: O aspecto negativo observado é o enfraquecimento no seguimento ambulatorial, uma vez que o paciente e seu familiar julgam que, pela melhora clínica, não há necessidade de retornar às consultas ou que, até mesmo, está curado da doença.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Se hoje em dia temos condições de ofertar uma vida mais tranquila e alongada pra esses pacientes com fibrose cística ,tenho total responsabilidade de votar a favor, pois já perdi uma filha com fibrose cística com 16 anos (Priscila Vick Pscheidt) e tenho outro com fibrose cística que está com 25 anos ., Priscila nasceu em 1990 e faleceu em 2006., Não tínhamos acesso a nenhum medicamento que nem hoje, somente enzimas / vitaminas/fisioterapia/ pulmozyme e Tony depois de anos que brigamos na justiça pra conseguir., Lucas já teve vida mais tranquila e, Normal. Faz faculdade , namora há quatro anos e se cuida com as inalações de antibióticos, vitaminas, enzimas , pulmozyme, e principalmente com o maior diferencial em sua vida : o TRIKAFTA desde sua aprovação no SUS., Então não tenho palavras pra descrever o bem que esse medicamento fez em sua vida., Tudo melhorou., Nem tosse tem., Então porque se em outros países já estão usando o TRIKAFTA para menores de 6 anos e até pra paciente que tem um alelo do delta F 508, por que não Brasil não liberam pra esses pacientes? Nosso Brasil gasta milhões em outros desvios políticos e não é justo deixar de aprovar uma medicação que vai se tornar a maior diferença na vida dessa população., Como mãe e participante há 30 anos da ACAM de SC, temos visto muitos pais agoniados pela aquisição do Trikafta antes de perder seus filhos como aconteceu comigo., Não tem dor maior na vida isso.,	2ª - Sim, Qual: Trikafata, Positivo e facilidades: Suor salgado diminuiu nos testes, Tosse zero ,, Diminuição do catarro em 95./., Aumento de peso, Melhor qualidade de vida, Mais estrutura emocional pra seguir a vida com normalidade, , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **25/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Vai ser muito importante para o caso de crianças menores de 6 anos para terem acesso ao tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trabalho diretamente com atendimento ao paciente com fibrose cística. Sou Médica Pneumologista. Vejo diariamente a luta destes pacientes, e como melhorou ao utilizar a medicação Trikafta.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Medicação que muda a vida do paciente, Negativo e dificuldades: desconheço	3ª - Sim, Qual: Alfadornase e pancreatina, Positivo: Teve algum ganho na sobrevida dos pacientes, Negativo: desconheço	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:
Pessoa com a condição de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pessoa com Fibrose Cística e conheço os benéficos do Trikafta. Mudou a minha vida em 90%, atividades simples como dormir bem, fazer um exercício se tornaram possíveis por conta da medicação. Uma das minhas mutações também é rara, e sei que muitos pacientes poderiam ser beneficiados assim como fui. Ter uma doença rara e ainda ter uma mutação rara é algo muito difícil de se lidar, imagina dentre todas as pessoas você não só ter a doença, mas também ter uma mutação que dificulta ainda mais seu tratamento? Ampliar os grupos para uso da medicação é essencial para garantir melhoria de vida, facilitar o tratamento dos pacientes e promover igualdade. Sei o quanto sou abençoada por ter a chance de viver através dessa medicação, meu voto e minha reivindicação será sempre para que todos possam ter a mesma alegria que eu tive ao iniciar o tratamento com Trikafta.	2ª - Sim, Qual: Uso Trikafta diariamente. , Positivo e facilidades: Diminuição drástica de secreção, melhora na respiração, ausência de falta de ar, fim das infecções, ganho de peso, melhora no sono. Tudo isso modifica a relação da pessoa com o mundo e possibilita viver para além da doença. , Negativo e dificuldades: Acompanhamento médico para realização de exames constantes. Acompanhamento dos exames ligados ao fígado. Ocorre que o paciente com FC já está acostumado com a presença constante em hospitais e clínicas médicas, então não é um esforço que se faz agora após o início do remédio, é algo que se faz com alegria diante de todos os benefícios.	3ª - Sim, Qual: syndeco , Positivo: Tinha uma ação semelhante ao Trikafta, mas o Trikafta tem uma ação ainda mais eficiente. , Negativo: Requer o mesmo acompanhamento que o trikafta. Não é nada comparado aos benefícios.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que a incorporação ao SUS será extremamente benéfica a população que necessita da medicação diariamente, e que muitas vezes pode nao ter fácil acesso., Será um passo importantíssimo para uma saúde de qualidade para toda a população, principalmente para quem mais precisa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento é de suma importância para os pacientes com fibrose ciática. Está melhorando a qualidade de vida e aumentando a sobrevida das pessoas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com a experiência de conviver com meu filho com comorbidades pulmonares. Sei o quanto é benéfico para uma vida saudável e feliz de nossas crianças.	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 **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou médica pneumologista e trabalho no centro de referência em fibrose cística do HCFMRP-USP e acompanho pacientes com fibrose cística há 11 anos, A fibrose cística era uma doença cruel com alta mortalidade, a sobrevida média dos nossos pacientes era em torno de 25 anos, igual a média nacional. Com o fornecimento do trikafta para os pacientes elegíveis vimos uma melhora significativa da doença, com mudança de todos os parâmetros que lutavamos para melhorar sem sucesso, como função pulmonar, estado nutricional, funcionalidade, capacidade produtiva do paciente e psicológica. A após o início do uso vários pacientes sairam da possibilidade de necessidade de transplante pulmonar, voltaram ao mercado de trabalho e sairam da condição de muito doente para pessoas produtivas., No entanto, o medicamento é fornecido somente para parcela dos pacientes, que tem função residual descrito em bula e com mutação delta-F-508., Assim, boa parte dos pacientes ficam sem tratamento, em detrimento de outros que tem uma mudança radical em sua vida, pois não são enquadrados na bula brasileira.	2ª - Sim, Qual: trikafta (elexacaftor, ivacafator e tezacaftor), Positivo e facilidades: Paciente que antes teriam sobrevida média de 2 anos, saem dessa condição de muito doente e tem a possibilidade de se tornarem pessoas produtivas e com possibilidade de ter uma vida por longos anos, se mantiverem a aderência ao tratamento., Assim, há uma necessidade urgente de equiparar o tratamento para aqueles pacientes que necessitam desse medicamento e que já se provou em estudos internacionais o seu benef´ício., , Negativo e dificuldades: Alguns efeitos adversos bem tolerados que são superados pela alta performance do medicamento.	3ª - Sim, Qual: '- alfa dornase, - antibioticoterapia inalada, Positivo: '- esses tratamentos são de suporte com discreto controle da evolução da doença, no entanto, nenhuma delas tem a capacidade do tratamento do trikafta que muda a evolução da doença., Negativo: Alguns efeitos adversos transitórios que não impediram o uso do medicamento.	4ª - Estudos internacionais provaram que o medicamento pode ser usado em pacientes hoje não incluídos na bula brasileira, e que tem o mesmo benefício que os que usam atualmente.	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 **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Já há diversos estudos robustos, tanto no Brasil , Itália e em outros países, comprovando a efetividade e significativa melhora dos pacientes no tocante a segurança terapêutica no tratamento da fibrose cística, tanto em pacientes pediátricos e pacientes adultos e nas avaliações gerais quanto ao uso de elexacaftor (ELX), tezacaftor (TEZ) e ivacaftor (IVA), sendo uma terapia revolucionária e agindo como um modificador da doença e proporcionando uma nova era aos pacientes portadores desta difícil condição, que compromete não só o paciente em sua qualidade de vida, mas também a toda família envolvida , que muitas vezes precisa abandonar seu trabalho, afazeres e demais atividades, dedicando-se exclusivamente ao cuidado no paciente , que sem esta medicação precisa constante internação e tratamento em baixa hospitalar. Acredito que o maior entrave e questão principal no momento, não seria a questão técnica comprovando a eficácia e segurança, mas sim o aporte de recursos financeiros para custear os tratamentos no SUS, evitando tantas judicializações. Porém, uma boa negociação e flexibilização de ambas as pastes, tanto da indústria produtora quanto do governo federal através do Ministério da saúde, garantirá recursos suficientes e uma negociação justa que contemple e permita a incorporação plena desta importante terapia aos pacientes em questão. Gratoo Att Marcelo L Pruss CRF-RS: I-5775	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 **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como profissional atuante no cuidado de crianças com doenças crônicas, considero que a disponibilização/incorporação de tecnologias representa uma intervenção capaz de modificar o curso da doença.	2ª - Sim, Qual: elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta®) , Positivo e facilidades: - preservação da função pulmonar, , - redução da progressão da doença pulmonar, , - possível redução de exacerbações e necessidade de tratamentos intensivos, , - melhora de marcadores funcionais da proteína CFTR, , - redução da carga de tratamento e impacto psicossocial para pacientes e famílias., , Negativo e dificuldades: sem negativos.	3ª - Sim, Qual: Ivacaftor (Kalydeco), Positivo: '- redução da progressão da doença pulmonar em alguns casos, Negativo: '- Diferença de resposta entre os pacientes.	4ª - Estudos evidenciaram manifestações mais graves da fibrose cística nos pacientes que possuam função mínima do CFTR, com resultados de cloreto no suor a partir de 80 mmol/L. Demonstrou-se que, aqueles com função residual da proteína (com concentrações entre 60 e 80 mmol/l), apresentam maior chance de manter suficiência pancreática, melhor função pulmonar (atestada pelo VEF1), melhor IMC e, maior sobrevida. Esses dados reforçam o uso dos moduladores do CFTR na tentativa de alcançar um melhor funcionamento do canal e consequente melhora clínica. Em alguns casos, alcançando a normalização funcional, com níveis de cloreto do suor abaixo de 30 mmol/L., , referências: , 1- Zemanick ET, Ramsey B, Sands D, McKone EF, Fajac I, Taylor-Cousar JL, Mall MA, Konstan MW,Nair N, Zhu J, Arteaga-Solis E, Van Goor F, McGarry L, Prieto-Centurion V, Sosnay PR, Bozic C, Waltz D, Mayer-Hamblett N. Sweat chloride reflects CFTR function and correlates with clinical outcomes following CFTR modulator treatment. J Cyst Fibros. 2025 Mar, 24(2):246-254. doi:10.1016/j.jcf.2024.12.006. PMID:39755444., 2- Servidoni MF, Gomez CCS, Marson FAL, Toro AADC, Ribeiro MÂGO, Ribeiro JD, Ribeiro AF, Grupo Colaborativo de Estudos em Fibrose Cística. Sweat test and cystic fibrosis: overview of test performance at public and private centers in the state of São Paulo, Brazil. J Bras Pneumol. 2017 Mar-Apr,	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:
				43(2):121- 128. doi: 10.1590/S1806-37562016000000076. PMID: 28538779, PMCID: PMC5474375.	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Salvará a vida de muitas crianças e jovens que convivem com a pesada e sofrida rotina de fisioterapia , internações e medicação invasiva. Crianças com fibrose, cística perdem a infância e a vida. Crianças e jovens com fibrose cística sabem que têm pouco tempo de vida sem o trikafta. Eles precisam e têm o direito de viver com qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Positivo: melhora de todos os sintomas apresentados como oxigenação, redução significativa da secreção ,diminuição das internações , menos medicação invasiva e menos rotina pesada e sofrida de fisioterapia., , Aqui gostaria de registrar como avó de paciente com fibrose que quando falo de fisioterapia, saibam que todos os aparelhos são importados e custam caro ,também não sendo de fácil acesso para os mais necessitados. Os antibióticos de última geração para combater as bactérias oportunistas também estão na lista dos mais caros e cito ainda o alto custo dos exames necessários para o acompanhamento do paciente. Portanto o tratamento paliativo também é de alto custo., , Gostaria de relatar aqui a melhora do meu neto desde o início do tratamento ,hoje podendo jogar futebol, viajar , dormir e se alimentar melhor , ter mais disposição para pequenas tarefas e até voltar a pé da escola , coisas simples e banais para quem é saudável mas super importante para o portador de fibrose cística. , , Também já foi possível diminuir as sessões de fisioterapia melhorando a qualidade de vida de todos da família pois o sofrimento é para todos nós ,pais e avós., Como o diagnóstico veio com o teste do pezinho, meu neto faz fisioterapia desde os dois anos de idade , hoje tem onze e meio . , Negativo e dificuldades: Negativo : alto custo ,gerando a necessidade de demanda judicial e toda a demora e expectativa para conseguir uma resposta positiva , quando há pois gera muito estresse o que leva a queda da imunidade e piora do paciente. Também gera muita angústia saber que existe a medicação ,que ela funciona e que não se pode usufruir dos benefícios .,	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Se nós com mais idade temos direito pq eles não teriam? Tem a ter direito tbm	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Super positivo , Negativo e dificuldades: Não vi nada negativo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho 2 pacientes que estão usando e a vida deles mudou completamente. Duas pessoas desnutridas, caquéticas, com dispneia e infecções de repetição, que hoje vivem uma vida plena e normal.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Mudança na vida das pessoas , Negativo e dificuldades: Nenhum	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Vai transformar a vida de muitas crianças e jovens que enfrentam diariamente a difícil rotina de fisioterapias, internações frequentes e tratamentos com medicações invasivas. Quem convive com a fibrose cística muitas vezes perde parte da infância e vê sua expectativa de vida reduzida. Crianças e jovens com essa doença sabem que, sem o Trikafta, seu tempo de vida pode ser muito limitado. Eles merecem e têm o direito de viver com mais saúde, dignidade e qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: O medicamento melhora de todos os sintomas apresentados como oxigenação, redução significativa da secreção ,diminuição das internações , menos medicação invasiva e menos rotina pesada e sofrida de fisioterapia., , Gostaria de registrar como tio de paciente com fibrose que, quando falo de fisioterapia, todos os aparelhos são importados e custam caro. Também não são de fácil acesso para os mais necessitados. Os anibióticos de última geração para combater as bactérias oportunistas também estão na lista dos mais caros e cito ainda o alto custo dos exames necessários para o acompanhamento do paciente. Portanto o tratamento paliativo também é de alto custo., , Também gostaria de relatar a melhora do meu sobrinho desde o início do tratamento. Hoje ele pode jogar futebol, viajar , dormir e se alimentar melhor , ter mais disposição para pequenas tarefas e até voltar a pé da escola , coisas simples e banais para quem é saudável mas super importante para o portador de fibrose cistica. , , Também já foi possível diminuir as sessões de fisioterapia melhorando a qualidade de vida de todos da família pois o sofrimento é para todos, principalmente os pais e avós., , Como o diagnóstico veio com o teste do pezinho, meu sobrinho faz fisioterapia desde os dois anos de idade. Hoje ele tem onze e meio ., Negativo e dificuldades: Alto custo, gerando a necessidade de demanda judicial e toda a demora e expectativa para conseguir uma resposta positiva, quando há, pois gera muito estresse o que leva a queda da imunidade e piora do paciente. Também gera muita angústia saber que existe a medicação, que ela funciona e que não se pode usufruir dos benefícios.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Está comprovado que quanto mais cedo o tratamento for iniciado, maiores as chances da criança ser curada e ficar sem sequelas.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O acesso ao Trikafta representa esperança para milhares de crianças e jovens que convivem diariamente com os desafios da fibrose cística. A rotina de tratamentos intensivos, internações e procedimentos constantes impacta profundamente sua infância, seus sonhos e sua qualidade de vida. Sem esse medicamento, muitos sabem que sua expectativa de vida é reduzida. Garantir o acesso ao Trikafta é dar a essas pessoas a oportunidade de viver mais, com mais saúde, autonomia e dignidade.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: O Trikafta proporciona melhora significativa da oxigenação, reduz drasticamente a produção de secreção, diminui o número de internações e reduz a necessidade de medicamentos invasivos. Além disso, alivia a rotina intensa e exaustiva de fisioterapia, trazendo muito mais qualidade de vida para os pacientes e suas famílias., , Como avô de uma criança com fibrose cística, gostaria de registrar que, quando menciono a fisioterapia, refiro-me a um tratamento que depende de equipamentos importados e de alto custo, inacessíveis para muitas famílias. Os antibióticos mais modernos, necessários para combater as infecções oportunistas, também estão entre os medicamentos mais caros, assim como diversos exames indispensáveis para o acompanhamento da doença. Ou seja, mesmo o tratamento paliativo representa um custo extremamente elevado., , Gostaria também de compartilhar a transformação que vimos na vida do meu neto desde o início do tratamento com o Trikafta. Hoje ele consegue jogar futebol, viajar, dormir melhor, alimentar-se com mais tranquilidade, ter disposição para realizar pequenas tarefas e até voltar caminhando da escola. São atividades simples para quem não convive com a doença, mas que representam conquistas imensas para uma criança com fibrose cística., , Outro avanço importante foi a redução da frequência das sessões de fisioterapia, proporcionando uma melhora significativa na qualidade de vida de toda a família. Afinal, a fibrose cística não afeta apenas o paciente, pais, avós e todos ao redor compartilham diariamente desse desafio., , Meu neto recebeu o diagnóstico por meio do teste do pezinho e faz fisioterapia desde os dois anos de idade. Hoje, aos onze anos e meio, graças ao tratamento, pode finalmente viver uma infância muito mais próxima daquela que toda criança merece., Negativo e dificuldades: O alto custo do Trikafta faz com que muitas famílias precisem recorrer à Justiça para tentar garantir o acesso ao medicamento. Esse processo costuma ser demorado, desgastante e cercado de incertezas. Toda essa espera gera enorme estresse, o que pode comprometer ainda mais a saúde do paciente, reduzindo sua imunidade e agravando seu quadro clínico. Também causa muita angústia saber que existe um tratamento eficaz, capaz de mudar vidas, mas que permanece inacessível para quem mais precisa.	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 **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou Nutricionista e acompanho adultos com Fibrose Cística (FC) desde 2021. Na ocasião, nenhum dos pacientes fazia uso de terapia tripla de modulador de CFTR com Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor. Mesmo com os maiores esforços possíveis para adequação da dieta e fornecimento de suplementos alimentares hipercal´óricos , dificilmente atingíamos um estado nutricional ótimo e grande era o número de pessoas com estado nutricional depletado, em risco nutricional ou já em algum grau de magreza. Desde 2024, quando tal terapia foi implementada no SUS para pacientes com a mutação F508del e alguns pacientes com mutações raras passaram a obter (por via judicial) ,tal medicação, uma mudança REAL foi percebida no estado nutricional. Ganhar peso se tornou um objetivo capaz de ser alcançado e a manutenção de um bom estado nutricional possível. De fato, é um tratamento com significativo impacto nutricional devendo ter seu acesso ampliado a todos os tipos de mutações consideradas responsivas.	2ª - Sim, Qual: > Paciente com FC, sexo masculino, 30 anos - mutação R334W/G85E - iniciou uso da terapia tripla aos 28 anos. Apresentava estado nutricional adequado (IMC 24,6kg/m² e peso 66,2kg) mas sendo necessário o consumo diário de suplementos alimentares hipercalóricos para tanto. Com forte tendência de progressão para um quadro de diabetes relacionado à fibrose cística (DRFC), com Hemoglobina glicada (HbA1c) já em 6,4%. Notava-se comprometimento grave da capacidade pulmonar, representado pelo Volume Expiratório Forçado no 1º segundo (VEF1%) de 40,7%. Após cerca de um ano e meio de tratamento com Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, o paciente foi capaz de manter estado nutricional adequado (IMC 24,4kg/m² e peso 65,6kg) sem necessitar do consumo diário de suplementos alimentares hipercalóricos, apenas consumindo uma dieta habitual adequada, ganhou função pulmonar, elevando seu VEF1% para 47,5% e apresentou remissão do quadro de intolerância à glicose, apresentando curva glicêmica normal: glicemia de jejum igual a 91mg/dl e 1h após 133mg /dl e 2h após, 62mg/dl. , -> Paciente com FC, sexo masculino, 20 anos - mutação G85E homozigoto - iniciou uso da terapia tripla aos 18 anos. Com estado nutricional adequado (IMC 22,8kg/m² e peso 69kg) mas às custas do consumo diário de suplementos alimentares hipercalóricos. Também com tendência de progressão para um quadro de DRFC com HbA1c já em 6% e curva glicêmica com alteração no segundo ponto: glicemia de jejum igual a 89mg/dl e 1h após , 179mg /dl e 2h após, 125mg/dl, sendo portanto iniciada prescrição de insulina regular para o mesmo. Com 2 anos de tratamento com Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, a HbA1c caiu para 5,6%, normalizando, mesmo sem o uso da insulina previamente prescrita., Positivo e facilidades: Melhora importante do estado nutricional, manutenção de um peso saudável, diminuição de alterações glicêmicas, melhora dos sintomas gastro-intestinais (diminuição das queixas de diarréia, de empanzinamento gástrico, saciedade precoce...), melhor percepção de cheiros...., Negativo e dificuldades: Em alguns pacientes, notamos discreta elevação da pressão arterial. Contudo, não aconteceu nos pacientes supracitados.	3ª - Sim, Qual: uso de enzimas digestivas para aquelas com insuficiência pancreática exócrina, uso de antibioticos inalatórios, , uso de insulina para aqueles com DRFC., Positivo: São capazes de minimamente cuidar do individuo com FC mas não impedem a progressão da doença e, muitas vezes, em especial do ponto de vista nutricional o tratamento básico ´é incapaz de manter peso saudável e combater as deficiências nutricionais., Negativo: Incapacidade de conter a progressão rápida da doença e de manter qualidade de vida.	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:
Pessoa com a condição de saúde **26/06/2026**	1ª - Não tenho opinião formada, Sou totalmente favorável à incorporação do Trikafta no SUS para pacientes com variantes responsivas. Tenho duas mutações raras elegíveis (2789+5G>A/1898+3A>A), mas, apesar disto, infelizmente fui uma das pessoas que teve o indeferimento judicial e continuo sem acesso ao tratamento!, A fibrose cística afeta todos os aspectos da minha vida. Convivo com infecções respiratórias recorrentes, limitação física, fadiga, e a constante preocupação com a progressão da doença. Viver com fibrose cística significa conviver diariamente com a incerteza sobre o futuro, esperando a próxima piora, internação ou mais perda de função pulmonar. , Estudos científicos e a experiência de centenas de pacientes com mutações raras em diversos países, inclusive no Brasil, demonstram redução de infecções, internações, exacerbações pulmonares e necessidade de antibióticos, além de melhora ou manutenção da função pulmonar, do estado nutricional, da qualidade de vida. Viver sem fôlego o tempo todo não é vida!, É extremamente difícil saber que existe um tratamento capaz de modificar a evolução da minha doença e, ainda assim, não conseguir acessá-lo. O acesso não pode depender da condição financeira das famílias nem da decisão de juízes que emitem decisões judiciais favoráveis para uns e desfavoráveis para outros! Pessoas que preenchem os mesmos critérios judiciais e clínicos deveriam ter as mesmas oportunidades de tratamento. Além disso é uma questão de EQUIDADE frente aos pacientes F508del que já recebem pelo SUS! Os pacientes com mutações raras alcançam os mesmos benefícios clínicos e isso é amplamente reconhecido há tempos., É por tudo isso que a incorporação do Trikafta para as mutações raras responsivas representa uma questão de EQUIDADE, DIGNIDADE E ACESSO AO DIREITO DE RESPIRAR e VIVER BEM! Cada dia de atraso significa mais inflamação, mais infecções e mais danos irreversíveis, menos vida e ou o transplante e/ou uma morte	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme, solução salina hipertônica, antibióticos como azitromicina uso continuo e colomicim inalatória., Positivo: Os medicamentos que utilizo atualmente, (ex: Pulmozyme, solução salina hipertônica, antibióticos etc.), são fundamentais para tornar a minha vida um pouco menos ruim, mas estão longe de serem suficientes. Os benefícios são limitados diante da progressão da doença, porque eles não atuam na causa da fibrose cística e não impedem a evolução da doença. Mesmo com tratamento rigoroso e total adesão de minha parte, a doença continua progredindo ao longo do tempo e inevitavelmente eu estou perdendo a função dos meus pulmões! , Por isso, embora sejam fundamentais e devam continuar disponíveis, elas não substituem terapias moduladoras como o Trikafta., Negativo: Embora sejam fundamentais, os outros medicamentos têm muitas limitações. Eles atuam principalmente no controle dos sintomas e das complicações da doença, mas não atuam na causa. Por esse motivo, mesmo seguindo corretamente o tratamento, nós continuamos apresentando infecções respiratórias recorrentes, exacerbações pulmonares, necessidade de antibióticos frequentes, internações e perda progressiva da função pulmonar ao longo dos anos., Outro aspecto negativo é o tempo gigantesco que eles exigem: são muitas inalações diárias, fisioterapia respiratória que consomem horas do dia. Muitas vezes antibióticos endovenosos que só podem ser administrados em ambiente hospitalar que impactam a rotina, os estudos, o trabalho, o convívio social e a nossa saúde mental , Além disso, essas terapias não conseguem impedir completamente o surgimento de lesões pulmonares irreversíveis, insuficiência pancreática e outras complicações. Minha experiência demonstra que elas ajudam a controlar a doença, mas não são capazes de modificar sua progressão. Por isso, existe a necessidade de acesso a tratamentos que atuem na causa da doença, como o Trikafta.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pai de um garoto de 14 com duas mutações raras da fibrose cística, vejo a situação dele decair mês a mês, ano a ano, comprometimentos gastrointestinais, diabetes, apendicite, asma, manifestações pulmonares., Com essa medicação ele teria chance de ter uma vida normal, os testes indicam isso. Nenhum pai deveria ver seu filho morrer aos poucos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que deve ser fornecido pelo SUS porque o medicamento já provou sua eficiência , a melhora dos sintomas é muito empolgante e melhora muito a qualidade de vida dos pacientes . Eles podem voltar a trabalhar, estudar , fazer exercícios e participar ativamente da sociedade	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Um medicamento chamado Pulmozyme, Positivo: Muito boa , medicamento inalatório que ajuda a remover secreções dos pulmoes, Negativo: Nenhum aspecto negativo	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **26/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Direto a vida	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Melhora total na qualidade de vida do paciente , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Outros Medicamentos de para Fibrose Cística., Positivo: Melhora na qualidade de vida do paciente., Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **27/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Precisamos muito do médicamento,sou mãe de paciente com fibrose cística esse remédio está salvando muitas vidas, é uma melhora maravilhosa para o paciente melhora muito a qualidade de vida.minha filha está com dóis aninhos sofre muito com essa doença esse remédio está salvando vida, pessoas, crianças que ja estão usando o remédio teve uma melhora mais fôlego pra respirar, saindo até do uso de oxigênio, diminuindo o muco pegajoso diminuindo a tosse que tanto encomenda e faz sofrer as crianças e adultos com fibrose cística.os pacientes dessa doença precisa muito desse remédio ele salva vidas.	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 **27/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou fisioterapeuta e atualmente atendo cerca de 15 pacientes com mutação rara que estão tomando a medicação através de doações. Esses pacientes estão muito melhores. Uma das mais graves da equipe saiu da lista de espera para transplante de pulmões e outro paciente deixou de usar oxigênio., Além disso, um dos aspectos da doença que mais incomoda o paciente é a tosse crônica e a produção de catarro diário, com necessidade de remoção 2 a 3 vezes ao dia através de técnicas de fisioterapia respiratória. Com essa medicação, a tosse praticamente desapareceu nesses pacientes e o catarro diminuiu significativamente em quase todos os pacientes, fazendo com que alguns até não consigam mais escarrar. Isso aumenta muito a qualidade de vida dos pacientes. Além disso, os pacientes ganharam peso e a capacidade pulmonar melhorou, muitos já estão voltando a praticar exercícios físicos como recomendado. , Deixo aqui meu apelo pelo uso dessa medicação nas mutações raras, já temos muitas evidências favoráveis ao uso.	2ª - Sim, Qual: Tricafta, Positivo e facilidades: Aumento do peso, Diminuição do uso de antibióticos , Diminuição das internações , Diminuição do catarro, , Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto.	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 **27/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Manifesto-me totalmente favorável à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta®) para crianças de 2 a 5 anos com fibrose cística que tenham ao menos uma mutação F508del. A ampliação do uso para a primeira infância, já aprovada pela Anvisa, representa o fechamento de uma lacuna assistencial crítica. Como a fibrose cística é uma doença progressiva e multissistêmica, postergar o início do tratamento com moduladores até os 6 anos significa permitir a instalação de danos estruturais pulmonares e nutricionais irreversíveis. A análise técnica deve priorizar a janela de oportunidade terapêutica e o impacto direto na sobrevida e qualidade de vida a longo prazo dessas crianças.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta®) , Positivo e facilidades: Os dados de literatura científica e a experiência clínica com moduladores de CFTR demonstram benefícios robustos e imediatos. Destacam-se:, - Ganho e estabilização da função pulmonar, reduzindo drasticamente o número de exacerbações respiratórias agudas., - Melhora significativa do estado nutricional, facilitando o ganho de peso e crescimento linear adequado para a idade (essencial no desenvolvimento infantil)., - Redução drástica no número de internações hospitalares e no uso de antibióticos de amplo espectro endovenosos., - Redução do suor excessivo e da perda de eletrólitos, minimizando riscos de desidratação em episódios de calor ou febre., - Melhora substancial na qualidade de vida da criança e de seus cuidadores, permitindo uma rotina escolar e familiar mais próxima da normalidade e diminuindo a sobrecarga física e emocional associada à intensa rotina diária de fisioterapia respiratória crônica., Negativo e dificuldades: O principal aspecto negativo não reside na eficácia clínica do medicamento, mas sim nas barreiras de acesso e sustentabilidade. Os pontos de atenção técnico-assistenciais são:, - Potenciais efeitos adversos hepáticos, que demandam o monitoramento laboratorial periódico de transaminases (AST/ALT) e bilirrubinas, especialmente nos primeiros meses de tratamento, exigindo uma rede laboratorial básica estruturada e acessível., - A necessidade de ajuste de dose rigoroso conforme o ganho de peso da criança, demandando acompanhamento médico especializado e frequente nos centros de referência.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **27/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pessoas precisam e o tratamento é muito caro	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **27/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sim. Como paciente com fibrose cistica, acredito que toda nova tecnologia que facilite a vida e o tratamento deve estar ao alcance de todos.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Alfadornase, tobramicina , Positivo: Melhora no meu condicionamento físico., Negativo: Não teve aspectos negativos	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **27/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Resultado extremamente satisfatório em pacientes q já estão utilizando o medicamento	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Os pacientes em uso do medicamento têm uma evolução clínica impressionante! Melhora da capacidade respiratória, redução da produção de secreção, ganho de peso e melhora da qualidade de vida! , Negativo e dificuldades: Apenas queixa de prurido eventual	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento representa esperança para muitas crianças e suas famílias. A incorporação ao SUS significa muito mais do que oferecer um tratamento: significa garantir dignidade, qualidade de vida e a oportunidade de um futuro que muitos pacientes hoje não têm. Todos têm o direito de viver com dignidade e de ter acesso às melhores opções terapêuticas disponíveis. Aprovar a incorporação desse medicamento é oferecer a milhares de pessoas a chance de viver mais e viver melhor.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento é primordial para a manutenção da saúde dos portadores de fibrose cística devendo ser oferecido à todas as mutações para que todos tenham a oportunidade de melhoria de sua saúde e qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Medicamento Trikafta. , Positivo e facilidades: Não tive mais internações., Reduzi incrivelmente a necessidade Por antibióticos., Nao tenho mais secreção, não tenho mais tosse, não tenho mais falta de ar. , Negativo e dificuldades: Queda de cabelo e pele seca.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Gostaria que esse modulador seja incorporada no Sus para ajudar as crianças superior com 6 anos pra ter uma qualidade de vida melhor.	2ª - Sim, Qual: Minha qualidade de vida melhorou bastante depois do uso do modulador., Positivo e facilidades: Os pontos positivos que minha função pulmonar aumentou, ganhei peso e não tive mais internações frequentes., Negativo e dificuldades: Não tive pontos negativos.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importante a formação de medicações que ajudem na qualidade de vida dos que precisam.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, aham	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:
Pessoa com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho fibrose cística, sou completada com o remédio devido a ter uma mutação mais comum e acredito que o Sistema Único de Saúde deve garantir a todos os cidadãos brasileiros os melhores tratamentos e medicamentos com comprovação científica para garantir qualidade de vida, dignidade e longevidade ao cidadão. O trikafta mudou a minha vida e me tirou de internações recorrentes. Hoje em dia tenho qualidade de vida, saúde mental, consigo me exercitar e me divertir. Quero isso para todas as pessoas com fibrose cística independente de idade ou mutação, se existe comprovação científica de eficácia e melhora do quadro de saúde todos merecem receber como eu e meu irmão que também tem fibrose cística. É muito triste ver pessoas iguais a mim morrendo.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Melhora no quadro geral de saúde, saí de uma condição de internações recorrentes, melhorei saúde mental, consigo ter mais vida social, praticar exercício físico, etc., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, Qual: Medicamentos como pulmozyme, creon, aerolin, nazonex., Positivo: Ajudam nos sintomas e melhoram o quadro de saúde., Negativo: Apesar de ajudarem nos sintomas eles não agem diretamente na doença, por anos vi a doença progredindo apesar do aumento dos remédios.	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:
Pessoa com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou totalmente favorável à incorporação do Trikafta para pacientes com fibrose cística com variantes responsivas do gene CFTR., , Meu diagnóstico ocorreu apenas aos 34 anos de idade, após investigação por infertilidade. A fibrose cística foi confirmada por teste do suor, com resultado de 84 mmol/L, e pelo sequenciamento do gene CFTR, que identificou duas variantes patogênicas em heterozigose: c.3718-2477C>T (3849+10kbC>T) e c.743+1G>A. A variante 3849+10kbC>T está entre as mutações responsivas ao Trikafta avaliadas nesta consulta pública., , Infelizmente, o diagnóstico tardio permitiu que a doença evoluísse silenciosamente por muitos anos. Quando descobri a fibrose cística, eu já apresentava bronquiectasias difusas, colonização crônica por Pseudomonas aeruginosa, sinusite crônica e importante comprometimento da função pulmonar. Minha função respiratória chegou a um VEF1 de aproximadamente 37% do previsto., , Antes dos moduladores da CFTR, minha rotina era extremamente difícil. Eu precisava realizar fisioterapia respiratória diariamente, múltiplas nebulizações com diferentes medicamentos, antibióticos inalados, incluindo Tobramicima que me fez muito mal e gerou hospitalização, mucolíticos e broncodilatadores. Conviver diariamente com falta de ar, tosse crônica, infecções respiratórias recorrentes e a constante preocupação de perder ainda mais função pulmonar afetava profundamente minha qualidade de vida, minha capacidade de trabalhar e meus planos para o futuro., , Em novembro de 2025 iniciei tratamento com ivacaftor. A resposta foi muito significativa e rapidamente documentada por exames. Minha espirometria evoluiu de um quadro de obstrução pulmonar grave para VEF1 de aproximadamente 69% do previsto, com redução do distúrbio ventilatório para grau leve., , Atualmente estou usando Trikafta em dias alternados por uma questão de acesso e mesmo assim vejo melhoras, hoje corro 3km em reabilitação, faço musculação e ganhei 10 quilos.	2ª - Sim, Qual: Tenho experiência com o Trikafta (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), iniciado em maio de 2026. Atualmente utilizo a medicação em dias alternados devido à dificuldade de acesso ao tratamento contínuo. Antes disso, utilizei Kalydeco (ivacaftor) desde novembro de 2025, também como modulador da proteína CFTR., Positivo e facilidades: Após iniciar o tratamento com moduladores da CFTR, primeiro com ivacaftor em novembro de 2025 e posteriormente com Trikafta em maio de 2026, minha vida mudou completamente., , Antes do tratamento, eu convivia diariamente com falta de ar, tosse crônica, bronquiectasias, colonização por Pseudomonas aeruginosa e perda progressiva da função pulmonar. Minha rotina era dominada por nebulizações, fisioterapia respiratória e medicamentos, mesmo assim a doença continuava evoluindo., , Os benefícios foram percebidos rapidamente e confirmados por exames. Minha função pulmonar evoluiu de um VEF1 de aproximadamente 37% para 69% do previsto, passando de um distúrbio ventilatório obstrutivo acentuado para leve, além do desaparecimento da hiperinsuflação pulmonar e do aprisionamento aéreo., , Clinicamente, a diferença foi enorme. Desde o início dos moduladores não tive nenhuma infecção respiratória que exigisse tratamento com antibióticos orais. Meu peso aumentou de 59 kg para 70 kg, refletindo uma melhora importante do meu estado geral., , Hoje consigo realizar atividades que antes eram impensáveis. Faço musculação regularmente, participo de um programa de reabilitação pulmonar no qual já consigo correr 3 km, e pratico remo na Raia Olímpica da USP, remando cerca de 8 km por semana. Além da melhora física, recuperei minha independência, minha capacidade de trabalhar, viajar e planejar o futuro., , Atualmente utilizo o Trikafta apenas em dias alternados devido à dificuldade de acesso ao tratamento contínuo. Mesmo sem utilizar a dose recomendada, mantenho excelente qualidade de vida, o que reforça o enorme potencial desse medicamento para modificar a evolução da fibrose cística., Negativo e dificuldades: Até o momento, não observei efeitos adversos relevantes relacionados ao uso do Trikafta que justificassem redução, suspensão ou interrupção do tratamento. Tenho realizado acompanhamento médico regular e exames laboratoriais periódicos, conforme recomendado.	3ª - Sim, Qual: Desde o início de 2025 utilizo Pulmozyme (dornase alfa) diariamente, além de fisioterapia respiratória, nebulizações, antibióticos inalatórios quando indicados, broncodilatadores e demais tratamentos convencionais para fibrose cística., O Pulmozyme tornou-se parte da minha rotina logo após o diagnóstico e é importante para auxiliar na fluidificação das secreções respiratórias. Entretanto, trata-se de um tratamento que atua no controle das manifestações da doença, sem corrigir o defeito da proteína CFTR responsável pela fibrose cística., Positivo: Desde que iniciei o Pulmozyme, no início de 2025, percebi melhora na eliminação das secreções pulmonares e maior facilidade para realizar a fisioterapia respiratória. A medicação ajuda a reduzir a viscosidade do muco e é um componente importante do tratamento convencional da fibrose cística., Apesar desses benefícios, seu efeito é essencialmente paliativo. Mesmo utilizando o medicamento diariamente e seguindo corretamente todo o tratamento recomendado, minha doença continuou exigindo uma rotina intensa de cuidados e a melhora obtida foi muito inferior à observada posteriormente com os moduladores da CFTR, que atuam diretamente na causa da doença., Negativo: O Pulmozyme exige uma rotina diária bastante desgastante. Cada aplicação demanda aproximadamente 30 minutos de nebulização, além do tempo necessário para preparar, limpar e higienizar todo o equipamento após o uso. O nebulizador também necessita de manutenção frequente, podendo apresentar entupimentos e exigir interrupções temporárias para limpeza ou substituição de peças., Embora reconheça a importância do Pulmozyme, ele não impede a progressão da fibrose cística, pois não atua sobre a causa da doença. O ganho obtido é relativamente limitado quando comparado ao impacto dos moduladores da CFTR. Na minha experiência, o Pulmozyme ajuda a controlar as consequências da doença, enquanto medicamentos como Kalydeco e Trikafta modificam sua evolução, proporcionando uma melhora muito mais significativa da função pulmonar e da qualidade de vida.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento deve contemplar o maximo de pessoas possível	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Devemos ajudar as pessoas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É tum tratamento necessário pra garantir qualidade de vida e longevidade para pessoas com Fibrose Cística	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito ser necessário visto que existem formas limitadas de tratamento, e havendo essa alternativa no SUS a mortalidade dessas pessoas é reduzida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação salvaria a vida de pacientes em estado crítico e melhoria a qualidade de vida dos que estão apenas sobrevivendo a essa doença, sem terem uma vida plena. Vi de perto o que esse medicamento pode trazer na qualidade de vida das pessoas com essa condição, permitindo a elas uma vida melhor, abrindo caminho para a perspectiva de longevidade e menos internações.	2ª - Sim, Qual: Trikafta., Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida pela melhora dos sintomas., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Uma amiga minha tem fibrose cística e teve melhora significativa na sua qualidade de vida a partir do tratamento com a medicação em questão. Sabendo que o custo do medicamento o torna inacessível para a maioria da população, é importante que o Estado Brasileiro forneça o tratamento de forma plenamente gratuita pelo SUS tendo em vista suas possibilidades orçamentárias.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que este medicamento salva vidas e deve ser utilizado de forma gratuita e acessível por todos que precisam.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todas as pessoas têm direito à qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Medicamentos., Positivo e facilidades: A pessoa que eu convivo melhorou imensamente os sintomas da doença e diminuiu a dependência de outros medicamentos., Negativo e dificuldades: Não há.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O acesso é importante , Pois ele dar mas qualidade de vida, mais expectativa de vida menos infecções pulmonares e melhora o estado nutricional deles das pessoas que tem a doença, no caso do meu filho que usa enzimas pancreáticas quando começa a se usar o Trikafta eles param de usar as enzimas pois o Trikafta age no centro da doença corrigindo a célula defeituosa e isso faz com que o pâncreas deles voltem a funcionar normalmente não precisando usar mas a enzima, essa enzima é um remédio contínuo que se usa todas as vezes que eles vão fazer uma refeição para poder tirar os nutrientes da comida sem esse enzima eles não engordam não ganham peso, no nosso caso essas enzimas não tem disponível à venda e tem uma grande dificuldade para ter esse remédio pois só se pega ela no centro de referência que fica na capital do está que é a mais de 500 km de onde moro, tem meses que não tem no hospital e dependemos de doação desse remédio que sem ele é impossível ter peso normal, a Trikafta também reduz as internações pois ele faz com que o mucuo espesso diminua fazendo com que as infecções pulmonares acabem, o remédio é como se fosse um milagre na vida de quem tem fibrose cistica, no nosso caso em caso de internação do nosso filho ou qualquer consulta temos que ir até a capital do estado que é a mais de 500 km fazendo com que nossa vida seja muito difícil conviver com essa doença, o Trikafta vai diminuir os gastos do estado na entrega dessas enzimas e reduzir gastos com internações constantes que é o caso de quem tem a doença., Eles tem problemas pulmonares e o Trikafta faz com que o pulmão dele voltem ao normal fazendo com que eles possam fazer exercício atividade física que é coisas que eles não conseguem	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu ganhei na justiça 3 caixas e minha vida mudou totalmente naquela época, pulmão limpo, sem cansaço, auto estima voltou, foi um renascimento.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Pulmão limpo, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como profissional que acompanha crianças e adolescentes com fibrose cística, é perceptível que a incorporação dos modeladores teve um impacto enorme nas condições de saúde e, portanto, na melhoria da qualidade de vida desses pacientes. É evidente que quanto mais precoce iniciarmos o tratamento, mais chances essas crianças terão de ter uma vida digna, com qualidade e saúde.	2ª - Sim, Qual: Todos os moduladores., Positivo e facilidades: É nítido a redução do número de internações, o ganho de peso, a melhora da capacidade pulmonar. Vemos crianças que antes eram dependentes de oxigênio, não conseguiam brincar ou ir para escola, precisavam estar no serviço de saúde mais de uma vez por mês, e que eram privadas do convívio em sociedade por conta de suas condições de saúde hoje vivendo uma vida com menos limitações, fazendo cada uma destas atividades! , Negativo e dificuldades: Apenas o acesso limitado à medicação moduladora.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Durante toda a vida, nós pacientes, passamos por momentos muito difíceis em relação a saude. A chegada do trikafta mudou imensuravelmente a nossa qualidade de vida, muitos pacientes não precisam mais fazer uso de oxigênio 24hrs, muitos voltaram a praticar atividades físicas ou até mesmo fazer coisas básicas como tomar um banho sem cair a saturação. É importantíssimo que mais pacientes tenham acesso a esse benefício, o trikafta salva vidas todos os dias.	2ª - Sim, Qual: trikafta, Positivo e facilidades: O medicamento mudou totalmente a minha qualidade de vida, agora consigo trabalhar, praticar esportes, ter uma vida normal. O que não era possível, pois sem o trikafta minha função pulmonar ja estava bem debilitada, impossibilitando que eu fizesse qualquer coisa que exigisse esforço., Negativo e dificuldades: nenhum	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:
Pessoa com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou portadora de FC com mutação N1303K, tenho 56 anos e convivo com todas as comorbidades que a FC causa. Sou diabética, tenho pancreatite, problemas renais, pólipos nasais com inúmeras cirurgias para retirada frequentes, com os pulmões muito comprometidos e que já dificulta respirar para atividades simples do dia-a-dia. Muitas internações por conta de infecções bacterianas e muitas muitas limitações que essa doença causa., Não tenho acesso aos medicamentos citados nesta consulta pública e meu grande desejo é conseguir este tratamento que me proporcionaria uma vida livre das internações frequentes e uma qualidade de vida que não tenho., Essa doença não somente me priva de uma vida normal mas também aos da minha família que, param suas vidas para me ajudarem., Este medicamento representa um novo recomeço, um novo respirar, uma vida nova!, Desde sempre sofri os limites que a FC causa. , Limites na escola por não conseguir participar de atividades simples como Educação Física., Limites no trabalho por não conseguir cumprir tarefas do cargo e muitas demissões por não ser capaz de cumprir exigências das empresas além de, inúmeros atestados médicos por internações longas., Limites na vida social, Limites na vida familiar também uma vez que nem todos entendem oque a gente passa., Limites na vida conjugal porque a depressão e as sequelas que a doença foi me causando. Também afeta o casamento(mesmo tentando de todas as maneiras sobreveviver às tempestades), tem momentos que a razão perde o sentido., Penso e sei que este medicamento é capaz de me dar uma vida que até hoje aos quase 56 anos, eu não tive., Quem já está usando conta as maravilhas que estão vivenciando e esta é a minha esperança., Viver com tantas restrições, não é viver. É sobreviver!, ,	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho 2 filhos com idades de 36 e 37 anos com Fibrose Cística e que começaram a fazer uso da medicação a 3 anos. A melhora foi absurda a ponto de nao precisarem mais fazer uso de várias medicações/inalações e sem mais nenhuma internação. Imprescindível esta medicação para seguirem com seus futuros pessoais, profissionais e familiares. Mais exercícios, corpos saudáveis e mente abertas ao futuro. Uma revolução na vida de cada paciente!!!	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Resposta na melhora pulmonar praticamente imediata ao início do tratamento., Negativo e dificuldades: Somente aspectos positivos	3ª - Sim, Qual: Somente tratamentos paliativos aos efeitos da doença como, antibióticos, fisioterapia respiratória e broncodilatadores., Positivo: Não são positivos, são apenas paliativos , Negativo: Infecção pulmanar de repetição e resistência aos antibióticos existentes	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sabemos que a doença não tem cura, mais queremos qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque sou portador da de fibrose cística	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Bastante diferença da minha saúde , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Creon, Positivo: Melhora da saúde , Negativo: Nenhuma	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para quem vive a realidade da fibrose cística, a vida costuma ser medida em ciclos difíceis: a contagem das tosses diárias, as horas dedicadas à fisioterapia respiratória, o peso que teima em não subir e a sombra constante das internações hospitalares. Muitas famílias conviveram com essa rotina exaustiva desde os primeiros meses de vida de seus filhos. Mas a chegada do (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) mudou essa história, transformando o que antes era um tratamento de controle em uma verdadeira revolução de saúde e liberdade.O medicamento não é apenas mais um remédio, ele representa um marco histórico na medicina moderna. Diferente das terapias antigas, que apenas amenizavam as consequências da doença, esta tripla combinação atua diretamente na raiz do problema. Ao corrigir a proteína defeituosa nas células, o medicamento transforma a realidade do corpo de dentro para fora, devolvendo a dignidade, a energia e o futuro que a fibrose cística tentava limitar., ,	2ª - Sim, Qual: Uma das maiores vitórias recentes da ciência foi a comprovação de que o (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) é altamente eficaz também para pacientes que carregam mutações antes consideradas raras ou complexas, como a mutação N1303K. Por isso, essa mutação já está inclusa em bulas internacionais. , Ver meu filho com a mutação N1303K, que tossia desde os 40 dias de vida, alcançar o fôlego pleno aos 11 anos é a prova viva de que o (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) não apenas trata um diagnóstico. Ele devolve a infância, transforma famílias e reescreve destinos. Graças aos avanços nos estudos genéticos e de acesso à saúde, essa tecnologia inovadora deixou de ser um sonho distante para se tornar uma realidade acessível, provando que a ciência, quando humanizada, tem o poder extraordinário de salvar vidas e devolver o direito de respirar o futuro., Positivo e facilidades: Aquela tosse crônica e persistente, que acompanhava o meu filho desde os primeiros dias de vida, silenciou. O muco espesso deu lugar a vias aéreas livres, meu filho não tem crises de falta de ar. Teve a energia da infância devolvida, consegue brincar, antes se cansava ao menor esforço. A sensação de exaustão foi substituída por uma disposição renovada para viver. Ganhou peso. O corpo finalmente consegue absorver os nutrientes. Ganhou autoconfiança e vitalidade. Conquistou uma rotina normal, o ciclo doloroso de crises e internações frequentes foi quebrado. Ou seja, vive menos dias no hospital e mais dias na escola e ao lado dos amigos. Meu filho deixou de viver em função da doença e passou a planejar o amanhã., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha filha é portadora de fibrose cística e possui mutação responsiva. Estamos usando a medicação Trikafta através de doação, e a vida dela mudou! A qualidade de vida que o remédio está dando a ela é incrível. Precisamos desse remédio pelo SUS. É impossível arcar com o valor da mediação. Minha filha não pode ficar sem, antes do uso do medicamento ela já estava com indicação para fila do	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Minha filha usa a medicação através de doação, temos tratamento para mais 30 dias. Mas ela está usando a 50 dias, estava na UTI quando começou usar o Trikafta e a recuperação dela foi quase que em 24hrs, o medicamento melhorou a função pulmonar dela. Diminui tosses e secreções. Minha filha não conseguia andar mais de 10 passos sem cansar. E esses dias ela me disse, mãe parece que não tenho mais doença no pulmão, eu consigo fazer educação física sem cansar. Ela merece essa qualidade de vida. Não neguem isso a ela por favor., Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Existem estudos em diversos outros países que já mostram vantagens em fazer o tratamento em pessoas com a variação rara. Acredito que o investimento deve ser feito pelo SUS para ajudar o quanto antes essas pessoas.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O preço proibitivo da medicação não permite que a maioria esmagadora dos pacientes tenha acesso a ela.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Diminuição significativa dos episódios de pneumonia, falta de ar e tosse., Negativo e dificuldades: Um pouco de ressecamento da pela e mucosas.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse grupo de medicações foi uma revolução no tratamento da fibrose cistica, doença cronica, progressiva, incapacitante e que pode levar a morte precocemente, alem de implicar negativamente na qualidade de vida. Nao disponibilizar o tratamento para crianças mais jovens significa ignorar a historia natural da doença, e permitir que lesoes irreversiveis se instalem. De acordo com o proprio relatorio da CONITEC, a analise das evidencias clínicas demonstrou que o uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor melhorou a função pulmonar, diminuiu a concentração de sal no suor, reduziu a ocorrência de complicações pulmonares, baixou o risco de internações por infecção e aumentou a qualidade de vida., Outro dado extremamente importante a ser citado é a importancia do acesso a este medicamento para pacientes que NAO POSSUEM A VARIANTE DELTA F508 é a prevalencia deste grupo no Brasil. Em outros paises do mundo a grande maioria, chegando a mais de 90% em alguns locais, tem a variante ao menos em heterozigose. Sendo o Brasil o país mais miscigenado do mundo, ha mais de 30% de pacientes SEM a F508 del, ou seja, que ficarao sem acesso a terapia se a mesma nao for liberada para os mesmos. Isso vai acabar levando a um grupo com mais complicacoes clinicas, o que é absolutamente inaceitavel., O programa nacional de triagem neonatal tem como objetivo detectar doenças precocemente para que seja instaurado tratamento com melhor resultado. Nao dar acessao a uma medicacao tao importante para crianças é no minino uma incongruencia com esse principio. Os brasileirinhos com Fibrose Cistica merecem ser tratados com o que houver disponivel para que cresçam com saude numa sociedade onde exista equidade.	2ª - Sim, Qual: Sou medica geneticista e tenho atuado junto a equipe da pneumologia pediatrica em centro de referencia para Fibrose Cistica (Instituto Fernandes Figueira / Fiocruz - Rio de Janeiro). Temos acompanhado a mudança da historia natural da doença com os moduladores e potenciadores, o numero de internações e intercorrencias reduziu drasticamente nas crianças tratadas., Positivo e facilidades: Menos infecções,, menos internações, melhor qualidade de vida nao apenas do paciente mas de toda a familia, Negativo e dificuldades: nao houve aspectos negativos	3ª - Sim, Qual: Uso de enzimas pancreaticas, dornase alfa, fisioterapia respiratoria, antibioticos inalatorios, Positivo: ajudam a melhorar o quadro de forma parcial, Negativo: crianças seguem precisando de internações e o quadro segue evoluindo com piora progressiva	4ª - A publicacao na Respiratory Research & Clinical Practice. 2026, 52(1):e20250384 - DOI: 10.36416/1806-3756/e20250384 - Effectiveness of elexacaftor-tezacaftorivacaftor in people with cystic fibrosis carrying non-F508del variants in Brazil mostra a experiencia de mundo real em 34 jpacientes sem a variante F508del, sendo os resultados comparaveis aos pacientes com a variante, ou seja, reduçao nos sintomas respiratorios, ganho ponderal e redução de cloro no sutor. Esses pacientes tinha idade superior a 10 anos. Certamente com menos idade os resultados de longo prazo serão melhores, uma vez que a historia natural da doença é modificada., , Artigo fundamental publicado em 2025 pelo grupo da profa Lygia Pereira (K. Nunes et al., Science 388, eadl3564 (2025). DOI: 10.1126/science.adl3564) mostra que a população brasileira é a MAIS MISCIGENADA DO MUNDO, o que explica a quantidade de pacientes com Fibrose Cistica com variantes nao F508del.	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Dar qualidade de vida às pessoas é fundamental na saúde pública.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação porque esse medicamento trata a causa da doença em pacientes elegíveis, melhora a qualidade de vida, reduz complicações e internações e amplia o acesso a um tratamento eficaz para quem depende exclusivamente do SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas pessoas já usaram e ficou provado que o medicamento age diretamente na proteína cftr, diminuindo a progressão da doença, É justo que as pessoas com essa doença tenham a chance de viver mais e com mais qualidade de vida. Diminuir os medicamentos usados para a doença e o grande número de internações ao longo da vida, desde criança até adulto é um grande avanço também para o sistema público de saúde. Os medicamentos e terapias usados tem um valor alto. Com o uso da tecnologia isso vai diminuir e o custo benefício será maior com certeza.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu convivo há anos com meu marido que tem fibrose cística e sinto diariamente e de minuto a minuto as limitações e sofrimento que essa doença traz. Precisamos da ajuda do Sus porque o medicamento trikafta que ele começou a tomar com resultados muito bons (mas e muito caro (impossível) para custearmos)	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Ele melhorou muito , parou de tossir a cada minuto , voltou a praticar esportes e está dormindo bem , coisa que não acontecia anteriormente , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A tecnologia pode viabilizar o tratamento de doenças raras.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **28/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento é essencial para aumentar a qualidade de vida dos portadores de FC	2ª - Sim, Qual: Medicamento, Positivo e facilidades: O número de internações decorrentes de infecção pulmonar diminuiu drasticamente após o uso do medicamento , Negativo e dificuldades: Alguns efeitos colaterais	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como profissional da saúde acompanhei a melhora clínica de vários pacientes que conseguiram o medicamento através de doações ou via judicial. , É importante salientar que a maior parte dos pacientes portadores de Fibrose Cística tem benefícios com o uso do medicamento, independente de terem a mutação F508del.,	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Melhora clínica, maior capacidade para atividades laborais, redução de hospitalizações, redução no número de consultas e exames relacionados à exacerbação., Negativo e dificuldades: O aspecto negativo é a dificuldade de acesso para os pacientes não-F508del.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhoria na qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhora na qualidade de vida, melhor desenvolvimento, redução drástica na frequência de internação ou uso de antibióticos, mais eficácia no tratamento., Todos devem ter direito ao acesso do medicamento via SUS independente da idade.	2ª - Sim, Qual: Trikafta., Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida, melhoras no meu quadro de saúde, a falta de necessidade no uso de outras tecnologias em momentos de estabilidade, descontinuação no uso frequente de inalações, fisioterapias ou antibióticos., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, Qual: Inalações, fisioterapia, antibióticos, aparelhos de exercício pulmonar., Positivo: Nenhum., Negativo: Muitas tecnologias pra pouca eficácia, de nada adiantava pois era paliativo e não efetivo.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Aumento de sobrevida, qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Espectadora de uma grande melhoria de qualidade de vida de familiar, Positivo e facilidades: Qualidade de vida, diminuição drastica de internaçoes, aumento de capacidade respiratória , Negativo e dificuldades: Efeitos colaterais	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como portadora de fibrose cística, acho muito importante porque mudou completamente minha vida, tanto minha como dos meus pais, que puderam ficar menos preocupados e conseguindo focar em outras coisas também além de mim, e eu consegui estudar normalmente, consegui trabalhar com o que gosto, consegui aprender novas coisas etc. mudou completamente minha vida!	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA, Positivo e facilidades: qualidade de vida. Sem falta de ar, conseguir praticar atividade física, ganho de peso etc , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Inalações , Positivo: Menos falta de ar , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda a possibilidade de cuidado e melhora de qualidade de vida do paciente deve estar considerado e incluído no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pára a minha filha, assim como para muitas outras crianças, essa incorporação ajudará muito no tratamento e, principalmente, na qualidade de vida. Observando pacientes que já fazem uso, percebemos uma melhora extremamente significativa, e expandindo os pacientes que se beneficiam da medicação, teremos inclusive menos internações e intercorrências na saúde pública, uma vez que esses pacientes precisarão menos de intervenção.	2ª - Sim, Qual: Ivacaftor, Positivo e facilidades: O paciente que conheço, da mesma idade da minha filha, teve uma melhora pulmonar impressionante, pelos exames nem parecia o mesmo pulmão., Negativo e dificuldades: Não encontrei nenhum.	3ª - Sim, Qual: Minha filha faz o tratamento tradicional, em acompanhamento na Unicamp., Positivo: As medicações e técnicas utilizadas até agora ajudam muito para retardar o avanço da doença, o que já é melhor do que antigamente., Negativo: A piora é constante, os medicamentos tradicionais apenas retardam a piora na condição de saúde.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, De extrema importância incorporar um medicamento ao qual traz tantos benefícios aos pacientes que dele fizerem uso. Como portadora de fibrose cística posso afirmar que minha vida teria sido totalmente diferente se tivesse feito uso do trikafta desde a infância, hoje com 32 anos carrego inúmeras marcas dessa doença que com toda certeza teria sido diferente se o tratamento adequado com trikafta tivesse sido disponibilizado a mim, com função pulmonar baixa, colonização por bactérias e comprometimento de boa parte gástrica afirmo com toda certeza que todas as crianças que tiverem acesso a esse medicamento terá uma qualidade de vida excelente	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme , Positivo: Pulmozyme foi um medicamento que eu trouxe melhora significativa na qualidade do meu pulmão, tive diminuição de alguns sintomas e melhora em alguns aspectos, Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Faço parte da Associação de Assistência à mucoviscidose do Pr sou mãe de uma moça de 33 anos portadora de FC que infelizmente sua mutação ainda não é elegível ao medicamento mas, acompanho pacientes da associação que mudaram a vida com o uso do medicamento. Tiveram sua qualidade de vida elevada em mil por cento e isso não tem preço, vamos todos juntos proporcionar uma oportunidade de vida para TODOS.	2ª - Sim, Qual: Conheço pessoas que tiveram melhora significativa com uso do trikafta, Positivo e facilidades: melhora nos exames , Negativo e dificuldades: não há	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:
Pessoa com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Possuo as mutações G85E e V232D, ambas elegíveis pela bula original do Trikafta, já aprovada pela ANVISA. , A progressão da doença está bastante avançada, com capacidade pulmonar abaixo de 40%, eventos frequentes de hemoptises, o qual o quadro mais grave necessitou de internação hospitalar em 05/2024. A situação se agravou ainda mais com um caso grave de pneumonia no final de 2024, necessitando de nova internação hospitalar. Em ambas as internações, foram constatados relativos riscos de vida. , Desde então, estou afastado das atividades laborais, com insuficiência respiratória constante. , Mantenho o máximo de isolamento social possível, inclusive de familiares, para minimizar as chances de contrair infecções e viroses. Mesmo assim, as infecções estão cada vez mais frequentes, e possuo hoje um quadro permanente de inflamação nos pulmões, me obrigando a fazer uso contínuo de imunossupressor. , Hoje, para que eu consiga ter vida normal e as atividades normais de uma vida produtiva, faz-se necessário um transplante de pulmão, o qual eu já estaria elegível a entrar na fila pública, opção bastante invasiva e drástica. A outra opção é o uso do Trikafta, que tem se mostrado totalmente eficiente para os pacientes que vêm utilizando, tanto para os que possuem a mutação Del quanto para os que possuem as demais mutações raras. , Não acho justo submeter um paciente a um transplante arriscado e invasivo de pulmão, tendo disponível um medicamento que se mostra totalmente eficiente para a doença, além de outros pacientes deixariam de se beneficiar de um pulmão que poderia salvar suas vidas. Além disso, o transplante não resolve a doença em si, visto que as infecções e os problemas persistiriam, pois a mucosidade e os problemas pancreáticos não seriam resolvidos. , A minha salvação e de tantos outros pacientes é o Trikafta, que comprovadamente corrige os problemas, normalizando assim o funcionamento do organismo e devolvendo qualidade de vida aos 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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu marido tem fibrose cística, sofremos a anos, ele vive na base de antibiótico, remédio, internações...por 3 meses ganhou liminar da justiça e com isso chegou remédio para 3 meses, melhorou significativamente, mais infelizmente ao acabar, voltou tudo piorar	2ª - Sim, Qual: Meu marido recebeu 3 caixas da justiça, e foi os melhores meses da vida dele. Ele conseguia dormir, não tinha catarro , Positivo e facilidades: Todos, qualidade de vida, dormir sem estar sentado, não ter catarro, não tossir, enfim, qualidade de vjda, Negativo e dificuldades: Nenhum, só tem aspectos positivos	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu penso que o Trikafta deve ser incorporado ao SUS porque todos os pacientes com fibrose cística responsivos merecem acesso ao melhor tratamento disponível. A fibrose cística é uma doença grave, progressiva e que afeta profundamente a qualidade e a expectativa de vida. Quando existe um medicamento capaz de atuar na causa da doença, ele não deve ser restrito apenas a quem tem as mutações mais comuns. Hoje já sabemos que, até mesmo entre mutações que não estão na bula da ANVISA, há pacientes que apresentam melhora clínica real quando têm acesso ao Trikafta pela via judicial. Isso já foi observado em outros países e também aqui no Brasil. , Portanto, incorporar o Trikafta para mutações raras responsivas significa o início da equidade ao acesso entre os pacientes de fibrose cística. Significa dar a essas pessoas a mesma chance de estabilização, melhora funcional, redução de internações e qualidade de vida que os pacientes F508del já experimentam pelo acesso ao SUS.	2ª - Sim, Qual: Minha filha começou a usar o Trikafta recentemente, Positivo e facilidades: Eu sou mãe de uma adolescente de 15 anos com fibrose cística e duas mutações raras. Recentemente, durante uma internação longa e muito difícil, Loara começou a usar o Trikafta. Minha filha apresentou melhora clínica real em apenas 14 dias: glicemias estabilizaram, ela reduziu insulina, testes de função pulmonar começaram a subir, e a equipe médica, experiente e cautelosa, reconheceu que o medicamento está trazendo benefícios concretos. Pacientes como a Loara, com mutações raras, não podem continuar invisíveis nas políticas públicas. Negar o acesso ao Trikafta para mutações raras é negar a chance de vida para pacientes que muitas vezes não têm outra alternativa a não ser esperar pelo transplante. Minha filha está melhorando. Ela está respirando melhor. Ela está vivendo melhor. E isso só aconteceu porque ela teve acesso ao Trikafta. Eu peço que outras famílias também tenham essa chance., , Negativo e dificuldades: Os pontos negativos não estão relacionados ao medicamento em si, mas ao contexto de acesso no Brasil. O principal problema é que, embora o Trikafta represente uma possibilidade real de melhora para muitos pacientes com fibrose cística, o acesso pelo SUS ainda é restrito aos F508del. Na prática, muitos pacientes que poderiam se beneficiar do tratamento continuam sem alternativa concreta de um medicamento que atue na causa da fibrose cística, a menos que consigam acesso por via judicial., Outro ponto negativo é a diferença entre os avanços já reconhecidos em outros países e a realidade brasileira. Enquanto bulas internacionais vêm ampliando a indicação para mutações capazes de produzir a proteína CFTR, no Brasil o acesso pelo SUS ainda não acompanha essa necessidade. Isso faz com que pacientes com mutações raras permaneçam em situação de desigualdade, mesmo quando há evidências de que podem responder ao tratamento	3ª - Sim, Qual: Creon, pulmozime, colimicina, tobramicina, insulinas, ursacol, Aerolin, alenia, antibióticos, omeprazol, vitaminas, suplementos, hipertônica. , Positivo: , os medicamentos que ela usa são importantes e necessários, que eles ajudam a controlar alguns sintomas, melhorar a digestão, fluidificar as secreções, tratar as infecções recorrentes, as complicações da fibrose cística, mas não tratam a causa da doença. Por isso, apesar de serem necessários, eles não substituem a importância de um medicamento modulador como o Trikafta, que age diretamente no defeito da proteína CFTR., Negativo: Os aspectos negativos desses medicamentos são principalmente a quantidade e a rotina pesada que eles exigem. São muitos medicamentos todos os dias, em horários diferentes, além de nebulizações, enzimas, antibióticos, vitaminas e cuidados relacionados à diabetes. Isso torna o tratamento cansativo, tanto para o paciente quanto para a família., Outro ponto negativo é que, mesmo usando todos esses medicamentos corretamente, eles não impedem totalmente as infecções, as internações, a perda de função pulmonar e as complicações da fibrose cística. Eles ajudam a controlar os sintomas e a tratar os problemas que aparecem, mas não tratam a causa da doença., Também existem efeitos colaterais, desconfortos, dependência de uma rotina rígida e impacto emocional. É muito difícil para uma adolescente viver todos os dias com tantos remédios e cuidados, sem poder ter uma rotina parecida com a de outros jovens da mesma idade., Por isso, embora esses medicamentos sejam necessários e importantes, eles não substituem um tratamento que atue na causa da fibrose	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação ela simplesmente mudará a vida das pessoas que tiverem acesso! Esse remédio salva vidas, muitos que estão extremamente debilitados tem uma mudança drástica na saúde e começam a viver. Tendo como exemplo os pacientes que já tem acesso, abranger para as mutações raras salvará mais vidas.	2ª - Sim, Qual: O Trikafta estabilizou o quadro do paciente, desde os primeiros meses de uso houve um ganho de peso e estabilidade na saúde, a incorporação desse medicamento aos pacientes com mutações raras salvará muitas vidas. , Positivo e facilidades: Houve um ganho de peso que antes da medicação não tinha. , , Internações estão praticamente a escassas, e antes eram com certa ocorrências. , , Resistência física está visível também. , Negativo e dificuldades: Não existe nada negativo quando a experiência com essa medicação	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu filho tem 22 anos, foi diagnosticado com fibrose cística aos 36 dias de vida. Mesmo tendo acesso ao tratamento disponível desde então, nunca conseguiu ter uma vida normal, tendo sido bastante limitado na infância e adolescência. A rotina de tratamento diário sempre foi pesada, envolvendo inúmeros medicamentos, inalações e duas fisioterapias todos os dias. As internações eram recorrentes e sempre muito difíceis, exigindo, entre outras terapias, a infusão de dois ou três antibióticos de alto custo via endovenosa por, no mínimo, 14 dias. Há dois anos e meio, tivemos vitória judicial e passamos a receber o Trikafta. Acredito que não existam palavras suficientes para exprimir o verdadeiro milagre que essa droga operou no organismo do meu filho. Ele teve uma melhora tão significativa, que estando abaixo do peso, a partir do início da terapia com Trikafta, ganhou 10 quilos no primeiro mês. Saiu da fraqueza e prostração já na primeira semana de uso, conseguindo frequentar academia e retornar à faculdade. Com a impressionante melhora, em poucos meses pôde começar a trabalhar e ser economicamente ativo, gerando renda para si e para a família. Hoje está concluindo o curso superior este ano e se mantém estável no emprego. Psicologicamente se encontra em outro patamar, saiu da depressão que o acometia durante os últimos anos devido ao acometimento constante do pulmão. O Trikafta simplesmente opera um milagre na vida do paciente e de sua família, reduzindo drasticamente o uso de outros medicamentos de alto custo e a quantidade de internações, além de permitir a integração da pessoa no mercado de trabalho. Por essa experiência, eu afirmo que não há dúvidas de que esse medicamento deve ser incorporado para o tratamento da FC em pacientes com mutações raras, como meu filho.	2ª - Sim, Qual: Trikafta. , Positivo e facilidades: Melhora de uma situação extremamente ruim de saúde para uma situação equivalente a uma saúde absolutamente normal. Ganho de qualidade de vida expressiva. Possibilidade de cursar universidade e ser inserido no mercado de trabalho, tornando-se economicamente ativo. Diminuição drástica de internações e utilização de outros medicamentos de alto custo. Ganho imenso de saúde mental. , Negativo e dificuldades: Honestamente, nenhum. Durante a primeira semana de us, meu filho sentiu uma leve dor de cabeça, mas esse único efeito colateral desapareceu a partir da segunda semana tomando Trikafta.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Assim como a incorporação da nova tecnologia foi fornecida para pacientes portadores de pelo menos uma mutação f508, os pacientes com mutações raras também merecem ter melhora na qualidade de vida, pois já há casos clínicos comprovados na bula americana e europeia, assim como pacientes que conseguiram judiacialmente já apresentam respostas muito positivas em seu tratamento, gerando menos internações, menos uso de terapias respiratórias e deixando de fazer uso de medicações de alto custo retiradas em seus acompanhamentos nos centros de referência. A nova tecnologia foi capaz de corrigir o erro na proteina de íons calcio no meu filho, pois o mesmo começou a fazer uso da medicação através de processo judicial, e após um mês de uso, seu nível de cloro no suor passou de 75 para 17, resultado classificado como NORMAL, Dessa forma, um dos principais quadros de sudorese que ocorria e que o levava a desidratação foi corrigido. Antes disso, tinhamos que ter sempre o cuidado de levar repositores de eletrólitos para compensar esse quadro para que não houvesse baixa e com isso evitando que ele fosse internado por desidratação, que ocorreu nos seus primeiros meses de vida. Além disso, foi perceptivel a melhora no quadro respiratorio, pois desde o começo do uso da nova terapia, ele não apresentou mais tosses e pigarros recorrentes do acumulo de secreção, que era sempre muito espessa e de dificil eliminação, principalmente quando era acometido por sintomas gripais. Com o seu uso, também pudemos parar de fazer uso de Cortisona diário, o que o também o tira do quadro de paciente de risco devido ao uso prolongado de cortisona. Ja estamos com uma carga de terapias reduzida, fazendo com que ele possa ser uma criança normal e não ter tanta responsabilidade como ele foi obrigado a ter desde sempre.	2ª - Sim, Qual: Temos experiência com Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor através de ação judicial que foi fornecida a partir de fevereiro deste ano, sendo meu filho portador da mutação P205S, que está na bula ampliada e já comprovada cientificamente também na bula americana e europeia, com diversos casos que mostram ser uma mutação responsiva ao tratamento com a medicação, sendo responsável por corrigir a proteina condutora de ions calcio e normalizando sua condução por completo, conforme exame anexados abaixo, onde o valor de 75 foi coletado no final de 2024 e o valor de 17 neste ano após ínicio do uso do Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor. , Positivo e facilidades: Meu filho é portador de pelo menos uma mutação rara já confirmada que é responsiva ao uso da Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, pois ele possui a P205S. Nesse ano, conseguimos através de ação juducial o fornecimento da nova tecnologia. Mesmo com apenas 4 meses de uso da medicação já é possível ver uma melhora significativa em seu quadro clinico geral, pois ele simplesmente não apresentou mais qualquer secreção, pigarro e tosses frequentes. Além disso, essa seria uma época que ele apresentaria muitas intercorrências respiratórias, estando frequentemente doente e com exacerbações, e não tivemos nenhuma, coisa que para ele que ao longo dos seus 11 anos de vida, era sempre frequente, acarretando muitas faltas escolares e o prejudicando academicamente. Desde o começo de seu uso, já pudemos verificar logo após um mês de uso, a normalização deu seu exame de Cloro no Suor, um dos testes utilizados para o diagnostico da Fibrose Cistica(anexado abaixo), assim como sua saturação que anualmente vinha abaixando e estava em 93, estamos conseguindo manter entre 98-99. Além disso, já pudemos diminuir a quantidade de terapias, que previamente eram realizados fisioterapias respiratórias pela manhã e pela tarde, o que consumia pelo menos duas horas de seu dia, além de todas as suas atividades como toda a criança que não possui a doença. Atualmente estamos realizando somente a fisioterapia pela manhã e já pudemos deixar de fazer uso de Cloreto de Sódio a 7%, Aerolin e Seretide, sendo a próxima etapa remover o Pulmozyme, que também é de alto custo. Vejo em meu filho, uma nova criança, com muito mais disposição, muito menos cansado e com mais folego, perceptível em suas aulas de natação e ao correr para brincar, Negativo e dificuldades: Não observamos nenhum aspecto negativo em seu tratamento, somente coisas positivas e melhora no quadro clinico geral de meu filho.	3ª - Sim, Qual: Tivemos experiência somente com Pulmozyme, mas que o mesmo não corrige o defeito na proteína condutora do cloro no suor, ela apenas trata os sintomas, sendo responsável apenas por fluidificar o muco do paciente fibrocistico. Até então, as demais tecnologias previamente aprovadas pelos órgãos de saúde do mundo não eram responsivas ‘a mutação P205S, coisa que a Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor se mostrou super responsiva e com grandes melhoras no quadro de saúde geral. Até o momento só observamos aspectos positivos no uso do Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, pois com seu uso já houve normalização do nível de cloro no suor, melhora na saturação de oxigênio, melhora em função pulmonar, ganho de peso e estatura., Positivo: Não tivemos muitos efeitos positivos, pois o tratamento que ele vinha realizando apenas amenizavam os sintomas clínicos da doença e não tratava o problema de base. O Pulmozyme, embora muito útil na fuidificação do muco do paciente fibrocistico, não tem a capacidade de melhorar o quadro geral de saude do paciente, ou seja, intercorrências respiratorias, exacerbações e uso de antibioticos inalatorios sempre foram recorrentes durante o tratamento, sendo necessário muitas vezes perder ate 2 a 3 semanas de aula devido a pneumonia de repetição, alem do sudi de antibioticos muito fortes como Ciprofloxacino, Colistimetato de Sódio, Tobramicina, entre outros, fazendo com que intercorrencias com bactérias fiquei cada vez mais complexas de eliminar e sendo necessario hospitalizaçao para que seja usado antibioticos intravenosos de 4a geração. , Negativo: "O que pudemos observar é que não havia um completo tratamento e sim um ""mascaramento"" do quadro de exarcebações, visto que o que era fornecido para mutações raras tratavam apenas os sintomas clinicos e não corregiam os defeitos, fazendo com que os pacientes percam muitas horas de seu dia para realizar terapias para que possam conseguir respirar e fazer o mínimo de suas atividades diárias, fazendo com que muitos dependam de LOAS, pois não conseguem trabalhar em sua vida adulta e que muitas crianças percam sua infância por passar boa parte do seu tempo fazendo terapias para diminuir a quantidade de catarro acumulado em seus pulmões."	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:
Pessoa com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu como uma pessoa com FC, estou com processo judicialmente pra tentar pegar a medicação que pode mudar a minha qualidade de vida, assim como muda diariamente a vida de pessoas q já fazem o uso do modulador. , ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha irmã tem fribose luta diária com a doença, diversas internações, enquanto tenta aprovação na fila do transplante, o medicamento já daria uma qualidade de vida melhor e uma esperança pra nossa filha.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Este medicamento muda a vida de portadores de fibrose cística porque ele faz a doença estacionar e as pessoas voltam a respirar.	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Respirar, , Manter o peso, Manter a glicemia adequada., Negativo e dificuldades: Faltar o medicamento no posto	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, EU TENHO FÉ QUE ESSA NOVA TECLOGIA SERÁ INCORPORADO VIA SUS PARA PACIENTES COM MUTAÇÕES RARAS, PARA QUE POSSAM TER A POSSIBILIDADE DE TER A SUA SAÚDE MELHORADA, COM MAIS QUALIDADE DE VIDA, MENOS TEMPO NA REALIZAÇÃO DE TERAPIAS, MENOS INTERNAÇÕES, VISTO QUE JÁ HÁ DIVERSOS PACIENTES NO MUNDO FAZENDO USO E QUE ESTÁ COMPROVADO CIENTIFICAMENTE QUE AS MUTAÇÕES NA BULA ESTENDIDA DA ANVISA SÃO RESPONSIVAS AO TRATAMENTO, QUE NÃO SERÁ UM DINHEIRO MAL INVESTIDO NA SAUDE, JÁ QUE OUTRAS MEDICAÇÕES DE ALTO CUSTO SERÃO REMOVIDAS DE SEU TRATAMENTO COMO SUBSTITUIÇÃO PELA ATUAL, FORA O ALTO CUSTO HOSPITALAR E MEDICAÇÕES INTRAVENOSAS QUE DEIXARÃO DE SER USADAS OU REDUZIDAS DRASTICAMENTE PARA O TRATAMENTO A LONGO PRAZO, VISTO QUE AINDA NÃO POSSUIMOS UMA CURA PARA O MESMO.	2ª - Sim, Qual: MEU FILHO, PORTADOR DA MUTAÇÃO P205S, PASSOU A FAZER USO DO TRIKAFTA A PARTIR DE FEVEREIRO DESTE ANO ATRAVÉS DO GANHO DE AÇÃO JUDICIAL CONTRA A UNIÃO. ATÉ ENTÃO ELE SÓ REALIZAVA USO DE MEDICAÇÕES DE CONTROLE DOS SINTOMAS CLINICOS, MAS QUE NÃO ERAM SUFICIENTES PARA RETARDAR A PROGRESSÃO DE SUA DOENÇA E QUE CONSEQUENTEMENTE FAZIA USO CONSTANTE DE MEDICAÇÕES DE USO CONTINUO COMO CORTICOIDES E ANTIBIOTICOS VIA ORAL E INALATORIO (ALTO CUSTO RETIRADO NO SUS) PARA TENTAR SEGURAR AS INÚMERAS EXARCEBAÇÕES RESPIRATORIAS. , Positivo e facilidades: SEU QUADRO CLINICO MUDOU DRASTICAMENTE COM O INICIO DO USO DO TRIKAFTA, POIS NÃO APRESENTOU ABSOLUTAMENTE NENHUM SINTOMA RESPIRATORIO, NEM AO MENOS GRIPES E/OU RESFRIADOS QUE ERAM SEMPRE FREQUENTES QUANDO ENTRAVA O OUTONO, ALÉM DA PREOCUPAÇÃO QUE EU E MINHA ESPOSA SEMPRE TINHAMOS PARA O MESMO NÃO PEGAR INFLUENZA, POIS ELE JA PEGOU 2X, MESMO QUANDO CORRIAMOS PARA VACINA-LO ATE MESMO NA REDE PRIVADA, POIS FICAVA EXTREMAMENTE DEBILITADO E SECRETIVO POR MAIS DE 20 DIAS. E CADA VEZ MAIS ERA MAIS DIFÍCIL REVERTER SEU QUADRO APENAS COM FISIOTERAPIA RESPIRATORIA E ACABAVAMOS USANDO MEDICAÇÕES MUITO POTENTES E QUE CONSEQUENTEMENTE ESTAVA FICANDO RESISTENTE AS MESMAS. ALEM DE NÃO APRESENTAR MAIS NENHUM SINTOMA RESPIRATORIO, NÃO O VEMOS MAIS TOSSINDO OU COM FALTA DE AR, OU PUXANDO CATARRO QUE EVENTUALMENTE APARECIA DURANTE A MADRUGADA, INTERROMPENDO SEU SONO FREQUENTEMENTE. PUDEMOS OBSERVAR TAMBÉM A MELHORA NA SUA FUNÇÃO PULMONAR E NA SUA SATURAÇÃO. ELE MESMO RELATA QUE AGORA SE CANSA BEM MENOS PARA BRINCAR NORMALMENTE COM SEUS AMIGOS E QUE TEM MUITO MAIS FOLEGO PARA FAZER AS TRAVESSIAS DURANTE A SUA AULA DE NATAÇÃO. ELE É UMA NOVA CRIANÇA!!, Negativo e dificuldades: NÃO OBSERVAMOS NENHUM ASPECTO NEGATIVO DURANTE SEU TRATAMENTO, SOMENTE POSITIVO!	3ª - Sim, Qual: ANTES DE REALIZAR O USO DO TRIKAFTA, ELE FAZIA APENAS O TRATAMENTO PROPOSTO PELA EQUIPE ESPECIALISTA NO HC AQUI DE SÃO PAULO, QUE VISAVA APENAS O TRATAMENTO INTERCORRENCIAS, E NÃO TINHAMOS UM TRATAMENTO EFETIVO PARA A CAUSA DA DOENÇA. MESMO COM OUTRAS TECNOLOGIAS QUE FORAM APROVADAS PARA TRATAMENTO VIA SUS, MEU FILHO NÃO TEVE A POSSIBILIDADE DE USO, POIS SUA MUTAÇÃO NÃO ERA CONTEMPLADA E NEM RESPONSIVA. OU SEJA, USAVAMOS APENAS PULMOZYME, AEROLIN, SERETIDE, SOLUÇÃO INALATORIA HIPERTÔNICA A 7% TUDO ASSOCIADO A DUAS FISIOTERAPIAS DIARIAS QUE CONSUMIAM PELO MENOS 2 HORAS DE SEU DIA QUANDO ELE ESTAVA EM UM BOM DIA, POIS COMO TODA CRIANÇA QUE É OBRIGADA A ALGO, EM ALGUM MOMENTO NÃO SERÁ TÃO COLABORATIVA. OU SEJA, MEU FILHO FOI OBRIGADO A TER MUITO MAIS RESPONSABILIDADES EM UMA IDADE TÃO PRECOCE QUE MUITOS NÃO COMPREENDEM O GRAU DE SEVERIDADE DA DOENÇA E O QUE ISSO ACARRETA EM SUA VIDA E NOS QUE CUIDAM DELE DIARIAMENTE. , Positivo: O LADO POSITIVO ERA O FATO DE TENTAR MANTE-LO ESTAVEL PARA NÃO PIORAR SE QUADRO CLINICO, FAZENDO A RISCA TODO O TRATAMENTO PROPOSTO PELA EQUIPE DE SAUDE MULTIDISCIPLINAR, MAS QUE MESMO ASSIM NEM SEMPRE ERA O SUFICIENTE. , Negativo: O LADO NEGATIVO SEM DUVIDA ERA O FATO DE NÃO TRATAR A BASE DA DOENÇA E SIM SOMENTE SEUS SINTOMAS.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Trikafta deve ser incorporado ao SUS porque ele é um tratamento capaz de mudar a vida das pessoas com fibrose cística que possuem mutações elegíveis. Diferentemente dos tratamentos convencionais, que ajudam a controlar os sintomas e tratar as complicações da doença, o Trikafta atua na causa do problema, oferecendo a oportunidade de preservar a função dos órgãos, interromper a progressão da doença. Quando conseguimos o Trikafta por decisão judicial, em novembro de 2025, vimos uma transformação que nenhum outro tratamento havia proporcionado. Infelizmente, essa realidade ainda não está ao alcance de todas as famílias. Muitas pessoas com mutações raras responsivas continuam aguardando esse tratamento enquanto a doença segue causando danos irreversíveis aos pulmões, ao pâncreas e a outros órgãos. Cada mês de espera representa perda de saúde que, muitas vezes, não poderá ser recuperada. E caminho quase que inevitável será o complexo processo de transplante pulmonar. Nenhuma família deveria depender de uma ação judicial para ter acesso a um medicamento que é capaz de transformar vidas. O acesso ao Trikafta não pode depender da condição financeira ou da possibilidade de recorrer à Justiça e ainda assim com a possibilidade de não conseguir o acesso judicial. Ampliar o acesso do Trikafta ao SUS para além dos F508del significa promover equidade e melhorar a qualidade e a expectativa de vida de todos os pacientes responsivos e oferecer a todos a mesma oportunidade de viver com mais saúde e dignidade. Como mãe, espero que outras famílias possam experimentar a mesma mudança que nós tivemos, sem precisar enfrentar tantos anos de espera e sofrimento.	2ª - Sim, Qual: Meu filho usa o Trikafta na dosagem infantil desde novembro de 2025. , Positivo e facilidades: Sou mãe do Emanuel Marcos, 8 anos de idade e mutações N1303K/R334W. Minha experiência com o Trikafta foi transformadora. Meu filho nasceu com fibrose cística, mas o teste do pezinho da época não identificou a doença. Durante seis anos convivemos sem saber o verdadeiro motivo de tantas infecções respiratórias, tosse intensa, catarro, febre e uso frequente de antibióticos. Mesmo após o diagnóstico e o início do acompanhamento no centro de referência, ele continuava tendo muitas crises, internações e faltas na escola. A tosse e o excesso de secreção faziam parte da nossa rotina, apesar de todos os tratamentos realizados. Em novembro de 2025 conseguimos iniciar o Trikafta por meio de uma ação judicial, e a mudança foi impressionante. Meu filho praticamente deixou de tossir, não produz mais a quantidade imensa de catarro que tinha todos os dias e passou a respirar muito melhor. Sua função pulmonar aumentou expressivamente ele ganhou peso, passou a se alimentar melhor e hoje tem muito mais disposição. O maior benefício foi vê-lo voltar a viver como uma criança normal. Hoje o Emanuel é outra criança! Ele corre, brinca, joga futebol e participa das atividades sem precisar parar por causa da tosse ou do cansaço. A diferença entre o antes e o depois do Trikafta é enorme. Também percebemos uma melhora muito grande na qualidade de vida de toda a família, porque deixamos de viver com o medo constante de novas crises e internações. Como mãe, depois de tudo o que vi meu filho enfrentar desde o nascimento, é impossível descrever a emoção de vê-lo saudável, ativo e feliz. Sei que a fibrose cística continua existindo, mas o Trikafta lhe deu uma vida que antes parecia impossível. Para nossa família, esse medicamento representa um sopro de vida todos os dias! , Negativo e dificuldades: Não observamos efeitos negativos relacionados ao uso do Trikafta. Pelo contrário, todos os benefícios superaram qualquer expectativa que tínhamos. O maior aspecto negativo foi a demora para conseguir acesso ao medicamento. Meu filho precisou esperar anos e recorrer à Justiça para iniciar um tratamento que mudou completamente a nossa vida. Esse tempo de espera representa um risco de vida para muitos pacientes com fibrose cística.	3ª - Sim, Qual: Solução salina hipertônica, Dornase alfa (Pulmozyme, Colimicina , Azitromicina, Alenia, Antibióticos orais e intravenosos, Fisioterapia respiratória, Vitaminas e suplementos nutricionais, nebulizações.., Positivo: Todos os tratamentos que meu filho utilizou antes do Trikafta foram muito importantes e fizeram parte dos cuidados que a fibrose cística impõe. Os antibióticos ajudavam a controlar as infecções respiratórias, as nebulizações e a fisioterapia respiratória auxiliavam na eliminação das secreções, e os demais medicamentos contribuíam para aliviar os sintomas e manter sua saúde da melhor forma possível. Esses tratamentos foram essenciais para aliviar as complicações da doença e proporcionar alguns momentos de melhora, permitindo que ele tivesse condições de continuar lutando contra a fibrose cística. , No entanto, percebíamos que esses benefícios eram temporários. , Negativo: Embora todos esses tratamentos tenham sido fundamentais para cuidar do meu filho, eles não conseguiram impedir a progressão da fibrose cística. Os benefícios eram temporários: após os antibióticos e as internações ele melhorava por um período, mas logo a tosse, o excesso de catarro, as infecções e as crises respiratórias voltavam. Isso fazia com que nossa rotina fosse marcada por idas frequentes ao hospital, uso repetido de medicamentos, fisioterapia respiratória diária, nebulizações e muitas faltas na escola. , , Além da carga de tratamento ser muito grande, esses medicamentos tratavam principalmente os sintomas e as complicações da doença, mas não atuavam na sua causa. Mesmo seguindo corretamente todas as orientações médicas, meu filho continuava perdendo qualidade de vida e permanecia sob o risco de novos danos aos pulmões e a outros órgãos. , , Por isso, apesar de reconhecer a importância de todas essas terapias, percebemos que elas, sozinhas, não eram suficientes para oferecer a melhora que ele precisava. A verdadeira mudança na saúde, na qualidade de vida e na perspectiva de futuro só aconteceu após o início do tratamento com o Trikafta.	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:
Pessoa com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O trikafta mudou a vida dos pacientes que tratam no meu centro. Muitos viviam internados, com função pulmonar próximo ao limite, além de muitas demandas com a doença. Os que são elegíveis, quando passaram a tomar, mudaram de vida. Conheço pessoas que não tem mais infecções, não tosse mais, saiam do oxigênio, podem trabalhar, gestar, podem ter uma nova vida com a medicação e assim também podem contribuir para o estado, uma vez que saem da posição de doentes e de não poderem trabalhar. Precisamos salvar vidas s2.,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Só as atuais que o SUS fornece. O medicamento TRIKAFTA ainda não tive acesso., Positivo: "As outras medicações me auxiliam a sobrevida, mas não bloqueiam os sintomas da doença, principalmente a parte pulmonar que é mais grave, como o TRIKAFTA faz. Ele torna a pessoa praticamente ""normal""."., Negativo: Todas as medicações são importantes , mas não bloqueiam ou param a progressão da doença como o Trikafta.	4ª - " Canan et al. (2026, p.5), diz em seu estudo ""Em suma, esta série de casos fornece evidências de vida real que embasam o uso da ETI em pessoas com FC portadoras de mutações não-F508del, demonstrando melhorias na função pulmonar, no IMC, na concentração de cloreto no suor e nos sintomas respiratórios em nível individual. Nossa coorte incluiu 11 variantes aprovadas pela FDA e quatro variantes não aprovadas pela FDA (R334W, A561E, R1066C e 875+1G>A), com respostas clínicas observadas após 12 a 16 semanas de tratamento""., Legenda: *ETI = Terapia Tripla Ivacaftor, Tezacaftor e Elexacaftor=	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:
Pessoa com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Na minha opinião, o Trikafta deveria ser incorporado ao SUS por ser um tratamento essencial para as pessoas com fibrose cística. Não se trata apenas de um medicamento que ameniza sintomas, mas de uma terapia que atua na causa da doença para muitos pacientes, proporcionando melhorias significativas na saúde e na qualidade de vida., , No meu caso, o uso do Trikafta trouxe mudanças muito importantes. Tive melhora da minha função pulmonar, o que impactou diretamente meu dia a dia. Passei a realizar minhas atividades com mais disposição, sem o cansaço e as limitações que antes faziam parte da minha rotina. Atividades simples, que muitas vezes exigiam grande esforço, tornaram-se mais fáceis de executar., , Além disso, percebi uma melhora geral do meu quadro clínico. Senti mais energia, mais autonomia e uma capacidade maior de participar das atividades pessoais, sociais e profissionais. Essas mudanças não representam apenas ganhos físicos, mas também emocionais, pois viver com menos limitações proporciona mais segurança, independência e esperança em relação ao futuro., , Por isso, acredito que a incorporação do Trikafta ao SUS é uma questão de equidade e de garantia do direito à saúde. Muitas pessoas com fibrose cística não têm condições de arcar com o alto custo desse tratamento e dependem do sistema público para ter acesso a uma terapia que pode transformar suas vidas. Disponibilizar o Trikafta no SUS significa oferecer a esses pacientes a oportunidade de viver melhor, com mais saúde, dignidade e perspectivas de um futuro mais promissor.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: melhora da minha função pulmonar, o que impactou diretamente meu dia a dia. Passei a realizar minhas atividades com mais disposição, sem o cansaço e as limitações que antes faziam parte da minha rotina. Atividades simples, que muitas vezes exigiam grande esforço, tornaram-se mais fáceis de executar., , Além disso, percebi uma melhora geral do meu quadro clínico. Senti mais energia, mais autonomia e uma capacidade maior de participar das atividades pessoais, sociais e profissionais., Negativo e dificuldades: não percebo nenhum aspecto negativo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação da medicação Elexacaftor/Texacaftor/Ivacaftor será fundamental para o controle dos sintomas da fibrose cística, diminuição de internações, com melhora da qualidade de vida e aumento da sobrevida dos pacientes portadores da doença.	2ª - Sim, Qual: Tive oportunidade de acompanhar três casos de crianças entre 2 e 6 anos de idade, com pelo menos uma variante F508del, que tiveram oportunidade de fazer uso da medicação Elexacaftor/Texacaftor/Ivacaftor, com excelentes resultados. O primeiro caso trata-se um um menino de atualmente com 5 anos de idade, que apresentava na fibronasolaringoscopia, em março de 2024, degeneração polipoide de conchas medias bilateralmente, ocupando andar médio das fossas nasais, não tendo sido foi possível progredir endoscopio posteriormente, até o cavum, em razão de polipose bilateral grau III. O paciente estava muito sintomático, com sinusite crônica, resistente ao tratamento com antibióticos sistêmicos e péssima qualidade de vida. Após o início da medicação, em outubro de2024, o paciente reverteu as lesões de pópilos nasais e teve melhora completa da sinusite crônica. Os outros dois casos são de irmãos gêmeos, com 5 anos atualmente, e que apresentavam tosse produtiva, emetizante diariamente, sem ganho de peso, que iniciaram o ETI em Fevereiro de 2025, e apresentaram melhora completa dos sintomas respiratórios, dos vômitos e tiveram ganho de peso nunca antes experimentado, alcançando estabilidade clínica e melhora da qualidade de vida., Positivo e facilidades: O principal aspecto nos casos que presenciei foram que as alternativas de tratamento disponíveis não conseguiram mudar a evolução da doença, que somente foi alcançada com a introdução da medicação Elexacaftor/Texacaftor/Ivacaftor., Negativo e dificuldades: Não percebi nenhum aspecto negativo. Os pacientes não tiveram nenhum efeito adverso à medicação.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tecnologia comprovada para melhorar aa condição de vida dessas crianças.	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:
Pessoa com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou a favor que o medicamento seja incorporado ao SUS, eu nasci com a fibrose cistica, favonuso do remédio por demanda judicial, mas graças a ele vii meus índices de função pulmonar sair de 26% subirem pra 38% , Entrei na lista de transplante pulmonar em 2024, e no mesmo ano dei início ao trikafta, , Hoje 2 anos após o uso, recebi a maravilhosa notícia que não fazeria mais parte da pré lista., Graças ao uso do trikafta., Se tem mais pessoas que nessecitan e funciona, se for incorporado teremos muitos previlegiados	2ª - Sim, Qual: Faço uso do trikafta, que está sendo um medicamento muito eficaz., , Positivo e facilidades: "De todas as formas, o medicamento me ajudou a chegar nos meus ""100%"". Por que quem sair de 26% de função pulmonar e chega ao patamar de 38 39% ", Negativo e dificuldades: Os pontos negativos que vejo, são que nem todos tem acesso, muitos fazem uso por demanda judicial, alguns conseguem de formar mais fácil, outro nem conseguem e por isso e um ponto negativo, se e tão eficiente, porque nem todos podem acessar?	3ª - Não	4ª - Oque posso dizer é, quando dei início ao trikafta, minha função pulmonar estava abaixo dos 28%, nível alarmante, , Dei início ao processo de transplante e no mesmo ano, ao uso do trikafta, mas até usar e chegar até mim foi um desafio imenso., Entre um transplante e o medicamentonqie chegar primeiro., Dei início ao tratamento com trikafta em 30mdoas, vii meu pesso sair de 50 kg subir para 58 59kg , Boi minha função pulmonar sair de 26% chegar a 38% , Graças ao uso do trikafta..	5ª - Não
Profissional de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, anexo documento com as contribuições	2ª - Sim, Qual: 1) Combinação tripla elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) para as crianças e adolescentes conforme critério indicativo no PCDT, 2) Combinação tripla elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) em uso por crianças e adolescentes com variantes não del F508 com acesso via judicialização., Positivo e facilidades: 1 e 2) Relato de melhora das condições clinicas, melhora da adesão, melhora da percepção sobre a própria qualidade de vida e a redução da sobrecarga com o tratamento., Negativo e dificuldades: Considerada as característica da minha atuação profissional não foi possível observar aspectos negativos.	3ª - Sim, Qual: 1)Medicamentos previstos no PCDT indicados para o tratamento dos sintomas, Positivo: Melhora substancial das manifestações sintomáticas quando em adesão adequada ao tratamento proposto, Negativo: Sobrecarga do tratamento, dificuldades de adesão, exacerbações frequentes por vezes com necessidade de hospitalizações prolongadas o que conduz a interrupções de atividades de vida diária.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com a minha experiência de já está tomando a medicação, tem um resultado excelente uma qualidade de vida melhor, é algo que deveria ter para todos com a doença.	2ª - Sim, Qual: A minha experiência não tenho tosse, secreção, função pulmonar melhorou, ganhei peso,alimento melhor e consigo praticar exercícios físicos., Positivo e facilidades: Uma qualidade de vida muito melhor, principalmente que secreção não tem e o cansaço não existe., , Negativo e dificuldades: Não tive pontos negativos só tive bons resultados	3ª - Não	4ª - É uma medicação que começa a transformar uma qualidade de vida muito rápido,a cada dia só melhora.	5ª - Como essa medicação que salvou pessoas com Fibrose Cística baseado na mutação F508 , deveria descobrir mais jeito de descobrir uma forma salva vidas daqueles que não tem a medição que seja legível com essa mutação.
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante para a vida do paciente, trazendo a chance de melhora ou cura, ou seja, extrema importância.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda tecnologia que melhore a qualidade de vida de uma pessoa deve ser oferecida pelo SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Gestores do SUS **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Existem evidências clínicas de que o medicamento em questão melhora a função pulmonar dos pacientes que têm mutações diferentes da F508del.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que deve ser incorporado ao SUS porque ele nao é apenas um remédio, mas vai transformar uma doença progressiva e grave em uma condição cronica totalmente controlável. Negar p acesso ao tratamento na rede pública significa limitar o futuro dessas crianças e jovens.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Voto a favor da incorporação porque o tratamento tradicional da fibrose cística foca apenas em remediar os estragos da doença, deixando os pacientes vulneráveis a infecções gravíssimas. Sei de casos de pacientes que passam meses tomando antibióticos pesados para combater pneumonias por bactérias multirresistentes, o que causa um desgaste físico e emocional devastador. O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor trata a raiz do problema, impedindo o acúmulo desse muco espesso no pulmão. O SUS precisa fornecer essa tecnologia para evitar o sofrimento crônico dessas famílias.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **29/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou marido de uma portadora de fibrose cística com variantes raras e até o momento minha esposa não teve a oportunidade de ter acesso ao trikafta, contudo isso se iguala a falta de oportunidade de melhora de vida, não existe motivos cabíveis para não disponibilizar um medicamento que fará total diferença na vida de uma pessoa apenas pelo motivo de não estar na bula, visto que já foi comprovado a eficácia para além da mutação deltaF508. Todas as pessoas portadoras dessa doença necessitam e merecem ter qualidade de vida e me atrevo a dizer ter apenas vida, pois não se sabe por quanto tempo a doença levará para tirar a vida dos pacientes que lutam todos os dias para se manterem vivos. É inaceitável que a disponibilização do trikafta não seja ampliada para outras mutações.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O elexacaftor(trinkfta) e um novo medicamento que está mudando a vida de muitas pessoas e a minha principalmente, eu tenho certeza que esse medicamento pode ajudar muito mais sendo incorporado no SUS pois muitos ainda não teve a oportunidade de fazer o seu uso. Eu a um tempo atrás não tinha muita esperança com minha vida ,andava muito doente e sem esperança , com os piores resultados em exames , sempre tentando com todas alternativa que tinha e nunca tive boa resposta. mais um dia apareceu uma oportunidade de eu esta usando o trinkfta através de de compra do medicamento com ajudas de vaquinhas que eu faço na minha cidade, e mudou minha vida completamente realmente não pareço que eu nao tenho nada hoje em dia. Minha mutaçao e a Q1100 e uma mutação muito rara e não esta incorporada no SUS e isso e uma tristeza por que tem mais pessoa que tem a mesma mutação e não tem a condição de esta fazendo o uso e tendo a oportunidade de mudar de vida tambem igualmente a muitos que ja mudou. O trinkfta não e so um medicamento e uma esperança para todos e eu sei que esse medicamento vai trazer muito sorriso para muita familia ainda.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor (trinkfta), Positivo e facilidades: A experiência foi maravilhosa, onde tive um aumento pulmonar incrível de 37% para 77% e com possibilidade de aumentar cada vez mais, meu peso que era 57kg hoje estou com 73kg, minha internação diminuiu completamente onde depois do medicamento não tive mais necessidade de interna tendo um controle sobre minha doença. coisas que eu não aguentava fazer antes e hoje em dia faço sem nem perceber que eu estou fazendo, jogar bola que era um sonho hoje em dia posso realizar com sorriso no rosto sem me preocupar ser eu vou passar mal. E incrível essa experiência unica. E acredito que ao passar dos anos isso vai ficar normal pra mim., Negativo e dificuldades: Nenhuma , o elexacaftor (trinkfta) so tem aspecto positivo muda completamente a vida da pessoa de 1 dia pro outro.	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:
Pessoa com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento é imprescindível para o tratamento da doença e traz uma melhora de qualidade de vida que é inquestionável e comprovada por todos pacientes que podem utilizar. Pessoas que possuem até 50, 60% da função pulmonar quase a recuperam em sua inteireza. O medicamento ajuda na prevenção de condições provenientes da doença como infecções que podem resultar em hospitalizações longas, por experiência própria, de pelo menos 14 dias. É o medicamento mais importante para um paciente da doença permitindo que o mesmo tenha oportunidade de viver uma vida longa e de qualidade.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Todos os demais medicamentos providos pelo SUS para a doença, por ser paciente da mesma., Positivo: "Os medicamentos e o tratamento são absolutamente necessários para manter uma qualidade de vida aceitável, sem os mesmos, a função pulmonar de um paciente, que já é severamente reduzida sem apoio do TRIKAFTA, apenas ficaria pior. Observo melhoras como pausa na perda de massa corporal, melhoras do fluxo digestivo, possibilidade de excreção da secreção infeccionada o que reduz risco de demais infecções, melhora na função pulmonar permitindo que o paciente realize atividades físicas que colaboram no tratamento da doença. No geral, para um paciente dessa doença, é impensável manter um padrão de vida próximo do ""normal"" sem esses medicamentos.", Negativo: Nenhum.	4ª - Estudos COMPROVAM a efetividade do medicamento para pessoas que não possuem a variante em questão., https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1908639?__cf_chl_f_tk=mLx2h3aHXT.ouKfJuGDTF6U5h24mYL2d4wO8QZjhILc-1782786421-1.0.1.1-wMUyxSpY6ymuuXOfMDkD0CeFF6KT1WE4BNhA2rcRyEU, https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11672886/	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É um medicamento essencial para melhora da saude dos portadores de fibrose, é um medicamento que trata a doença e não as consequencias da mesma. Melhora a qualidade de vida, a condição respiratória, condição fisica, evita internacões que são longas e dolorosas, tanto para o paciente como para a família. Sendo uma doença degenerativa, um medicamento que auxilia na melhora significativa da doença, ele se torna indispensavel para o tratamento. Tosses initerruptas, secreção aumentada, infecções interminaveis, antibioticos sem fim, internações prolongadas, tudo podendo ser controlado com o uso de um medicamento que deveria ser acessivel a todos os portadores de fibrose elegivel ao mesmo.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme, Creon, Tobramicina, Gentamicina, Antibioticos variados, Salinas, Sameterol, Beclosol, Seretide., Positivo: Ajudam na digestão dos alimentos, ajudam no controle das bacterias, ajudam na diluição do muco., Negativo: Nao impedem a progressao da doença, nas infecçoes frequentes, nas internaçoes frequentes, nas cirurgias que poderia ser evitadas, internações por longos períodos, na degeneraçao do quadro respiratório.	4ª - https://www.journalpulmonology.org/en-efficacy-elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor-in-portuguese-adolescents-articulo-S2531043724000412, https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/39151434/, , Já comprovado que funciona em pacientes portadores de fibrose cistica que não são F508del.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque se existe a recomendação medica especializada baseada em estudos que comprovam a eficácia para os pacientes, que tem a sua qualidade de vida melhorada com sua aplicação, acho a incorporação e a liberação absolutamente necessária. Visto que a doença é degenerativa, sem que nenhum dos medicamentos liberados até hoje, serem capazes de impedir o avanço da doença, e a tecnologia acima tem comprovada a sua eficácia, não tem como não ser incorporada para os portadores que não são F508 del, mas são responsivos ao medicamento. Melhorando assim a qualidade de vida do paciente, evitando internações desnecessárias e prolongadas, usos excessivos de antibióticos, inaladores.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Alfa Dornase, Pancreatina, Tobracina, Colistimetato de Sódio, Gentamicina, Antibioticos variados, Omeprazol, Seretide, Beclometasona, , Positivo: Elas amenizam os efeitos da doença, ajudam a eliminar o muco, controlam parcialmente as infecções recorrentes, a disgestão e absorvição de vitaminas. , Negativo: Elas não evitam a progressão da doença, não evitam colonizaçao por bacterias e fungos que são especialmente devastadores, não evitam internações recorrentes e por tempos extremamente prolongados, não evitam que o paciente tenha que passar por inumeras cirurgias, como por exemplo nos seios da face decorrentes da sinusite cronica. Não evitam a tosse initerrupta e cronica que levam ao agravamento dos sintomas pulmonares. Não evitam o uso excessivo de antibioticos que provocam outros efeitos nocivos ao paciente, comprometendo outros orgãos que já estão sobrecarregados.	4ª - Este estudos comprovam a eficacia da medicação para os pacientes portadores de fibrose cistica que não são F508 del, mas são responsivos a medicação., https://www.journalpulmonology.org/en-efficacy-elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor-in-portuguese-adolescents-articulo-S2531043724000412, https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/39151434/	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com ctz vai melhorar a qualidade de vida e poder atingir muito mais pessoas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento indispensável para os portadores da doença	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:
Pessoa com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou portadora de fibrose cística, tenho 51 anos e duas mutações raras (2789+5G>A / R1162X). Ao longo da vida, convivi com uma doença grave, progressiva e limitante, que afeta não apenas a saúde física, mas também a rotina, a autonomia, os planos e a esperança de quem vive com essa condição., No meu caso, assim como acontece com muitos pacientes, a fibrose cística trouxe infecções pulmonares recorrentes, internações frequentes, tratamentos exaustivos, perda progressiva da função respiratória e redução da qualidade de vida. O dia a dia exige horas de fisioterapia respiratória, nebulizações, medicamentos, consultas, exames e cuidados constantes para reduzir o risco de infecções. Atividades simples para a maioria das pessoas podem representar grande esforço físico para nós., Além das limitações físicas, existe também um impacto emocional muito grande. Precisamos evitar aglomerações e ambientes de risco, o que aumenta o isolamento social. Cada infecção pulmonar pode deixar sequelas irreversíveis. Essa luta não é vivida apenas pelo paciente, mas também pelos familiares, que acompanham internações, preocupações, medos e o esforço diário para que possamos continuar vivos., Por isso, considero fundamental a incorporação do Trikafta ao SUS. Quando falamos desse medicamento, não estamos tratando apenas de custos ou números, mas de vidas que podem ser transformadas. O acesso ao tratamento adequado significa a possibilidade de reduzir sofrimento, melhorar a saúde, preservar a função pulmonar e permitir que crianças, jovens e adultos tenham uma vida com mais autonomia e dignidade., Negar o acesso ao Trikafta significa retirar de muitos pacientes a chance de viver melhor e por mais tempo. Por trás de cada pessoa com fibrose cística existe uma história, uma família, sonhos e projetos que dependem dessa oportunidade. Garantir esse tratamento é reconhecer, na prática, o direito à vida, à saúde e à dignidade., A Constituição Federal afirma que a saúde é direito de todos.	2ª - Sim, Qual: Tive experiência com o Trikafta dosagem adulta. Iniciei o uso do Trikafta em 2024, como última tentativa antes do transplante pulmonar. Eu já estava na lista de transplante desde 2022 e, mesmo fazendo o tratamento convencional com outros medicamentos ofertados no SUS de forma rigorosa, meu quadro continuava se agravando., A partir do uso experiência, pude perceber diretamente o impacto do Trikafta na minha condição clínica, especialmente na melhora da força respiratória, na redução de infecções e na diminuição das internações. O medicamento foi fundamental para que eu conseguisse resistir até a chegada dos pulmões e enfrentar o transplante pulmonar bilateral., Positivo e facilidades: O Trikafta representa um marco histórico na minha vida. Antes de iniciar o Trikafta, mesmo aderindo com disciplina ao tratamento convencional com os outros medicamentos ofertados no SUS eu estava em uma fase muito grave da fibrose cística. Já estava na lista de transplante pulmonar e, em 2024, sentia meu corpo definhando. Eu sabia que meu tempo estava acabando. Eu morria aos poucos a cada dia., Com o início do Trikafta as coisas mudaram, percebi melhora significativa da capacidade pulmonar, redução das infecções e diminuição das internações. O Trikafta deu mais força aos meus pulmões e me permitiu acreditar que conseguiria resistir até a chegada dos órgãos para o transplante. E RESISTI!, No meu caso, o Trikafta foi crucial para que eu suportasse todo o processo até a cirurgia de transplante pulmonar bilateral que é um procedimento bastante agressivo. Hoje, após o transplante, retornei ao trabalho e realizo minhas atividades, com os cuidados necessários para me manter bem., Os aspectos positivos vão além da melhora clínica. O Trikafta representa esperança, dignidade, autonomia e a possibilidade de viver por mais tempo e com mais qualidade. Para muitos pacientes, significa menos sofrimento, menos internações, preservação da saúde e a chance de construir um futuro que antes parecia impossível., Negativo e dificuldades: Na minha experiência, não percebi aspectos negativos relacionados ao efeito do Trikafta. Pelo contrário, o medicamento trouxe benefícios importantes e foi decisivo para que eu tivesse condições de resistir até o transplante pulmonar., O principal aspecto negativo foi a dificuldade de acesso. Só consegui começar o tratamento porque minha família empenhou tempo e recursos financeiros para organizar uma campanha solidária (vaquinha) para comprar as caixas do medicamento. Isso mostra como o acesso desigual coloca vidas em risco., Outro aspecto negativo é que o medicamento chegou tarde para mim. A fibrose cística já havia causado danos graves e irreversíveis aos meus pulmões, e eu já estava na lista de transplante. Embora o Trikafta tenha sido fundamental para me manter viva até	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:
		a chegada do pulmão novo, muita coisa poderia ter sido evitada., Por isso, considero que o maior problema não está na tecnologia em si, mas na demora e na dificuldade de acesso. Cada dia sem um tratamento eficaz pode significar mais infecções, mais internações, mais perda de função pulmonar e mais sofrimento para o paciente e sua família.			
Interessado no tema **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de uma criança com fibrose cística de 2 anos f508del ,embora meu filho nao faça parte do grupo dos raros, participo dessa consulta publica porque conheço de perto a gravidade da doença e sei que o acesso ao trikafta deve ser garantido a todos os pacientes elegíveis na bula. A fibrose cística é uma doença grave e progressiva e multissistemica ela compromete os pulmões, o pâncreas o estado nutricional, a rotina familiar e a qualidade de vida.Quem convive com essa doença sabe que cada mês de espera pode significar infecções, internações,perda da função pulmonar ao longo dos anos e danos muitas vezes irreversíveis., Muitos pacientes com variantes raras estão a ha anos esperando pelo trikafta e durante todo esse tempo a doença não ficou parada, ela continuou avançando,causando mais sintomas ,sem acesso a uma terapia capaz de atuar na causa da doença., Por isso sou favorável a incorporação do trikafta no SUS também para pacientes com 6 anos ou mais que tenham variantes raras responsivas contempladas em bula.Esses pacientes vivem a mesma doença ,enfrentam os mesmos riscos de progressão e não devem ser excluídos do acesso apenas porque pertencem a um grupo menor., A incorporação pelo SUS é uma questão de equidade justiça , pacientes com variantes raras também adoecem ,também perdem função pulmonar e precisam de uma chance real de tratamento,cada novo atraso significa permitir que essas pessoas continuem piorando até que ,para muitas delas ,reste a possibilidade de transplante, procedimento complexo e de alto risco,mesmo já existindo uma indicação reconhecida para o uso da tecnologia	2ª - Sim, Qual: Embora minha experiência direta seja com uma criança f508del de 2 a 5 anos que usa judicialmente com ótimos resultados e nao com pacientes com variantes raras não f508del, acompanho de perto os impactos da fibrose cística neste pacientes ,portanto tenho experiência indireta e compreendo a importância de garantir o acesso do trikafta no SUS a TODOS os pacientes elegíveis em bula da ANVISA , Positivo e facilidades: A partir da minha experiência como mãe e uma criança f508del com fibrose cística que usa trikafta por via judicial, eu ACOMPANHO DE Perto a luta de outros pacientes da comunidade ,percebo aspectos muito positivos relacionados ao uso do trikafta em pacientes com variantes raras., Vejo uma grande diferença entre pacientes que conseguem acessar o trikafta judicialmente e aqueles que ainda seguem sem acesso,Quem usa o medicamento tipicamente tem melhora funcional dos pulmões ou no mínino estabilidade clínica ,menos secreção,meno exacerbaçoes, disposição e melhor qualidade de vida ,já muitos pacientes que ainda aguardam pela liberação continuam enfrentando a progresao da doença ,crises , infecções recorrentes,piora da função pulmonar e uma rotina muito pesada e tratamentos apenas para tentar mitigar os sintomas .Por isso considero que o principal aspecto positivo do trikafta oferecer aos pacientes elegíveis uma possibilidade real de modificar o curso da doença,para pacientes com variantes raras responsivas ,o acesso pelo SUS representa qualidade de vida , realizações d coisas que eram praticamente impossíveis especialmente para os mais velhos,como estudar , trabalhar, viajar, namorar,casar, ter filhos e VIVER, Negativo e dificuldades: A partir da minha experiência como interessada no tema e membro da comunidade ,além de mãe de uma criança f508del de 2 anos que utiliza o trikafta por via judicial,não percebi aspectos negativo relevantes relacionados ao uso do medicamento,pelo contrário os benefícios observados reforçam a importância de garantir o acesso a todos os pacientes elegíveis., O que considero negativo é o fato de o acesso ainda depender de ação judicial,enquanto muitos pacientes seguem sem tratamento pelo SUS,isso gera desigualdade, insegurança para famílias e sofrimento para quem precisa do medicamento e não consegue obtê-lo.	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:
Pessoa com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As melhoras clínicas observadas com o uso do elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor foram a diminuição de infecções e internações em UTI o aumento de quantidade de oxigênio com base na espirometria ,diminuição quase que imediata da quantidade de secreção e a sensação de respirar quase que livremente também, bem como a espessura da mesma pois era muito difícil fazer a higienização brônquica, mesmo fazendo as fisioterapia pulmonar ,a secreção não era retirada com facilidade ,também não precisei mais ir em consultas consecutivas com crises de falta de ar e infecções e nem utilizar ambulâncias e oxigênio para lomocoção melhorando também minha autonomia e meu direito de ir e vir.Quando recebi as primeiras doses estava internada ainda no UTI com saturação de 79 como media após o uso em muito pouco tempo 3 dias a saturação subiu para 94 ,96 sem decair em nenhum momento. Médicos fisioterapeutas que acompanharam esse processo ficaram admirados com a evolução. Com esse novo quadro, houve melhora da qualidade de vida consegui voltar a trabalhar nos dois períodos manhã e tarde, realizar tarefas domésticas ,posso rir e falar normalmente o que antes não era possível ,devido a muitas crises de tosse e falta de ar e cansaço e prostração, até mesmo a pressão que estava desregulada está agora controlada. Não houve nenhum evento adverso durante o uso da medicação, nenhum efeito colateral .Posso agora também me alimentar melhor com bom apetite e com quadro de vitaminas saudáveis. Ja consigo também realizar pequenas atividades físicas. Durante o uso da medicação continuo sendo monitorada pelos médicos que me acompanham em encontros que eram mensais fazendo exames e acompanhamento e agora passando para bimestrais . Desde que comecei uso do trikafta não tive mais nenhuma internação, nem exacerbação , nenhuma outra intercorrência. O Trikafta me deu mais uma chance.	2ª - Sim, Qual: O uso do elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor , , Pontos positivos :As melhoras clínicas observadas com o uso do elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor foram, _ a diminuição de infecções , _não tive mais internações em UTI , -nenhuma internação desde o inicio do medicamento, _o aumento de quantidade de oxigênio com base na espirometria , _,diminuição quase que imediata da quantidade de secreção , _ sensação de respirar quase que livremente , _ a espessura da secreção mais fluida, -facilidade de fazer a higienização brônquica, -diminuição de consultas consecutivas com crises de falta de ar , -diminuição infecções, -não utilizar ambulâncias e oxigênio para lomocoção, _ autonomia e meu direito de ir e vir , _ saturação subiu de 79 para 94 ,96 sem decair em nenhum momento., - voltar a trabalhar nos dois períodos manhã e tarde, - realizar tarefas domésticas ,posso rir e falar normalmente , -zero crise de tosse, -sono tranquilo sem crise e sem tosse , - falta de ar e cansaço quase zero, -nenhuma prostração, - pressão que estava desregulada está agora controlada, -diminuição de uso de antibióticos , -nenhum efeito colateral , -melhora da alimentação, -realizar pequenas atividades físicas., - Desde que comecei uso do trikafta não tive mais nenhuma internação, nem exacerbação , , Positivo e facilidades: Pontos positivos :As melhoras clínicas observadas com o uso do elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor foram, _ a diminuição de infecções , _não tive mais internações em UTI , -nenhuma internação desde o inicio do medicamento, _o aumento de quantidade de oxigênio com base na espirometria , _,diminuição quase que imediata da quantidade de secreção , _ sensação de respirar quase que livremente , _ a espessura da secreção mais fluida, -facilidade de fazer a higienização brônquica, -diminuição de consultas consecutivas com crises de falta de ar , -diminuição infecções, -não utilizar ambulâncias e oxigênio para lomocoção, _ autonomia e meu direito de ir e vir , _ saturação subiu de 79 para 94 ,96 sem decair em nenhum momento., - voltar a trabalhar nos dois períodos manhã e tarde, - realizar tarefas domésticas ,posso rir e falar normalmente , -zero crise de tosse, -sono tranquilo sem crise e sem tosse , - falta de ar e cansaço quase zero, -nenhuma prostração, - pressão que estava desregulada está agora controlada, -diminuição de uso de antibióticos , -nenhum efeito colateral , -melhora da alimentação, -realizar pequenas atividades físicas., - Desde que comecei uso do trikafta não tive mais nenhuma internação, nem exacerbação , , Negativo e dificuldades: Pontos negativos , não há nenhum.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Depois dessa medicação a vida da minha filha com fibrose ciatica mudou muito,hj ela consegue ir pra escola,correr,brincar,não tem internações causadas pela doença, conseguiu pegar peso corporal,sua saude melhorou muito devido a medicação.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Elexacaftor,tezacaftor,ivacafitor,, , Positivo e facilidades: Melhora da saude da criança e assim uma melhora no convívio familiar., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como mãe e cuidadora de portador de Fibrose Cística, com mutação diferente da F508, acho de suma importância a incorporação pelo SUS, do medicamento TRIKAFTA em pessoas com outras mutações, dando oportunidade de tratamento igual a todos os portadores de fibrose cística, principalmente aos portadores de mutações diferentes da F508 que ficaram de fora do tratamento fornecido pelo SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tricafta afina os mucos e isso traz mais Oxigenação e fluidez. Atua diretamente na raiz do problema. Mudando totalmente a vida do paciente com fibrose cistica minha filha ia precisar de uma cirurgia para retirar lobo superior do pulmão e hoje ñ precisa mais. Antes ficava internada e fazia exames para ver o pq das crises e tomar antibióticos na veia. Agora já faz tempo que esta bem. Tem uma rotina mais tranquila com menos medicamentos para tomar e inalar. O tricafta mudou a vida da minha filha.	2ª - Sim, Qual: Tricafta., Positivo e facilidades: Com uso do tricafta diminui uso de outros medicamentos, a respiração melhora, diminui o cansaço. Diminuiu os mucos. Diminuiu as tosses. Diminuiu as crises. Tem mais tempo para outras atividades pois a rotina c muitos medicamentos toma tempo. , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Alfadornaze. Tobramicina. Colimicina. Pancreatina. Salbutamol. Alenia. NaCl20% é 9%. Ursacol. Dekas. Nazonex. Budoseida. Cirurgia: polipos e sinosopatia. Procedimento: broncoscopia. Amoxilina c Clavulanato. Ciproflaxacino, sulfametropin. Entre outros., Positivo: Melhora na qualidade de vida., Negativo: São muitos medicamentos, por isso a rotina fica mais apertada para dar conta de fazer todos. Os efeitos dos antibióticos c tempo vai perdendo pois as bactérias ficam resistente. Aí passava a ser internada para fazer medicação na veia no hospital. Estes medicamentos é para dar qualidade de vida atua nos sintomas e não na causa raiz. As vz um mal estar pois muita medicação para fazer principalmente quando estava em crises. Algumas medicação tinha que comprar pois num tinha no SUS. Também corria o risco de fazer cirurgia para retirar parte do pulmão. E se num funcionasse ia ter risco de fazer transplante. Risco de problemas no pâncreas e no fígado.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de Theodoro, portador de Fibrose Cística com genótipo composto F508del/S4X. A variante S4X, é uma mutação rara do gene CFTR — exatamente a população contemplada por esta consulta pública., Embora meu filho ainda não tenha atingido a faixa etária desta avaliação, contribuo como familiar de uma, criança com mutação rara e como alguém que acompanha diretamente as consequências da ausência de, acesso ao tratamento., O argumento central desta consulta é equidade. Pacientes com mutações não-F508del responsivas têm o, mesmo defeito de base — proteína CFTR disfuncional —, a mesma progressão de dano pulmonar,, pancreático e sistêmico, e a mesma resposta demonstrada ao medicamento. A distinção que os exclui é a, raridade da mutação, não a gravidade da doença nem a eficácia do tratamento., Muitos pacientes com mutações raras já utilizam o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor por via judicial no Brasil, e apresentam benefícios documentados iguais ou superiores aos observados em pacientes F508del:, redução de exacerbações, melhora da função pulmonar, ganho de peso, redução de hospitalizações. Esses, dados de vida real são evidência de eficácia que não pode ser ignorada., A recomendação desfavorável para esta população é duplamente injusta: são pacientes que já sofreram a, desvantagem de ter uma mutação rara com menor cobertura científica, e agora enfrentam segunda exclusão, ao não terem o tratamento incorporado. O SUS é fundado no princípio da equidade. Negar tratamento eficaz, a esta população por razões estritamente econômicas viola esse princípio constitucional., Solicito que a Conitec reverta a recomendação e incorpore o medicamento para pacientes com mutações, responsivas não-F508del.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: O tratamento convencional da FC — válido para todas as mutações — é composto por reposição enzimática, pancreática, suplementação de vitaminas lipossolúveis, nebulização com solução hipertônica, fisioterapia, respiratória diária e antibioticoterapia nas exacerbações. Meu filho segue esse protocolo desde o, diagnóstico, e é o mesmo protocolo que pacientes com mutações raras seguem por toda a vida na ausência, de um modulador CFTR., Positivo: Aspectos positivos: o tratamento convencional é essencial e insubstituível. Controla sintomas, previne, desnutrição, reduz exacerbações e prolonga a sobrevida em comparação com décadas anteriores. A, evolução da FC com tratamento de suporte foi significativa., Negativo: Limitação fundamental: nenhum desses tratamentos modifica o defeito genético subjacente. Para pacientes, com mutações raras, essa limitação é ainda mais grave porque, historicamente, não havia nenhuma, alternativa modificadora disponível. Até o surgimento dos moduladores CFTR de nova geração, esses, pacientes dependiam exclusivamente de tratamentos paliativos sem qualquer perspectiva de intervenção na, causa da doença., O contraste entre o tratamento padrão e o modulador CFTR é marcante na experiência de quem já acessou, o medicamento judicialmente: enquanto o tratamento convencional controla sem curar, o, elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor atua na raiz do problema, permitindo que a proteína CFTR funcione de forma, mais eficiente., A experiência com outras tecnologias demonstra claramente que o tratamento sintomático, por mais, completo que seja, não é suficiente. O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor representa, para pacientes com, mutações raras, frequentemente a PRIMEIRA e ÚNICA oportunidade de acesso a um tratamento, modificador da doença.	4ª - O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor tem mecanismo de ação que transcende a mutação F508del. O, componente elexacaftor atua como potencializador e corretor da proteína CFTR, e sua eficácia foi, demonstrada para uma ampla gama de mutações responsivas. A variante S4X, presente no genótipo do, meu filho, é classificada como mutação responsiva ao medicamento., A menor quantidade de dados clínicos diretos para mutações não-F508del reflete um problema de, representatividade estatística — populações raras são, por definição, difíceis de recrutar para estudos, controlados de grande porte — e não ausência de mecanismo de ação ou de benefício clínico. Esse é um, viés metodológico estrutural que a Conitec deve reconhecer ao avaliar essas populações., Dados de vida real de pacientes que acessam o medicamento por decisão judicial no Brasil e de experiências, internacionais documentam benefícios clínicos equivalentes aos observados em pacientes F508del: melhora, do VEF1, redução do número e gravidade de exacerbações, ganho ponderal, melhora de qualidade de vida, e redução de hospitalizações. Esses dados de vida real são especialmente relevantes para mutações raras., A FDA e a EMA aprovaram o medicamento para diversas mutações responsivas não-F508del com base em, estudos de menor porte, evidências in vitro e extrapolação de dados de	5ª - A recomendação desfavorável para pacientes com mutações não-F508del baseou-se no alto custo unitário, e no impacto orçamentário. Argumento que esse julgamento exige revisão por três razões econômicas, fundamentais., Primeiro: a população com mutações não-F508del responsivas no Brasil é numericamente pequena. O, impacto orçamentário TOTAL de incorporar o medicamento para essa população é proporcionalmente muito, menor do que para a população F508del geral. Um custo per capita elevado, quando aplicado a uma coorte, restrita, não representa necessariamente alto impacto macroorçamentário. A análise da Conitec deve, apresentar o custo total para a população brasileira afetada, não apenas o custo por paciente isolado., Segundo: a ausência de incorporação não elimina os custos — os transfere para o sistema judicial. Cada, processo judicial individual de acesso ao medicamento representa custos para a Defensoria Pública da, União, para o sistema judiciário federal, e frequentemente resulta em fornecimento pelo SUS sem controle, de escala ou negociação de preço. A incorporação permitiria compra centralizada, negociação de desconto, por volume

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:
				segurança — reconhecendo que, para populações raras, o padrão de evidência precisa ser adaptado. A ANVISA seguiu caminho semelhante., A Conitec não pode aplicar critério mais restritivo que as próprias agências regulatórias sem fundamentação, clínica adicional., Rejeitar a incorporação para mutações não-F508del responsivas contraria o posicionamento de todas as, principais agências regulatórias do mundo.	e previsibilidade orçamentária — itens que reduzem o custo real para o Estado., Terceiro: para pacientes com mutações raras, o elexacaftor/tezacaftor/iva caftor é frequentemente a única, alternativa modificadora existente. A análise de custo-efetividade de uma tecnologia sem alternativa, comparável não pode seguir o mesmo modelo de tecnologias com substitutos disponíveis. O benefício de, ter qualquer tratamento modificador — versus nenhum — é qualitativamente diferente e não é capturado em, razões de custo-efetividade incrementais tradicionais., Solicito revisão da análise econômica com esses ajustes metodológicos.

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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou Evani Bueno da Silva, avó materna de Theodoro, portador de Fibrose Cística com genótipo composto, F508del/S4X. A variante S4X é uma mutação rara — a população contemplada por esta consulta., Contribuo como familiar de uma criança com mutação rara e como cidadã que acredita no princípio que, fundou o SUS: saúde é direito de todos, sem distinção., O que esta consulta pergunta, no fundo, é se pacientes com mutações raras merecem o mesmo tratamento, que pacientes com mutações mais comuns. A resposta deveria ser óbvia: sim, merecem. Eles têm a mesma, doença. Sofrem as mesmas complicações. Têm a mesma urgência. O que os diferencia é apenas a raridade, da sequência genética — algo sobre o qual não têm nenhum controle., Muitos pacientes com mutações raras já acessam o medicamento por via judicial e apresentam os mesmos, benefícios documentados: melhora respiratória, redução de internações, ganho de peso, melhor qualidade, de vida. Isso comprova que o medicamento funciona para eles. A barreira não é clínica — é apenas, burocrática e econômica., Negar tratamento eficaz a um grupo porque ele é menor e menos estudado não é neutralidade — é exclusão., O SUS foi construído para incluir, não para excluir os mais vulneráveis., Como avó de uma criança com uma mutação rara, peço que a Conitec reverta essa recomendação e garanta, equidade de acesso para todos os pacientes com FC e mutações responsivas.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: O tratamento convencional da Fibrose Cística — enzimas, vitaminas, nebulização, fisioterapia — é o mesmo, para todas as mutações. Minha família segue esse protocolo rigorosamente, e ele é indispensável., Positivo: Aspectos positivos: o tratamento convencional controla sintomas, previne desnutrição e prolonga a, sobrevida. Sem ele, a situação seria muito mais grave. Os avanços das últimas décadas no tratamento de, suporte transformaram o prognóstico da FC., Negativo: Limitação fundamental: para pacientes com mutações raras, o tratamento convencional representa,, historicamente, a única opção disponível. Enquanto alguns pacientes F508del já tinham acesso a, moduladores anteriores (lumacaftor/ivacaftor, tezacaftor/ivacaftor), pacientes com certas mutações raras, ficaram excluídos de todas essas gerações de tratamento. O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor é, para muitos, deles, a primeira e única oportunidade de ter acesso a um tratamento modificador., Isso torna a exclusão desta consulta ainda mais injusta: são pessoas que já esperaram mais, que já ficaram, de fora de tratamentos anteriores, e que agora enfrentam nova barreira de acesso., A experiência de quem já acessa judicialmente mostra resultados reais: melhora da função pulmonar, menos, exacerbações, mais qualidade de vida. Esses dados existem e precisam ser considerados pela Conitec., Peço incorporação para que esses pacientes não precisem de processo judicial para ter o que a ciência já, reconhece como eficaz.	4ª - O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor não é eficaz apenas para portadores de F508del. Seu mecanismo de ação, atua em uma gama ampla de mutações responsivas do gene CFTR — incluindo variantes raras como a S4X, presente no genótipo de Theodoro., A menor quantidade de estudos clínicos formais para mutações raras não significa ausência de eficácia., Significa que populações menores têm mais dificuldade de ser recrutadas para estudos controlados de, grande porte. Esse é um viés estrutural que afeta a pesquisa científica de doenças raras em todo o mundo, e que não pode ser usado contra os próprios pacientes., A FDA e a EMA reconheceram esse problema e aprovaram o medicamento para diversas mutações, responsivas não-F508del com base em estudos de menor porte, evidências in vitro e dados de segurança, extrapolados. A ANVISA seguiu caminho semelhante. As maiores agências regulatórias do mundo avaliaram, a evidência disponível e decidiram que ela é suficiente para aprovação., Os dados de vida real de pacientes que já acessam o medicamento por via judicial confirmam isso:, benefícios equivalentes aos observados em pacientes F508del, documentados por profissionais de saúde., Esses relatos clínicos reais são evidência — especialmente quando os estudos de grande porte, estruturalmente não conseguem ser conduzidos para essa população., A	5ª - A análise econômica da Conitec focou no alto custo por paciente para concluir que a incorporação para, mutações não-F508del é inviável. Apresento três considerações que mostram por que essa conclusão, precisa ser revista., Primeiro: a população afetada é pequena. Pacientes com mutações raras responsivas representam um, grupo numericamente muito menor do que a população F508del. Um custo per capita elevado,, multiplicado por poucos pacientes, resulta em impacto orçamentário total modesto — muito menor do que a, análise por paciente individual sugere. A Conitec deve apresentar o custo total para a população brasileira, afetada, não apenas o custo unitário., Segundo: não incorporar não elimina o custo — transfere e multiplica. A não incorporação obriga as famílias, à via judicial, com todos os custos que isso implica: Defensoria Pública, sistema judiciário, peritagens, médicas, e finalmente fornecimento judicial individual sem poder de negociação de preço. A incorporação, permitiria compra centralizada com desconto por volume e previsibilidade orçamentária., Terceiro: o custo do tratamento das complicações futuras não foi considerado. Para pacientes com mutações,

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:
				Conitec não pode aplicar critério mais restritivo que as agências regulatórias sem fundamentação clínica, adicional que justifique essa posição.	raras que não tiveram acesso a nenhum modulador nas gerações anteriores, o dano acumulado é ainda, maior. O custo de intervenções futuras — hospitalizações, transplantes, cuidados paliativos prolongados —, supera em muito o custo do medicamento. Prevenir esses desfechos é economicamente vantajoso ao longo, da vida do paciente., Solicito revisão da análise econômica com horizonte temporal adequado para doenças crônicas, progressivas.
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A favor de incorporar no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Necessário para os que precisam	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos deve ter direito ao tratamento	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 **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Apesar da alegação da CONITEC quanto ao custo do tratamento, conforme informado no Relatório para Sociedade (CONITEC nº 723, de 05-2026), creio ser um fator por demais importante para os portadores da fibrose cística ganhar tempo de vida, eis que assim como surgiram esses medicamentos objeto desta consulta pública, novas tecnologias eficazes e de custo menor poderão surgir.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu irmao precisa muito desse tratamento por favor nos ajude	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Desejo contribuir com o relato da minha experiência como parente de uma criança com fibrose cística, mostrando o impacto que a doença tem na rotina e a importância do acesso ao Trikafta pelo SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que esta tecnologia deve ser implementada pelo SUS, devido ao alto custo de mantê-la e também pela importância do uso desse medicamento para pessoas que possuem esta comorbidade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pela vida e o bem estar dos pacientes, a qualidade de vida é bem estar dos pacientes com FC. Conheço pacientes que mudaram suas vidas usando essa medicação e com isso desejo que minha filha faça parte, pois não tenho condições de comprar.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Através das redes sociais acompanhando perfis de portadores da doença, demonstraram maior qualidade de vida aqueles que iniciaram o uso da medicação, se qualidade de vida pode melhorar acreditamos que todos que portam a doença merecem também, em questões em que ja vivem uma vida restrita	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 **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho muito importante e será muito eficaz.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento Trikafta	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu tenho certeza que este medicamento vai fazer muita diferença na vida do meu sobrinho, que convive com esta doença com muito sofrimento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Temos pessoas na família com fibrose cistica, que precisam muito desse medicamento. Temos certeza que se meu sobrinho for beneficiado ele terá uma melhor qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Facilitar para quem precisa	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **30/06/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importante para o tratamento da fibrose cística	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:
Pessoa com a condição de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Trikafta é uma medicação chamada de modulador genético. Ela tem ação direta no gene defeituoso da Fibrose Cística, o CFTR, fazendo com que ele volte a funcionar de forma correta. E isso acarreta diretamente nos sintomas, que praticamente desaparecem, é quase que como uma cura para quem tem Fibrose Cística. Atualmente a expectativa de vida de uma pessoa com Fibrose Cística no Brasil é de aproximadamente 40 anos, e essa idade bem aumento graças a medicações como o Trikafta, eu tenho 34 anos, sou mãe e tenho Fibrose Cística, e hoje eu consigo ter uma perspectiva de futuro melhor, onde eu consigo criar minha filha e vê-la crescer. Eu faço parte das pessoas com mutações raras e faço uso do Trikafta e estou aqui, dando a minha opniao de que sim, o Trikafta deve ser incorporado ao SUS por toda a diferença que está fazendo na minha vida e que vai fazer na vida das outras pessoas como eu!	2ª - Sim, Qual: Possuo duas mutações raras, sendo uma delas a P205S, e estou em uso do Trikafta há um ano. Antes do Trikafta, eu convivia diariamente com tosse crônica, eliminando grande quantidade de secreção espessa, amarelada e com odor desagradável. Me cansava com muita facilidade — nunca consegui correr mais de 100 metros — e atividades simples, como subir escadas no trabalho, eram extremamente difíceis. Em alguns momentos, a tosse era tão intensa que chegava a causar hemoptise e dor abdominal., Após me tornar mãe, essas limitações passaram a pesar ainda mais. O cansaço e a falta de ar me impediam de cuidar da minha filha da forma que eu gostaria, o que me trazia tristeza e angústia. Além disso, a ausência de perspectiva de futuro me abalava profundamente — muitas vezes me peguei chorando ao imaginar como seria minha vida ao lado dela., O Trikafta mudou a minha vida Hoje eu tenho qualidade de vida — algo que antes parecia distante. Passei a ter não só mais saúde, mas também esperança e perspectiva de futuro ao lado da minha filha. Hoje eu consigo cuidar dela, brincar, correr atrás e participar ativamente da sua vida. Mais do que isso, eu vivo com mais tranquilidade e felicidade, porque finalmente consigo enxergar um futuro., Tudo isso só foi possível por causa do Trikafta. Por isso, peço que outras pessoas também tenham a oportunidade de viver essa transformação., Positivo e facilidades: Quando iniciei o Trikafta, minha vida mudou., A tosse desapareceu, assim como a produção de secreção. Hoje, consigo praticar atividades físicas mais intensas, incluindo corrida, algo que eu nunca imaginei ser possível. Minha função pulmonar melhorou, com aumento do VEF1 de 46% para 54%. Exames de imagem mostram redução importante das alterações inflamatórias e infecciosas. Em um ano de uso, não tive nenhuma infecção respiratória. E hoje não tenho mais colonização de bactérias em meus pulmões. Minha rotina também se transformou: reduzi significativamente os tratamentos diários, não faço mais uso de azitromicina e, possivelmente, em breve também deixarei a nebulização com a alfadornase, que antes era indispensável., Negativo e dificuldades: Não tive nenhum aspecto negativo. Não tive nenhum efeito colateral. Realmente só pontos muito positivos.	3ª - Sim, Qual: Fazia uso de azitromicina e alfadornase. Ambas medicações são fornecidas pelo SUS, mas são paleativos para a Fibrose Cística e tem o papel apenas de melhorar os sintomas, mas não são moduladores genéticos!!!, Minha rotina era pesada: duas nebulizações diárias associadas à fisioterapia respiratória, uso de azitromicina três vezes por semana, lavagens nasais duas vezes ao dia devido à sinusite crônica, além de infecções respiratórias frequentes, de três a quatro vezes ao ano, com necessidade de antibióticos., Positivo: Até antes do uso do Trikafta, eram as únicas medicações que podiam melhorar um pouco meu quadro de sintomas, e sou grata a elas pois ajudavam um pouco sim. Mas depois que iniciei o Trikafta eu pude ver o quão essas medicações são apenas paliativas, e somente o Trikafta pode de fato ajudar e melhorar nossa qualidade de vida, diminuir/eliminar sintomas, diminuir infecções respiratórias e consequentemente internações e uso de antibióticos! Com o Trikafta estou deixando de usar a azitromicina e a alfadornase, sendo também um custo a menos ao SUS., Negativo: Infelizmente a azitromicina e a alfadornase não são modulares genéticos e não tem o poder de mudar as nossas vidas como o Trikafta tem!	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A fibrose cística afeta a vida da minha filha. São inalações e fisioterapias diariamente, tosses crônicas com exacerbação, precisando utilizar antibiótico com frequência, internações para tratar infecções respiratórias e pneumonias., O trikafta não é apenas um remédio, é uma mudança na causa base da doença. Atualmente as medicações que minha filha usa, apenas “tratam os sintomas (como os antibióticos que tratam as infecções respiratórias já existente)”. O tratamento não age na causa raiz do “defeito” da proteína CFTR. , O uso do Trikafta para minha filha de 4 anos, significa a possibilidade de evitar que danos pulmonares irreversíveis ocorram antes mesmo de começarem. , Com o acesso ao Trikafta, tenho certeza que minha filha vai poder brincar e correr sem o cansaço excessivo, frequentar a escola com mais segurança e, principalmente, ter uma expectativa de vida longa e com menos internações hospitalares. , A incorporação do Trikafta para a faixa de 2 a 5 anos é essencial, pois o uso precoce do modulador oferece uma janela de oportunidade única para mudar o curso da doença na vida dela. Não se trata apenas de tratar sintomas, mas de garantir que ela tenha a chance de se desenvolver com saúde, reduzindo a dependência de internações e o sofrimento crônico. Peço que a CONITEC considere a importância de prevenir danos irreversíveis, permitindo que crianças como a minha tenham qualidade de vida desde cedo.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento necessário para sobrevida de paciente e muito caro para a população em 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:
Pessoa com a condição de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do Trikafta para os pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos, com pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR é de extrema importância. Implica diretamente na em uma melhora significativa no quadro de saúde e qualidade de vida dessas pessoas, reduz internações e infecções recorrentes, melhora a função pulmonar, melhora e até elimina quadros de pancreatite crônica. Minha irmã e eu temos FC e estamos usando o medicamento. A Elizângela está saindo de lista de transplante pulmonar bilateral, resultado extraordinário do uso do Trikafta. Para pessoas com FC é uma transformação na vida, é um ANTES e um DEPOIS do tratamento com o medicamento. É quase a cura em muitos casos.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta) , Positivo e facilidades: Após iniciar o tratamento com esse medicamento eu não fiz mais infecções pulmonares, não internei mais (eu internava em média 4x por ano)., Função pulmonar apresentou um aumento de 10% em 15 meses., Redução de falta de ar., Saturação saiu de 93% para 98%., Pancreatite crônica curou em 30 dias de tratamento., Teste do suor teve redução importante de 111mmo/l para 79mmo/l., Ganho de peso: 5kg em 12 meses (isso porque eu controlei a dieta para não ganhar peso demais)., Qualidade de vida excepcionalmente melhor por conta do tratamento., Os benefícios do tratamento com Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta) não incomparáveis a qualquer outro tratamento disponíveis., Negativo e dificuldades: Tive insônia como efeito colateral, mas já está resolvido.	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme (Alfadornase), Tobramicina 300 para nebulização, Colitismetato de sódio 1000, Spiolto (Brometo de Tiotrópio Monoidratado + Cloridrato de Olodaterol), Azitromicina, Polivitamínico ADEKs, Suplemtos alimentares em pó (Sustagem ou similar) e suplementos alimentares líquidos (Nutridrink ou similar), Prednisona, Prednisolona, dentre outras medicações, como antibióticos endovenosa quando fazia as internações. , Positivo: "São medicações em sua maioria de uso contínuo que ajudam a manter o quadro clínico e ""atrasar"" a progressão dos danos causados pela FC, especialmente, nos pulmões.", Negativo: Apesar de muito necessários, esses medicamentos não conseguem reduzir os danos, mas auxiliam muito no controle da evolução da FC.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É uma doença muito ruim a longo prazo que merece atenção desde cedo para dar uma melhor qualidade de vida aos 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:
Profissional de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Atuo na assistência a pacientes com fibrose cística e acompanho a evolução do tratamento da doença ao longo dos últimos anos. A terapêutica convencional, baseada em medidas como fisioterapia respiratória, dornase alfa, solução salina hipertônica, antibióticos inalatórios, reposição de enzimas pancreáticas, suporte nutricional e manejo das complicações, foi responsável por importantes avanços na sobrevida e na qualidade de vida desses pacientes. Entretanto, essas intervenções atuam predominantemente no controle das manifestações clínicas e das repercussões da doença, sem corrigir o defeito molecular subjacente da proteína CFTR. Os moduladores de CFTR representam uma mudança de paradigma terapêutico por atuarem diretamente na fisiopatologia da doença. Dessa forma, considero que a incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para crianças elegíveis é compatível com o conhecimento científico atual e com o princípio da intervenção precoce, oferecendo potencial para modificar a história natural da fibrose cística e reduzir a progressão do dano orgânico irreversível.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI), no acompanhamento clínico de pacientes elegíveis para terapia moduladora de CFTR maiores de 6 anos com F508DEL, disponivel no SUS desde 2024., Positivo e facilidades: Os principais benefícios observados foram melhora clínica global, melhora funcional pulmonar, redução da frequência de exacerbações pulmonares, diminuição da necessidade de internações e de antibioticoterapia intravenosa, melhora do estado nutricional e redução da carga terapêutica relacionada às complicações da doença. Além disso, destaca-se que o mecanismo de ação do ETI atua diretamente sobre a disfunção da proteína CFTR, diferentemente das terapias convencionais, que tratam predominantemente as consequências da doença., Negativo e dificuldades: Os principais aspectos negativos relacionam-se ao elevado custo do tratamento, à necessidade de monitorização laboratorial e clínica durante o acompanhamento e à ocorrência de eventos adversos, geralmente leves e manejáveis, como alterações gastrointestinais, elevação de enzimas hepáticas e exantema em alguns pacientes.	3ª - Sim, Qual: Fisioterapia respiratória, dornase alfa, solução salina hipertônica, antibióticos inalatórios (como tobramicina e colistimetato), antibióticos sistêmicos para tratamento de exacerbações, reposição de enzimas pancreáticas, suplementação de vitaminas lipossolúveis, suporte nutricional, acompanhamento multiprofissional especializado., Positivo: Essas intervenções constituem a base do tratamento da fibrose cística e apresentam eficácia comprovada na redução da viscosidade das secreções, controle das infecções respiratórias crônicas, melhora do estado nutricional, tratamento da insuficiência pancreática exócrina e redução da morbidade associada à doença. O cuidado multidisciplinar proporcionou aumento expressivo da sobrevida nas últimas décadas., Negativo: Embora fundamentais, essas terapias atuam predominantemente no controle das manifestações clínicas e das complicações da fibrose cística, não corrigindo o defeito molecular da proteína CFTR. Como consequência, mesmo com tratamento otimizado, muitos pacientes continuam apresentando progressão da doença pulmonar, desenvolvimento de bronquiectasias, perda funcional pulmonar e outras complicações crônicas, além de elevada carga terapêutica diária.	4ª - Em anexo	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 **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor representa uma mudança de paradigma no tratamento da fibrose cística, por atuar diretamente sobre a disfunção da proteína CFTR, mecanismo fisiopatológico primário da doença. Diferentemente do tratamento convencional, predominantemente voltado ao controle das manifestações respiratórias, digestivas e nutricionais, a terapia moduladora interfere na causa molecular da doença, com potencial para retardar sua progressão e preservar a função orgânica desde fases precoces. Sob a perspectiva assistencial, a incorporação tem potencial para reduzir exacerbações pulmonares, hospitalizações, necessidade de antibioticoterapia intravenosa e utilização de outros recursos terapêuticos, além de favorecer melhor crescimento, estado nutriccional e qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Tenho experiência clínica no acompanhamento de pacientes com fibrose cística em uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI),elegiveis por serem maiores de 6 anos e com 1 mutacao F508del (disponivel no SUS) incluindo monitoramento da resposta clínica, funcional, nutricional e dos eventos adversos relacionados ao tratamento., Positivo e facilidades: Na prática clínica, observa-se melhora consistente da estabilidade clínica, redução da frequência de exacerbações pulmonares, diminuição da necessidade de hospitalizações e de antibioticoterapia intravenosa, além de melhora da função pulmonar, do estado nutricional e da qualidade de vida. Também é perceptível redução da carga terapêutica associada às complicações da doença, permitindo maior participação dos pacientes em atividades escolares, profissionais e sociais. O principal diferencial da terapia é atuar sobre o defeito fisiopatológico primário da fibrose cística, modificando sua história natural., Negativo e dificuldades: Os principais aspectos observados relacionam-se ao monitoramento clínico necessário durante o tratamento, incluindo acompanhamento laboratorial periódico e avaliação de possíveis eventos adversos, como elevação de enzimas hepáticas e interações medicamentosas. Além do custo elevado da medicação.	3ª - Sim, Qual: Tenho ampla experiência com as terapias convencionais utilizadas no manejo da fibrose cística, incluindo alfa dornase, solução salina hipertônica inalatória, antibióticos inalatórios para controle de infecção crônica, reposição de enzimas pancreáticas, suplementação de vitaminas lipossolúveis, suporte nutricional, fisioterapia respiratória e antibioticoterapia sistêmica durante exacerbações., Positivo: Essas terapias são fundamentais para o manejo multidisciplinar da fibrose cística, contribuindo para melhora da depuração mucociliar, controle das infecções respiratórias, otimização do estado nutricional e redução da morbidade. Ao longo das últimas décadas, proporcionaram importante aumento da sobrevida e permanecem essenciais como parte do tratamento integral dos pacientes. O acompanhamento em centro de referencia com equipe multidisciplinar tambem se faz essencial., Negativo: Embora indispensáveis, essas intervenções atuam predominantemente sobre as manifestações clínicas e complicações da doença, sem corrigir a alteração funcional da proteína CFTR. Consequentemente, não impedem completamente a progressão da lesão pulmonar, da insuficiência pancreática e das demais repercussões sistêmicas. Além disso, estão associadas a elevada carga terapêutica diária, frequentemente composta por múltiplas nebulizações, fisioterapia respiratória e uso contínuo de diversos medicamentos, o que pode impactar negativamente a adesão e a qualidade de vida.	4ª - Em anexo	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação é muito cara para ser custeada pelos portadores de fibrose cística, é necessário a intervenção do poder público.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Tenho uma amiga que é portadora da doença, assim como a irmã dela. Elas conseguiram a medicação via processo judicial e apresentaram melhora significativa, aumentando a expectativa de vida, bem como a qualidade de vida de ambas.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Por que o nosso financeiro não acompanha os valores dos medicamentos tricafta.que ajuda melhorar a saúde dos portadores de fibrose cística pra resto da vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Noormalmente as pessoas com fibrose cística não tem recursos para enfrentar o tratamento, que é muito custoso.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Quem precisa de tratamento não tem tempo e precisa com urgência,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho muito importante a incorporação desse medicamento pois tenho um filho portador da Fibrose Cistica com a mutação F508del do gene CFTR e veio ter acesso ao medicamento a partir dos 6 anos. E depois do uso a vida do meu filho mudou completamente para Melhor. A saude e qualidade de vida hoje nem se compara como antes de iniciar esse tratamento. Já sofremos tanto! E o pq de conseguirem fazer um medicamento tão revolucionário como esse e não tornar acessível a quem necessita. Só quem realmente convive com essa doença sabe o sofrimento e luta q vivemos todos os dias. Que Deus abençoe e q aprove logo para que todos tenham acesso a esse medicamento tão importante p o tratamento e melhora dos pacientes acometidos com essa Fibrose Cística.	2ª - Sim, Qual: O trikafita , Positivo e facilidades: A qualidade de vida mudou muito para melhor. , Temos mais contatos sociais. Meu filho nao tem mais gripes de repetições em períodos curtos. Não se sente mais canasdo. O suor dele não é mais tão salgado. Antes ele reclamava muito da coceira no corpo, a pele ficava bastante irritada. O primeiro teste de cloro no suor que fez quando foi diagnosticado com a fibrose o resultado foi de 81mmol/L e depois do trikafita baixou para 39 mmol/L . Foi inacreditável e incrível. Vcs não imaginam o quanto estamos felizes. Que todas as pessoas Portadoras dessa doença consigam usar esse medicamento. , Negativo e dificuldades: Não teve nada negativo. Só positivo Graças a Deus , Meu filho só teve melhoras e qualidade de vida.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O trikafta é um medicamento que melhora o organismo da pessoa com a condição de fibrose cistica como um todo. É um medicamento que age direto na mutação do gene CFTR.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: menos internação, mais folego, melhora o organismo ao todo., Negativo e dificuldades: nenhuma	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento - Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor vai melhorar muito a qualidade de vida dos portadores de fibrose Cística e vai diminuir muito o número de internações. É um medicamento que tem tido bons resultados em outros países que já fazem o uso para essas outras mutações. Isso vai fazer com que esses pacientes possam ter uma vida ativa, saudável e normal.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho uma filha com fibrose cística com 28 anos e a cerca de 5 anos atras ela estava péssima , vivendo quase o tempo todo em hospitais tomando antibiótico., A cerca de 5 anos passou a tomar trikafta e seu estado de saúde ficou ótimo., Atualmente ela esta trabalhando e muito feliz., Trikafta salvou a vida dela.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu gostaria muito que essa medicação fosse possível pelo SUS porque meu primo sofre muito com a doença não tem qualidade de vida e queríamos ver ele com melhor qualidade para viver.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Olá, Descobri a FC aos 11anos no mês do meu aniversário, até então tratada como bronquite., Após iniciar o acompanhamento no IFF com 13 anos e saber que não passaria dos 18, arruinando com qq perspectiva de futuro iniciei o tratamento que consistia em broncodilatador e tapas no torax., Pré adolescência dificil pois as tosses, falta de ar , internações eram constantes. Mas o tratamento foi evoluindo surgindo a dornase, a tobramicina, o colistimetato..., Até que cheguei aos 26 anos fazendo a avaliação para transplante pulmonar. Transplantei cinco anos depois, longa espera de falta de ar constante mesmo com uso de O2, hemoptises, dores, sim, respirar era um sofrimento, a ponto de desejar ficar sem respirar por 10 min para não tossir, e assim descansar. Respirar é um ato involuntário., Resisti e hoje, 16 anos e 10 meses depois, me vejo em risco de perder o pulmão e todo o processo do transplante ser em vão. Órgão que tenho certeza foi me doado com muito amor, devido a sinusopatia crônica que me afeta possibilitando a contaminação do mesmo., Porém o Trikafta surgiu em nossas vidas, consegue imaginar sair do berotec e hoje esse milagre que é o modulador., Com o Trikafta meus seios da face estão mais livres para respirar, não tenho aquele mau cheiro constante, placas de secreção que me faziam engasgar, não tenho o suor extremamente salgado que sentia nojo de mim mesma. Hoje tenho saliva. A ausência da mesma me causou inumeras retrações gengivais. Enfim, o Trikafta está me trazendo uma vida que nem mesmo pós trasnplante me mostrou totalmente., Nos ajudem a viver próximo de uma normalidade e deixo uma pergunta..., E se fosse comigo, com alguém que amo?, Como deixar uma pessoa com fibrose cística sofrer tanto a ponto de fazer um transplante?!, Assim como é na doação de órgãos, digam sim a qualidade de vida, digam sim a vida, digam SIM a incorporação do Trikafta.,	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Seios da face livres de crostas de secreções que ne daziam engasgar, suor mais limpo sem sal extremo e menos denso, tenho saliva, intestino funcionando dentro da normalidade, sem secreção uterina , ... uma nova qualidade de vida! , Negativo e dificuldades: Inicialmente enjoo, mas por pouco tempo.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **01/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhora muito a qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Aumentou minha função pulmonar. As internações por exacerbação acabaram. Aumento de peso. Acabaram as crises de tosse. Enfim melhora a qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Por enquanto nenhum aspecto negativo.	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 **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Possibilidade de qualidade de vida para o paciente/ família	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A INCORPORAÇÃO DO TRIKAFTA AO SUS REPRESENTARÁ UMA EVOLUÇÃO NO TRATAMENTO DA FIBROSE CÍSTICA. POR SER UM MEDICAMENTO QUE TRATA A ORIGEM/CAUSA DA DOENÇA ELE MUDARÁ DEFINITAVENTE A CONDIÇÃO DE SAÚDE DOS PORTADORES DE FC. HOJE OS MEDICAMENTOS DISPONIBILIZADOS PELO SUS ATUAM NAS SEQUELAS DA DOENÇA, TENTANDO PROMOVER UMA MELHOR QUALIDADE DE VIDA PARA OS PACIENTES, MAS NÃO AGE SOBRE A CAUSA . PACIENTES COM FC PERDEM UM LONGO PERIODO DE SEU DIA COM O TRATAMENTO (INALAÇÕES, FISIOTERAPIASE EM ALGUMAS SITUAÇÕES INTERNADOS) E MESMO ASSIM AINDA NÃO CONSEGUEM IMPEDIR QUE AS SEQUELAS DA DOENÇA AVANCEM. EU, COMO MÃE DE UM PACIENTE COM FC, MUITO TRISTE DE SABER QUE HOJE EXISTE UM MEDICAMENTO QUE IRÁ PERMITIR QUE MEU FILHO TENHA UMA VIDA NORMAL, MAS QUE INFELIZMENTE ELE NÃO TEM ACESSO PORQUE O GOVERNO NÃO QUER FAZER SUA INCORPORAÇÃO DEVIDO AO VALOR. QUANTO CUSTA A VIDA DE UM ENTE QUERIDO? VEJO PESSOAS QUE HOJE FAZEM O USO DO TRIKAFTA E QUE SIMPLESMENTE RENASCERAM, TENDO UMA VIDA NORMAL, SEM USO DE TANTOS MEDICAMENTOS E INALAÇÕES AO LONGO DO DIA. O TRIKAFTA POSSIBILITA A ESSES PACIENTES A PERSPECTIVA DE PLANEJAREM SEU FUTURO E TER UMA VIDA SEM INTERNAÇÕES. NÃO PODEMOS NEGAR O ACESSO DESSES PACIENTES AS NOVAS MEDICAÇÕES, PORQUE ESTAREMOS MATANDO OS SONHOS E VONTADE DE VIVER DELES.	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA, Positivo e facilidades: MELHORA SIGNIFICATIVA NA VIDA DAS PESSOAS COM FC, TAIS COMO MELHORA NA FUNÇÃO PULMONAR, MELHORA DA FUNÇÃO PANCREÁTICA, PERMTINDO ASSIM QUE ESSES PACIENTES NÃO PRECISEM MAIS FAZER O USO DE INUMEROS MEDICAMENTOS DURANTE O DIA, ALÉM DE PERMITIR QUE ELES TENHAM UMA VIDA NORMAL, SEM GASTAREM TANTO TEMPO DE SEU DIA COM INALAÇÕES E FISIOTERAPIAS. A MEDICAÇÃO AGE SOBRE A CAUSA DA DOENÇA, CORRIGINDO O DEFEITO GENÉTICO , PERMITINDO DESSA FORMA QUE A DOENÇA NÃO CAUSE DANOS NO ORGANISMO DOS PORTADORES DE FC E CONSEQUENTEMENTE ELES TERÃO UMA VIDA NORMAL. , Negativo e dificuldades: NENHUM	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:
Pessoa com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou portador de FIBROSE CÍSTICA variante R1066C. Tenho grave comprometimento Pulmonar (Função Pulmonar 22%) e também enfrento estado de desnutrição com 50kg e uma estatura de 1,75m. De 2014 pra cá a doença veio se agravando devido ser degenerativa e a partir de 2018 comecei a enfrentar internações frequentes. Quando minha função chegou a 17% já estava me dispondo a entrar na fila do transplante, porém em Abril de 2024 comecei a tomar o Trikafta de forma particular com acompanhamento Pneumologico e nutricional, a partir daí meu quadro clínico mudou drasticamente de forma positiva, cessou a tosse e secreção, não tive mais crises de falta de ar, passei a fazer atividade física (frequentar academia), comecei a ganhar mais autonomia e liberdade conseguindo realizar atividades simples que antes já não fazia mais. Mas devido o auto custo do Trikafta, preciso que seja incorporado ao SUS urgentemente pois minha vida depende dessa medicação. Fico na ansiedade frequente com medo não conseguir mais adquirir esse remédio milagroso em minha vida. Simplesmente não posso ficar sem o Trikafta nenhum dia.	2ª - Sim, Qual: Trikafta (Elezacftor, Tesacaftor e Ivacaftor), Positivo e facilidades: Acabou tosse e secreção (que eram muito intensas), não tenho mais falta de ar, acabaram as internações frequentes, ganhei 7Kg, ganhei condição para frequentar academia, tive melhora na função Pulmonar ee 17% para 22%, diminuição da quantidade de outras medicações que eu tomava antes do Trikafta e ganhei qualidade de vida e esperança na melhora do meu tratamento. , Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, Qual: Só antibióticos, Azitromicina, Amoxilina e Tamiran, também broncodilatadores, Spiriva e Aerolin. Também inalações com Alfadornase e Berotec, para soltar secreção e diminuir falta de ar respectivamente. , Positivo: Doença desacelerou o agravamento porém não resolveu como deveria., Negativo: Rotina muito preenchida em função dos medicamentos e inalações.	4ª - Após o Trikafta mr sinto outra pessoa, ganhei disposição e mais vigor para atividades que antes já não conseguia fazer.	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:
Pessoa com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pertenço ao grupo de 1% de pacientes com FC no BR que ultrapassaram os 50 anos de idade. Esse dado, por si, mostra o tamanho da urgência dessa análise. Concordo totalmente com a ampliação do ETI no SUS para pacientes com variantes raras elegíveis pq essa é uma medida baseada em sólidas evidências científicas e, sobretudo, em um princípio essencial do SUS: a EQUIDADE. Não é razoável q apenas pacientes de 6 anos + com a F508del tenham o acesso garantido pelo SUS, enquanto 400 pessoas com variantes raras, igualmente elegíveis pela bula da ANVISA, continuem sem acesso. Além disto, a ausência desta ampliação tbm tem levado à judicialização. Hj, parcela expressiva desses pacientes JÁ acessa pela via judicial, o que gera um gasto público muito menos eficiente do que uma incorporação planejada e organizada. Ao mesmo tempo, outros pacientes, mesmo apresentando variantes elegíveis e preenchendo os critérios estabelecidos pelo STF, infelizmente tiveram seus pedidos negados e permanecem tbm sem esse acesso. Esses pacientes acabam sofrendo uma dupla injustiça. Primeiro, pq não recebem administrativamente um medicamento que já pode ser acessado para quem tem a variante mais frequente da mesma doença. Depois, pq também não conseguem pela via judicial, ficando privados de uma terapia que transforma vidas. Essa situação aprofunda a desigualdade entre pessoas com a mesma condição clínica e reforça a necessidade de ampliar o acesso baseado na equidade do SUS. Ademais, o ETI modifica o curso da doença que praticamente para de progredir e, na maioria dos casos, promove importantes GANHOS clínicos. A ampliação ao SUS tbm reduz de forma expressiva o n. de internações, infecções respiratórias, exacerbações pulmonares, uso de antibióticos e a necessidade de outros tratamentos, além de diminuir as complicações associadas à FC e os custos decorrentes do seu manejo. Ao impedir a progressão da doença pulmonar, o ETI tbm reduz a necessidade de transplante pulmonar.	2ª - Sim, Qual: Faço tratamento com Trikafta, na dosagem adulta, há 4 anos pela via judicial. Tenho duas variantes raras: G85E, contemplada pela bula da ANVISA (e pelas principais bulas internacionais) e que é uma das 271 variantes que está em avaliação, e tenho também a variante R334W, elegível pelas bulas da FDA e da EMA. Assim que a variante G85E foi incluída em uma das ampliações da bula da FDA, em 21 de dezembro de 2020, ingressei com ação judicial no Brasil e obtive acesso ao medicamento. , Positivo e facilidades: Em 2021, aos 45 anos, eu já estava com um distúrbio ventilatório obstrutivo severo, com uma função pulmonar de 34%. Já não conseguia tomar banho em pé. Pentear meus próprios cabelos era difícil. Escovar os dentes era um momento de desespero pq eu ficava completamente sem fôlego. De 2003 até meados de 2022 passei por 35 internações, cada uma com pelo menos 15 dias. E tinha um sofrimento adicional: a perda das veias por causa dos acessos para os antibióticos. A terapia endovenosa era tão frequente, e as doses tão altas, que além de causar muita dor, as minhas veias periféricas, e até algumas profundas, ficaram inutilizadas. Tive trombose nas duas subclávias, depois na jugular direita. Por isso, precisei colocar um cateter definitivo totalmente implantável. A tristeza e a depressão se intensificaram profundamente. Eu já havia recebido o diagnóstico de depressão em 2011, em decorrência da piora do meu quadro físico, mas aos poucos fui sendo arrastada para uma espiral descendente, não apenas no corpo, mas também emocionalmente. ATÉ QUE TUDO MUDOU. EU RENASCI. Já no primeiro mês do tratamento, eu tive uma redução impressionante da secreção. Antes, eu expectorava cerca de 210 ml por dia de uma secreção espessa, pegajosa, purulenta, fétida e escura, com aspecto de “chiclete verde mastigado”. Depois, passei a expectorar menos de 2 ml por dia, de uma secreção de aspecto praticamente normal: clara, fluida e sem odor. Hoje, passo dias e dias sem absolutamente nenhuma secreção. Deixei de conviver com sintomas que dominavam a minha vida: não tenho mais tosse, nem falta de ar, nem hemorragias pulmonares. Tive um ganho funcional pulmonar de 12 pontos percentuais. Minha função aumentou de 34% para 46%, e o distúrbio ventilatório obstrutivo passou de severo para moderado. O exame do suor caiu de 97,02 para 43 mmol/l. Hoje eu faço atividade física intensa. Faço musculação, exercícios aeróbicos, cuido da minha casa, saio, vivo. Faço coisas que antes pareciam absolutamente impossíveis. , Negativo e dificuldades: Na minha experiência, não percebi aspectos negativos relacionados ao Trikafta. Pelo contrário, só percebi benefícios com o tratamento. Se há um problema não está no medicamento, mas na dificuldade de acesso. Por isso que o principal aspecto negativo não é o Trikafta em si, mas o	3ª - Sim, Qual: Broncodilatadores, alfadornase (Pulmozyme), antibióticos nebulizáveis (como Tobramicina e Colistimetato), antbióticos orais (como ciprofloxacino e levofloxacino), antibióticos endovenosos (como amicacina e ceftazidima), vitaminas, suplementos, azitromicina como agente antiinflamatório, protetores gástricos, medicamentos para enjoos, corticóides, fluidificantes como acetilcisteína. Solução salina nebulizável Implantações repetidas de cateteres P.I.C.C. Implantações de cateteres profundos. Implantação de cateter definitivo Port-a-cath. Apendicectomia. Broncoscopias. Fisioterapias respiratórias diárias. Internações frequentes , Positivo: Todas essas tecnologias tiveram um papel extremamente importante no meu tratamento ao longo da vida. Elas contribuíram para controlar infecções, aliviar sintomas, fluidificar as secreções, melhorar temporariamente a respiração, tratar complicações da fibrose cística e prolongar minha vida. Graças a esses tratamentos e ao acompanhamento da equipe multiprofissional, consegui enfrentar inúmeras exacerbações e superar diversas internações ao longo dos anos. Essas terapias também foram fundamentais em diferentes fases da doença e continuam sendo indispensáveis para pessoas com fibrose cística que ainda não têm acesso ao Trikafta. Além disso, muitos pacientes permanecem dependentes desses tratamentos mesmo após iniciar um modulador de CFTR, especialmente aqueles que já apresentam doença pulmonar extremamente avançada, aguardam um transplante pulmonar ou possuem variantes que infelizmente ainda não respondem a essas terapias.No entanto, minha experiência mostrou que, embora indispensáveis, essas tecnologias atuam principalmente no controle dos sintomas, das manifestações e das complicações da doença. Elas não corrigem o defeito básico da proteína CFTR, responsável pela fibrose cística. Assim, mesmo utilizando todos esses tratamentos de forma adequada durante muitos anos, a doença continuou progredindo, com perda gradual da função pulmonar e surgimento de novas complicações. No meu caso, após o início do tratamento com Trikafta, TODOS esses medicamentos puderam ser suspensos gradualmente, permanecendo apenas o próprio Trikafta como tratamento contínuo da	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:
		fato de ele ainda não ser acessível aos pacientes com variantes raras. Do ponto de vista administrativo percebo a desigualdade uma vez que todos estamos em bula da ANVISA, mas apenas os F508del maiores de 6 anos têm acesso. Depois do ponto de vista judicial, também percebo desigualdade porque enquanto a maioria dos pacientes conseguem obtê-lo judicialmente, outros permanecem também sem esse acesso, mesmo apresentando as mesmíssimas variantes. , , Portanto, os aspectos negativos que percebi não decorrem da tecnologia em si, mas das dificuldades enfrentadas pelos pacientes para acessá-la.	fibrose cística. Essa mudança evidencia a diferença entre terapias voltadas ao controle das consequências da doença e um tratamento que atua diretamente sobre sua causa, permitindo reduzir ou eliminar, quando clinicamente possível, a necessidade de diversas medicações que antes eram indispensáveis., Negativo: Embora todas essas tecnologias tenham sido fundamentais para prolongar minha vida e mitigar as complicações da fibrose cística, elas não impediram a progressão da doença. Mesmo seguindo rigorosamente todo o tratamento prescrito, continuei apresentando infecções respiratórias frequentes, inúmeras internações, hemorragias pulmonares, perda progressiva da função pulmonar e, aos 30 anos, precisei me aposentar por invalidez. , , Outro aspecto negativo foi a enorme carga terapêutica imposta pelo tratamento convencional. Minha rotina era consumida por fisioterapias respiratórias, nebulizações, uso de diversos medicamentos, antibióticos, consultas, exames e internações frequentes. Eram várias horas dedicadas diariamente ao tratamento, o que limitava profundamente minha vida pessoal, familiar, social e profissional. , , Além do tempo e do desgaste físico e emocional, esses tratamentos atuavam principalmente no controle dos sintomas e das complicações da doença. Eles proporcionavam melhora temporária, mas eu continuava me sentindo doente e convivendo diariamente com tosse, secreção, falta de ar, fadiga e com a expectativa de novas infecções e hospitalizações. Apesar de toda a dedicação ao tratamento, a fibrose cística continuava progredindo e comprometendo cada vez mais		
Interessado no tema **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pediatra geral e convivo com colegas pneumologistas que trabalham e acompanham pacientes com Fibrose Cística.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O uso da medicação promove a melhora da função pulmonar, reduz o volume de secreções, diminui o risco de internações e melhora a qualidade de vida dos paciente com fibrose cística.	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 **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A qualidade de vida de crianças com esta condição deve ser garantida pelo SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu sou pai de pessoas com Fibrose Cistica e sei o quanto o tratamento com este medicamento é importante para a saúde dos pacientes portadores da doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação representa uma grande esperança para pessoas com fibrose cística que não apresentam a variante F508del.	2ª - Sim, Qual: Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), Positivo e facilidades: Os pacientes que utilizaram a tecnologia apresentaram resultados positivos, com melhora significativa da função pulmonar, do estado nutricional, evidenciada por importante ganho de peso, e do estado geral de saúde, melhorando assim a qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Não houveram	3ª - Sim, Qual: Com medicamentos como: Antibióticos, Alfa Dornase, Enzimas pancreáticas, suplementos nutricionais. Bem como o modulador Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), Positivo: A principal contribuição das outras tecnologias, como antibióticos, alfa dornase, enzimas pancreáticas e suplementos nutricionais, foi a melhora temporária dos sintomas, proporcionando melhor qualidade de vida durante o período de uso e auxiliando no controle das manifestações da doença. No entanto, seus efeitos são predominantemente sintomáticos e exigem uso contínuo. Em contraste, o Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) proporcionou uma melhora mais eficaz e duradoura, atuando na causa da doença em pacientes com variantes responsivas, com benefícios expressivos na função pulmonar, no estado nutricional, na qualidade de vida e na redução de exacerbações e internações., Negativo: Apesar da melhora inicial dos sintomas e da qualidade de vida, os benefícios observados foram limitados, uma vez que os pacientes continuavam necessitando de internações frequentes e o tratamento não era capaz de interromper a progressão da doença. Ao longo dos anos, foram registrados inúmeros casos de agravamento clínico e óbitos., Em contra partida o Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) proporcionou uma melhora mais eficaz e duradoura, sem aspectos negativos.,	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 **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo diariamente com uma pessoa que tem fibrose cística e acompanho de perto os desafios impostos pela doença. Sei o quanto ela impacta a rotina, principalmente pelas infecções respiratórias frequentes, pelas crises de tosse e pela redução da capacidade pulmonar. Por isso, considero fundamental que esse medicamento seja disponibilizado pelo SUS. Além de contribuir para a melhora da função pulmonar, ele pode reduzir a frequência e a gravidade das infecções, proporcionando mais qualidade de vida, autonomia e esperança para quem convive com essa condição. Garantir o acesso a esse tratamento é oferecer a oportunidade de uma vida mais saudável e digna para as pessoas com fibrose cística e suas famílias.,	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:
Pessoa com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor representa uma verdadeira revolução no tratamento da fibrose cística, uma doença genética grave que compromete os pulmões e o sistema digestivo. Essa terapia tripla inovadora age diretamente na causa raiz da enfermidade, corrigindo o defeito celular. O impacto clínico desse avanço é incontestável, revertendo sintomas graves e evitando internações. Garantir o acesso a essa medicação significa oferecer uma melhor qualidade de vida aos pacientes. Quem convive com a fibrose cística enfrenta uma rotina diária exaustiva de fisioterapia respiratória, inalações e dezenas de remédios. Com o uso do combo Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor, há um ganho expressivo na função pulmonar. Pacientes que antes dependiam de oxigênio ganham a chance de respirar livremente, estudar, trabalhar e planejar o futuro. Trata-se do resgate da dignidade e do bem-estar básico. Embora o remédio esteja disponível na rede pública para a mutação mais comum (F508del), a luta ainda não acabou. É urgente entender que pacientes com outras mutações precisam de acesso ao remédio. A Anvisa já expandiu a bula para cobrir variantes raras, mas a ampliação da cobertura financeira e de fornecimento ainda enfrenta barreiras burocráticas e negativas iniciais de comissões de saúde. Negar essa extensão é excluir uma parcela vulnerável da comunidade que sofre com os mesmos sintomas severos e progressivos da doença. O custo extremamente elevado da medicação impede que as famílias a adquiram por conta própria. Por essa razão, o tratamento integral para todas as variantes responsivas precisa ser incorporado ao SUS de forma definitiva e ampla. Para a grande maioria das famílias brasileiras, o SUS é a única chance desses pacientes terem um futuro viável. A saúde é um direito constitucional e a incorporação total dessa tecnologia pelo Ministério da Saúde representa um investimento humanitário para salvar vidas.	2ª - Sim, Qual: tenho experiencia com o Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor, Positivo e facilidades: foram vários pontos positivos que percebi, , , - diminuição da secreção, - diminuição da tosse, - ganho de peso, - diminuição de infecções, - menos falta de ar, - menos cansaço para atividades em geral, - maior disposição para atividades físicas, - melhora nos resultados de exames como a espirometria, Negativo e dificuldades: nenhum ponto negativo,	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É muito importante que seja atribuída o medicamento a todas as mutações que tem resposta positiva sem a necessidade de intervenção judiciária	2ª - Sim, Qual: O medicamento mostra melhora na saturação e na qualidade de vida do paciente, Positivo e facilidades: Saturação chegando a 90, melhora na secreção pulmonar , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Por ser um medicamento de alto custo e com uma reação muito benéfica aos pacientes, mostrando uma melhor condição de vida deve sim ser disponibilizada no sistema SUS para que todos tenham acesso	2ª - Sim, Qual: Conheço pessoas que já estão tomando esse medicamento e tiveram uma melhora clínica muito grande, Positivo e facilidades: Melhor condição de vida, Negativo e dificuldades: O alto custo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento pode mudar a vida e a realidade das pessoas, é extremamente necessário e eficaz	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Muda a qualidade de vida e também a possibilidade de viver anos mais leves e felizes, com expectativa de vida maior. Muda a realidade da doença e da vida da pessoa, Negativo e dificuldades: Traz muitos benefícios	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento muito importante que da qualidade de vida a quem precisa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eles tem direito a vida e esse medicamento pode ajudar	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Qualidade de vida e aumento na expectativa de vida	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Trikafta para maiores de 6 anos, Positivo: Melhora da função pulmonar, ganho de peso, qualidade de vida, Negativo: Nenhuma	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que o tratamento deve ser incorporado por ser um medicamento que pode trazer muitos benefícios às pessoas que possuem essa doença . , Sei do sofrimento do meu irmão que há anos foi diagnosticado com essa doença .	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 **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que a implementação dessa medicação irá contribuir para o tratamentos de muitos pacientes que não tem condições de adquiri-la, contribuindo para o aumento da qualidade de vida dos pacientes e da expectativa de vida.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor, Positivo e facilidades: Que a qualidade de vida de muitos pacientes melhorou, muitos se alimentam melhor e se tornaram mais ativos, sem contar a redução do número de internações. , Negativo e dificuldades: Não identifiquei nenhum aspecto negativo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de uma pessoa com fibrose cística e é impossível não perceber a transformação na qualidade de vida da minha filha, hoje com 34 anos, após o início do tratamento com Trikafta., , O Trikafta representa vida, esperança e amor. Ele nos permitiu voltar a imaginar um futuro, mesmo diante de uma doença tão desafiadora. Ver minha filha recuperar a disposição, a autonomia e a perspectiva de viver com mais qualidade é algo que emociona profundamente., , A melhora no quadro geral é evidente, com sinais de desaceleração da progressão da doença, inclusive com redução do agravamento do comprometimento pulmonar. Cada pequena conquista tem um significado enorme para nossa família., , Hoje, convivemos com muito mais esperança e confiança. O Trikafta não apenas transformou a saúde da minha filha, mas também devolveu à nossa família a possibilidade de sonhar e planejar o futuro com mais tranquilidade.	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA, Positivo e facilidades: A melhora no quadro geral é evidente, com sinais de desaceleração da progressão da doença, inclusive com redução do agravamento do comprometimento pulmonar. , Negativo e dificuldades: NENHUM	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 **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou médica pneumologista e atuo em um Centro de Referência para atendimento de adultos com fibrose cística. Atualmente temos 150 pacientes em acompanhamento, dos quais 21 são portadores de variantes não-F508del responsivas ao elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI). Treze destes tiveram acesso à medicação e iniciaram tratamento, todos apresentarando benefício clínico evidente. Na prática assistencial, observamos melhora da função pulmonar, redução expressiva dos sintomas e das exacerbações, com diminuição do uso de antibióticos, das internações e, em alguns casos, possibilidade de descalonamento terapêutico (como suspensão de alfa-dornase, azitromicina, salina hipertônica inalatória, suplementos alimentares). Também houve melhora da hipoxemia, permitindo a retirada da oxigenioterapia domiciliar em dois pacientes, além de ganho ponderal, melhora do estado nutricional e da qualidade de vida., Realizamos acompanhamento periódico desses pacientes, com monitorização clínica aliada a exames laboratoriais e complementares, visando monitorar eficácia e também segurança. O perfil de segurança observado tem sido semelhante ao dos pacientes com variante F508del, com eventos adversos leves e transitórios, sem necessidade de suspensão do tratamento em nenhum caso., Por se tratar de um centro de referência, acompanhamos esses pacientes longitudinalmente e conseguimos avaliar de forma consistente sua evolução antes e após o início do ETI. A experiência do nosso serviço demonstra que pacientes com variantes não-F responsivas apresentam benefícios clínicos consistentes e comparáveis aos observados nos pacientes elegíveis pela presença da F508del. Considerando ainda a grande diversidade genética da população brasileira, restringir o acesso com base apenas na presença da F508del acabaria excluindo um grupo significativo de pessoas com fibrose cística que pode se beneficiar de forma semelhante dessa terapia modificadora de doença.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor, Positivo e facilidades: Na prática clínica, os principais aspectos positivos observados com o uso do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor foram a melhora da função pulmonar, redução dos sintomas respiratórios e das exacerbações, menor necessidade de antibióticos e de internações, melhora de hipoxemia com cessação de uso de oxigenioterapia, melhora global com sa´ída de lista de transplante para alguns pacientes, além de melhora do estado nutricional e da qualidade de vida. Também observamos redução da carga terapêutica em muitos pacientes, com possibilidade de suspender ou reduzir alguns medicamentos de uso contínuo. Outro aspecto positivo foi o bom perfil de segurança, com eventos adversos leves e transitórios, sem necessidade de suspensão definitiva do tratamento. De forma geral, trata-se de uma terapia ABSOLUTAMENTE modificadora da doença, capaz de proporcionar benefícios clínicos consistentes e impactar na evolução da doença com redução de morbidade e mortalidade., , Negativo e dificuldades: De modo geral, os aspectos negativos observados foram poucos e relacionados principalmente a eventos adversos leves e transitórios, como manifestações gastrointestinais, cefaleia e elevação discreta de enzimas hepáticas, manejados com acompanhamento clínico e laboratorial, sem necessidade de suspensão definitiva do tratamento em nossa experiência.,	3ª - Sim, Qual: Alfa-dornase, pancreatina, tobramicina inalatória, colistimetato inalatório, solução salina hipertônica inalatória, formoterol inalatório, budesonida inalatória, suplementos vitamínicos, suplementos alimentares, ivacaftor, tezacaftor/ivacaftor, suporte ventilat´ório não invasivo domiciliar, transplante pulmonar., Positivo: Os tratamentos têm benefícios., No entanto, todas elas atuam predominantemente sobre as consequências da doença, e não sobre sua causa. Os moduladores de CFTR, por sua vez, são os únicos tratamentos capazes de corrigir o defeito básico da proteína CFTR em pacientes com variantes responsivas, o que resulta em benefícios clínicos significativamente mais amplos e duradouros. Em nossa experiência, os resultados obtidos com o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor são substancialmente superiores aos alcançados apenas com as terapias convencionais., Negativo: Embora sejam essenciais para o tratamento da fibrose cística, as terapias convencionais apresentam limitações. Em geral, atuam apenas no controle das manifestações e complicações da doença, sem corrigir o defeito básico da proteína CFTR. Além disso, exigem elevada carga terapêutica, com uso diário de múltiplos medicamentos, inalações, fisioterapia respiratória e suplementação nutricicional, o que impacta significativamente a adesão, a rotina e a qualidade de vida dos pacientes. Apesar de seus benefícios, essas terapias não conseguem proporcionar a magnitude de melhora clínica observada com os moduladores de CFTR nem modificar de forma significativa a progressão da doença.,	4ª - No Brasil, a bula do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) indica seu uso em pacientes com fibrose cística a partir de 6 anos de idade que apresentem pelo menos uma variante F508del ou uma mutação no gene CFTR considerada responsiva com base em dados clínicos e/ou in vitro., As evidências para pacientes sem F508del vêm se fortalecendo. A revisão sistemática e metanálise de Lupas et al. (2024), que reuniu 20 estudos, demonstrou resposta clínica em 120 dos 164 pacientes (73%), definida por redução ?10 mmol/L no cloro no suor e/ou aumento ?5 pontos percentuais no ppVEF1. Foram identificadas 51 variantes responsivas ao ETI, das quais 27 ainda não eram aprovadas pela FDA na época da publicação. As evidências mais robustas foram observadas para as variantes N1303K e G85E., A maior experiência de vida real provém do programa compassivo francês. No estudo inicial, 45 dos 84 pacientes (54%) sem F508del e com doença pulmonar avançada responderam ao ETI após 4–6 semanas, com melhora do cloro no suor, ppVEF1, estado nutricional e desfechos clínicos, incluindo suspensão da indicação de transplante pulmonar em alguns casos. Na expansão desse programa, envolvendo 479 pacientes sem F508del, 81 de 83 (98%) portadores de variantes reconhecidas pela FDA responderam ao tratamento. Entre os 360 pacientes sem variantes aprovadas pela FDA, 177 (49%) responderam ao ETI,	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:
				com ganho médio de 13,2 pontos percentuais no ppVEF1 e redução média de 20,5 mmol/L no cloro no suor., Dados brasileiros corroboram esses achados. Em série multicêntrica com 34 pacientes, 79,4% apresentaram aumento ?5% no VEF1, 88% ganho ?0,5 kg/m² de IMC, 94% redução ?20 mmol/L no cloro no suor e não houve eventos adversos significativos. Esses resultados são particularmente relevantes para o Brasil, onde menos de 70% das pessoas com fibrose cística possuem pelo menos uma variante F508del., Referências: Lupas et al. (JCF, 2024), Burgel et al. (ERJ, 2023 e Lancet Respir Med, 2024), Canan et al. (2026).,	
Pessoa com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, a medicação precisa ser incorporada ao sus porque tem muitos paciente que precisam dela pra ter qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA (Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), Positivo e facilidades: faço uso da medicação desde dezembro/2024 e desde ent, ao não tive mais complicações pulmonares, internações hospitalares, ganhei peso, ganhei função pulmonar e passei a ter qualidade de vida e expectativa de vida normal., Negativo e dificuldades: não houve aspectos negativos	3ª - Sim, Qual: o tratamento convencional oferecido pelo sus com alfadornase e antibioticos, Positivo: o tratamento convencional ajudava a conter o avanço da doença mas não era suficiente pra impedir seu avanço e agravamento., Negativo: tinha muitos efeitos colaterais como perda de resposta dos antibioticos, perda de função pulmonar, internações hospitalares e agravamento gradual da doença.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que todos os pacientes com fibrose cística que tenham mutações raras elegíveis pela bula da ANVISA devem ter acesso ao Trikafta pelo SUS. Esses pacientes convivem com uma doença grave e progressiva que pode comprometer seriamente a qualidade e a expectativa de vida. Não é justo que apenas os pacientes F508del tenham garantido o acesso ao direito de receber pelo SUS um medicamento capaz de agir diretamente na causa e modificar o curso da doença, enquanto aqueles com mutações raras continuem sem acesso. Isso aprofunda desigualdades. O Trikafta já demonstrou transformar a vida dos pacientes com mutações raras que usam o medicamento pela via judicial, como melhora da função pulmonar e nutricional, redução de exacerbações, internações e necessidade de transplante de pulmão. A incorporação para mutações raras é uma medida de justiça, equidade e respeito aos princípios do SUS. Todos os pacientes elegíveis, independentemente de a mutação ser comum ou rara, devem ter a oportunidade de receber o tratamento mais adequado e eficaz que garanta saúde e dignidade para eles e suas famílias.	2ª - Sim, Qual: Meu filho usa Trikafta na dosagem adulta e a mutação dele é G858/G85E. , Positivo e facilidades: Como mãe do Victor, posso dizer que o Trikafta mudou completamente a vida, do meu filho e da nossa família. Durante muitos anos convivemos com o, medo, com as internações frequentes, com tratamentos pesados e com a, , incerteza sobre o futuro. Depois que ele começou a usar o Trikafta, vimos, uma transformação muito grande. O Victor passou a respirar melhor, ter mais, disposição, mais qualidade de vida e mais autonomia. Ver meu filho sorrindo, mais, fazendo planos e vivendo com mais saúde é algo que não tem preço., Na minha vida, a maior mudança foi voltar a ter esperança. Como mãe, é, muito doloroso ver um filho sofrer e não poder fazer mais. Hoje eu tenho mais, tranquilidade e posso sonhar com um futuro melhor para ele. Nossa família, voltou a viver momentos de alegria, e isso é um benefício que vai muito além, dos resultados dos exames. É por isso que acredito que todos os pacientes, que podem se beneficiar do Trikafta, inclusive aqueles com mutações raras,, merecem ter acesso a esse tratamento pelo SUS. O acesso ao medicamento, significa mais vida, mais dignidade e mais esperança para muitas famílias, que enfrentam a fibrose cística todos os dias., Negativo e dificuldades: Como mãe do Victor, eu posso dizer que não tivemos experiencias negativas, com o Trikafta. A saúde dele melhorou, ele ganhou mais qualidade de vida e, passou a ter mais disposição para viver. Se eu tivesse que falar de um efeito, negativo, não seria em relação ao medicamento em si, mas à preocupação, constante de saber se ele vai continuar tendo acesso ao tratamento. É muito, angustiante viver com a insegurança de que um remédio que mudou a vida, do meu filho possa faltar a ele. O trikafta não é a cura, temos de continuar, com a responsabilidade de manter o tratamento com outros poucos, medicamentos ainda, fazer os acompanhamentos médicos, os exames, mas, lidar com isso é quase nada diante dos desafios de ver meu filho perdendo a, saúde antes de usar o Trikafta. Para nossa família, o Trikafta representou, esperança, vida e a possibilidade de sonhar com um futuro melhor.	3ª - Sim, Qual: Victor usava antes e depois do, Trikafta (Creon, Pulmozyme, antibioticos Azitromicina e Tobramicina., Positivo: Os outros medicamentos usados no tratamento da fibrose cística, apesar, agirem apenas nos sintomas e não na causa, também foram importantes na, vida do Victor. O Creon, ainda é essencial para a digestão dos alimentos,, uma vez que a fibrose cística o tornou insuficiente pancreático há anos. O, Pulmozyme ajudava a fluidificar a enorme quantidade de secreções dentro, dos pulmões dele. Os antibióticos ajudavam a tratar infecções respiratórias,, reduzindo crises e internações. Mesmo sendo uma rotina cansativa, esses, , medicamentos ajudaram a manter meu filho menos instável., A tobramicina também foi essencial para inalações e para combater as infecções, que eram constantes e dificuldades respiratórias. Além disso a Azitromecina também fez parte no processo da causa da infecção plumular que ajudava a reduzir as inflamações e beneficiou na doença respiratórias crônicas. , Negativo: Mesmo reconhecendo a importância desses medicamentos, a rotina era, muito pesada, cansativa e desgastante para o Victor e para toda a família., Eram muitos remédios ao longo do dia, nebulizações demoradas, antibióticos, com efeitos colaterais e cuidados constantes, que ocupavam grande parte da, nossa rotina. Tudo isso tomava muito tempo, interferia na escola, no, descanso, e na vida social dele, além de gerar preocupação e sobrecarga, para mim como mãe. Esses medicamentos ajudavam nos sintomas nas, complicações da fibrose cística, mas não agiam na causa da doença. Por, isso, vivíamos sempre tentando evitar uma piora, com medo de novas, infecções, crises e internações, sem conseguir impedir totalmente a, progressão da doença. Era uma rotina necessária, mas muito difícil, que, trazia cansaço físico, emocional e muita insegurança para toda a família.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque os pacientes nao tem condições de comprar o medicamento. E esse medicamento ta sendo milagres nas vidas deles.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **02/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, sou pai de um menino com fibrose cistica e vi o quanto o meu filho melhorou de saúde e qualidade de vida a partir do uso da medicação trikafta (Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), ,	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Meu filho ganhou função pulmonar, ganhou peso, não precisou mais de internação hospitalar, estabilizou por completo a condição respiratório e não teve mais contaminação por bacterias. ganhou qualidade de vida e melhorou a expectativa de vida por completo., Negativo e dificuldades: não houve aspecto negativo	3ª - Sim, Qual: com o tratamento convencional do SUS (alfadornase, antibioticos e fisioterapia respiratória)., Positivo: apesar de ajudar na saúde, o tratamento convencional não impedia as complicações e avanço da doença., Negativo: perda de peso, excesso de medicação, excesso de antibioticos, perda de resposta aos antibioticos, perda de função pulmonar e outros.	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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou médica pneumologista de um centro de referência para fibrose cística em adultos e acompanho oito pacientes em uso de ELX/TEZ/IVA. Todos apresentaram benefício clínico em pelo menos um dos principais desfechos avaliados, incluindo função pulmonar, hipoxemia, frequência de exacerbações, estado nutricional, saúde mental e qualidade de vida. Em nosso serviço, observamos redução aproximada de 80% nas exacerbações infecciosas. Destaco ainda o caso de um paciente que, após o início do tratamento, apresentou melhora clínica suficiente para ser retirado da fila de transplante pulmonar e deixar de necessitar de oxigenioterapia domiciliar. Além da experiência clínica, estudos de vida real demonstram que pacientes portadores de variantes não-F508del responsivas ao ELX/TEZ/IVA também obtêm benefícios clínicos expressivos, reforçando a importância de ampliar o acesso ao tratamento para essa população., Infelizmente, nos últimos seis meses, nosso centro registrou o óbito de duas pacientes jovens, portadoras de variantes não-F508del responsivas ao medicamento, que apresentavam doença pulmonar avançada e não tiveram acesso à terapia. Esses casos evidenciam as consequências da indisponibilidade do tratamento para pacientes potencialmente elegíveis e reforçam a necessidade de oferecer acesso oportuno antes da progressão irreversível da doença., Diante das evidências científicas, da experiência acumulada em nosso serviço e do potencial do ELX/TEZ/IVA para modificar significativamente a evolução da fibrose cística, recomendamos sua incorporação para pacientes com idade igual ou superior a 6 anos portadores de pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR responsiva ao medicamento, preferencialmente associada a um protocolo de monitoramento clínico para avaliação da efetividade e da segurança do tratamento.,	2ª - Sim, Qual: ELEXACAFTOR/ TEZACAFTOR/IVACAFTOR, Positivo e facilidades: Melhora nos aspectos clínico, funcional, radiológico, nutricional e na qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Alfadornase, pancreatina , Positivo: Fluidez da secreção pulmonar , melhora na absorção dos nutrientes, Negativo: Pacientes jovens com necessidade de tempo longo para realizar medicação inalatória, tomada da enzima em cada refeição . Impacto na adesão do paciente	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que deve ser incorporada ao sus, devido a relatos de pessoas sobre o uso deste medicamento. , Relatos e provas que afirmam que o uso do medicamento só traz benefícios para a saúde 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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha esposa tem Fibrose Cistica e possui duas mutações raras, sendo uma delas a P205S e está usando o Trikafta há um ano e a vida dela mudou! Antes ela tossia muito, tinha infecções respiratórias recorrentes com necessidade de antibiótico, tinha uma rotina mais intensa de fisioterapia respiratória e de outras medicações. Hoje ela já não tosse, não teve nenhuma infecção respiratória nesse período e está, aos poucos, deixando de fazer uso das outras medicações e da fisioterapia respiratória. Esse medicamento veio para mudar tudo, visto que ele é um modulador genético e age diretamente no problema, que são as proteínas CFTR. Nos exames também observamos as melhorias, sua função pulmonar aumentou de 46% para 54% de VEF1 e nos exames de imagem observou redução importante das alterações inflamatórias e infecciosas. Então, pode ver toda essa mudança na vida dela e por enxergar um futuro melhor, não só para ela mas para toda a nossa família, pois nós temos uma filha de 3 anos e o maior sonho da minha esposa é poder ver nossa filha crescer e cuidar dela da melhor forma possível, SIM o Trikafta deve ser incorporado ao SUS!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Boa noite prezado(a) , espero esteja tudo bem , estou dando minha opinião como paciente da doença FQ , tenho 21 anos , nunca usei o trikafta mas agora estou sendo atendida do jeito correto pra recebir-lho , minha vida depende muito disso , eu fico muito internada , estou muito magra e minha esperança e poder receber esa medicação para eu melhorar e ter umq vida um pouquinho melhor , pido por favor seja mantenida a medicação pelo sus , muito obrigado a todos , atenciosamente Alondra Martinez	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:
Pessoa com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importante a incorporação no SUS, expandir o público que tem a Fibrose Cistica, pois é um medicamento que existem estudos ampliado, com resultados positivos e benefícios para mutações de classe 2,3 e 4. , As pessoas que conseguiram acessar o medicamento, mesmo ainda não estando incorporado na Bula do SUS a mutação obteve resultados positivos e satisfatório, em relação a um todo da doença no organismo, tanto da tosse em excesso, grande quantidade de muco, falta de apetite, fadiga, cansaço, em todos esses itens obteve resultados positivos de quem teve acesso a medicação via judicial ou por vias próprias. , É de extrema importância a pessoa ter qualidade de vida e por meio desse medicamento a vida de muitas pessoas vem mudando positivamente., Esse medicamento é tão promissor no aspecto de que pode deixar tardio os efeitos da doença sobre o corpo que até a lista de pessoas que em a fibrose cistica e precisam transplantar os pulmoes iria diminuir, já que um grande público que se encontra nessa lista é por conta da fibrose cistica.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: "Menos exacerbação, , Menos tosse, , Menos fadiga, , Menos secreção, , Aumentou a função pulmonar feita pelo exame de espirometria. , O suor no exame teste do suor"" diminuiu discretamente o sódio.", Negativo e dificuldades: O acesso ao medicamento não é facilitado.	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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, TENHO TRATADO CRIANÇAS COM FIBROSE CÍSTICA DESDE 1998 E ENTENDI A RESPOSTA CLÍNICA DOS PACIENTES A ESSA NOVA TECNOLOGIA AO ASSISTIR UMA MUDANÇA RADICAL NA EVOLUÇÃO CLÍNICA DOS PACIENTES, QUALIDADE DE VIDA. É BRILHANTE PODER ESTAR ASSISTINDO E PARTICIPANDO DESSE MOMENTO JAMAIS IMAGINADO QUANDO COMECEI A CUIDAR DESSAS CRIANÇAS QUE FALECIAM TÃO PRECOCEMENTE COM INFECÇÕES RECORRENTES RESPIRATÓRIAS E DESNUTRIÇÃO GRAVE POR MÁ ABSORÇÃO DE NUTRIENTES. A TRISTEZA DOS FAMILIARES POR ANOS , A FALTA DE EXPECTATIVA A LONGO PRAZO E HOJE COM AS NOVAS TECNOLOGIAS PODEMOS ASSISTIR OUTRA POSSIBILIDADE. DE VIDA PARA SER VIVIDA, NECESSÁRIO EXTENDER ACESSO A TODOS OS PACIENTES COM MUTAÇÕES QUE RESPONDEM AO TRIKAFTA. NÃO É JUSTO SELECIONAR GRUPOS E DENEGRIR OS DEMAIS, TIRANDO A OPORTUNIDADE DE MELHOR SOBREVIDA COM QUALIDADE.	2ª - Sim, Qual: ORKAMBI E TRIKAFTA, Positivo e facilidades: ASSISTI UMA MUDANÇA DA EVOLUÇÃO E PROGNÓSTICO DA DOENÇA. ESPERANÇA PARA UMA VIDA ADULTA DE QUALIDADE SEM DEPENDER DE OXIGÊNIO OU FICAR NUMA FILA DE TRANSPLANTE. , Negativo e dificuldades: DIFICULDADE DE ACESSO AS NOVAS TECNOLOGIAS PARA VÁRIOS PACIENTES QUE NECESSITAM JUDICIALIZAR GERANDO TRATAMENTO DESIGUAL ENTRE OS PACIENTES	3ª - Sim, Qual: ORKAMBI QUE SEMPRE FOI JUDICIALIZADO. RESPOSTA CLÍNICA INCRÍVEL, EVOLUÇÃO MARAVILHOSA. OS QUE USARAM O ORKAMBI HOJE TEM UM PROGNÓSTICO BEM MELHOR DO QUE OS QUE NÃO TIVERAM ACESSO., Positivo: MUDANÇA DE PARADIGMA DA DOENÇA QUE AO NASCER E TER DIAGNÓSTICO JÁ DIRECIONAVA A UMA EVOLUÇÃO FATAL, HOJE SE TEM TERAPIAS MAIS ROBUSTAS COMO OS MODULADORES DE PROTEÍNA QUE CORRIGEM O DEFEITO E PERMITE UMA REORGANIZAÇÃO DE TERAPIAS E MODULAÇÃO DE NOVA VIDA, COM ÓTIMAS PERSPECTIVAS, SEM INTERNAÇÕES SUCESSIVAS, SEM INFECÇÕES E COLONIZAÇÕES CRÔNICAS E POSSIBILIDADE DE IR A ESCOLA COMO AS DEMAIS CRIANÇAS ., SENDO DESCRITO NOVAS MUTAÇÕES ELEGÍVEIS PARA A NOVA TECNOLOGIA, É IMPORTANTE QUE POSSAMOS OFERECER A OPORTUNIDADE TERAPÊUTICA AOS DEMAIS. NÃO É JUSTO SELECIONAR GRUPOS. PARA SEREM BENEFICIADOS. A TECNOLOGIA EXISTE, É EFICAZ, ENTÃO VAMOS EXTENDER A TODOS AQUELES QUE A LITERATURA DESCREVE COMO RESPONDEDORES, Negativo: FALTA DE ACESSO AOS QUE TEM HISTÓRIA E ESTUDOS REVELANDO RESPOSTA CLÍNICA COM GRANDE FRUSTRAÇÃO E TRISTEZA AO PACIENTE E FAMILIARES	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A AMPLIAÇÃO DO TRIKAFTA AO SUS REPRESENTA UM MARCO DE ESPERANÇA PARA APROXIMADAMENTE 400 PACIENTES COM MUTAÇÕES RARAS ELEGÍVEIS, PARA O TRATAMENTO DA FIBROSE CÍSTICA, UMA DOENÇA GENÉTICA RARA CRÔNICA QUE AFETA MÚLTIPLOS ÓRGÃOS, PRINCIPALMENTE PULMÕES E PÂNCREAS. ESSA DECISÃO REPRESENTA MUITO MAIS QUE O ACESSO A UM MEDICAMENTO, REPRESENTA A CHANCE DE TER MAIS QUALIDADE DE VIDA, MAIS SAÚDE. MEU IRMÃO NÃO QUER APENAS SOBREVIVER, ELE QUER VIVER E APROVEITAR AS COISAS SIMPLES DA VIDA, COMO TER MAIS TEMPO E POSSIBIDADE PARA BRINCAR (POIS É UMA CRIANÇA, HOJE O MAIOR TEMPO É DESTINADO A TRATAMENTO, E O TEMPO ESTÁ PASSANDO)., HOJE ESSES PACIENTES TEM ACESSO AOS TRATAMENTOS CONVENCIONAIS DISPONÍVEIS, PORÉM MUITAS PESSOAS SOFREM COM INTERNAÇÕES E INFECÇÕES FREQUENTES E A PRÓPRIA PERDA DA FUNÇÃO PULMONAR. O TRIKAFTA AGE NA CAUSA DA DOENÇA E JÁ ESTÁ COMPROVADO QUE PACIENTES COM MUTAÇÕES RARAS TEM UMA SIGNIFICATIVA MELHORA DA FUNÇÃO PULMONAR, REDUÇÃO DAS COMPLICAÇÕES E PRINCIPALMENTE AUMENTO DA QUALIDADE DE VIDA, ASSIM COMO JÁ TEM OS PACIENTES COM MUTAÇÕES F508DEL COM ACESSO PELO SUS., SABEMOS QUE O MEDICAMENTO TEM UM CUSTO ELEVADO, PORÉM SE CONSIDERARMOS OS BENIFÍCIOS A LONGO PRAZO, TEREMOS MENOS COMPLICAÇÕES E MENOS INTERNAÇÕES. O TRIKAFTA TEM O POTENCIAL DE RETIRAR PACIENTES DA FILA DE ESPERA DE TRANSPLANTE DE PULMÃO, DEVOLVENDO – LHES A INDEPENDÊNCIA E A CAPACIDADE DE REALIZAR ATIVIDADES DIÁRIAS E COMUNS., OS PACIENTES DE FIBROSE CÍSTICA COM MUTAÇÃO RARAS REPRESENTAM UM NÚMERO MENOR, MAS NÃO PODEM SEREM ABANDONADOS. TODOS TEM DIREITO A UM TRATAMENTO ADEQUADO E DE EXCELÊNCIA PARA VIVER COM MAIS DIGNIDADE., A VIDA E O RESPEITO SÃO INEGOCIÁVEIS. CADA DIA SEM A AMPLIAÇÃO DO TRIKAFTA AO SUS, PODE COMPROMETER PERDAS IRREPARÁVEIS. COM TUDO ISSO, A AMPLIAÇÃO DO TRIKAFTA AO SUS PARA PACIENTES COM MUTAÇÕES RARAS RESPONSIVAS É UMA IMPORTANTE MEDIDA	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Tenho experiência com o uso de Creon, solução salina, Pulmozyme, antibióticos, vitaminas e suplementos nutricionais. Esses tratamentos fazem parte da rotina de pessoas com fibrose cística e são utilizados para melhorar a digestão e absorção dos nutrientes, auxiliar na limpeza das vias respiratórias, controlar infecções pulmonares e manter um bom estado nutricional, contribuindo para o controle da doença., Positivo: Esses medicamentos proporcionam melhora na qualidade de vida, ajudam a reduzir infecções respiratórias, facilitam a eliminação do muco e melhoram a respiração. O Creon permite uma melhor absorção dos alimentos, favorecendo o ganho de peso e a nutrição. As vitaminas e suplementos ajudam a fortalecer o organismo. Com isso, muitos pacientes conseguem realizar suas atividades diárias com mais disposição, autonomia e menos internações., Negativo: Os tratamentos atuais são essenciais, mas não são suficientes para mudar a evolução da fibrose cística. A rotina é cansativa e exige múltiplos medicamentos e cuidados diários, que consomem horas do dia e afetam a qualidade de vida de pacientes e familiares. O Trikafta representa uma oportunidade de mudar essa realidade, pois trata a causa da doença em pacientes elegíveis. Sua incorporação ao SUS pode reduzir complicações, internações e a necessidade de transplante pulmonar, além de proporcionar mais independência, esperança e perspectiva de um futuro melhor para quem convive com a fibrose cística.	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:
	DE EQUIDADE PARA GARANTIR MAIS QUALIDADE DE VIDA A TODOS OS PACIENTES, OFERECENDO ESPERANÇA, UM FUTURO MELHOR E VIVEREM COM DIGNIDADE.				
Profissional de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Sou médica pneumologista, responsável pelo Time Adulto de FC da PUCRS. Atualmente tenho no acompanhamento dos pacientescom FC 2 cenários: os que tˆêm a mutação F508del e estão em uso de Trikafta e os que não tem essa mutação e estão em tratamento habitual. A impressão que temos é: um grupo está no futuro (em uso de medicamento apresentam melhora da função pulmonar, melhora do estado nutricional, melhora da qualidade de vida) e o outro está preso no passado (apenas ""correndo atrás do prejuízo"", mantendo as fisioterapias, a alfadornase para quebrar a secreção pulmonar, a reposição de enzimas... enfim, mantendo a mesma expectativa de vida e menor qualidade de vida). Não estamos como sociedade médica pleiteando um absurdo: apenas queremos que o que está em bula da medicação e já está amplamente comprovado (e já em uso em outros países) seja disponibilizado para os pacientes brasileiros. Só queremos que eles também tenham acesso a esse futuro (ao próprio futuro deles), com perspectiva de que este seja longo e bem vivido."	2ª - Sim, Qual: Trabalho com FC., Positivo e facilidades: Melhora significativa na qualidade de vida e nutrição dos pacientes. Muitos apresentaram também melhora na função pulmonar., Negativo e dificuldades: Ganho de peso excessivo.	3ª - Sim, Qual: tratamento habitual: alfadornase, pancreatina, vitaminas hipossolúveis, Positivo: Tentativa de manter a doença estável, Negativo: difícil manter fisio 2x/dia em pacientes adultos (faculdade, trabalho...)	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tem que ser incorporada pelo sus por longevidade e qualidade de vida para nós pacientes com fibrose cística.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Alfardonase, ivacaftor, pancreática, tobramcina., Positivo: Hoje posso dizer que tenho qualidade de vida, depois da incorporação do ivacaftor pelo sus., O sumiço foi quase que 100% da tosse., Negativo: Nenhuma experiência negativa	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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento Elexacaftor/Tezacaftor/ Ivacaftor modificou totalmente o curso da doença Fibrose Cística, uma vez que aumentou a sobrevida de forma drástica.	2ª - Sim, Qual: Estou tendo experiência diária com o medicamento Elexacaftor/Tezacaftor/ Ivacaftor para crianças, adolescentes e adultos com Fibrose Cística, o qual modificou e impactou positivamente o curso da doença., Positivo e facilidades: O medicamento Elexacaftor/Tezacaftor/ Ivacaftor modifica totalmente o curso da doença Fibrose Cística em termos de melhora do estado nutricional, melhora da função pulmonar, reduziu o número de exacerbações pulmonares com necessidade de uso de antimicrobianos e até hospitalização, com melhora nítida da qualidade de vida. , Negativo e dificuldades: Até o presente momento, não tive complicações com o uso do medicamento Elexacaftor/Tezacaftor/ Ivacaftor, portanto, só vejo o lado positivo.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Fibrose Cística afeta pacientes com uma grande variedade de mutações no gene CFTR. Esta consulta avalia o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pacientes com pelo menos uma variante não-F508del responsiva ao medicamento — um grupo que inclui portadores de mutações raras frequentemente excluídos de análises e políticas de saúde., O argumento central é equidade. Pacientes com mutações não-F508del têm o mesmo defeito de base — proteína CFTR disfuncional —, a mesma progressão de dano pulmonar e pancreático, e a mesma resposta demonstrada ao medicamento. O que os diferencia é a raridade da mutação, não a gravidade da doença nem a eficácia do tratamento., Muitos pacientes com mutações raras já acessam o medicamento por via judicial no Brasil e apresentam benefícios documentados equivalentes ou superiores aos observados em pacientes F508del: melhora da função pulmonar, redução de exacerbações, ganho de peso, redução de hospitalizações. Essa evidência de vida real não pode ser ignorada., A menor quantidade de estudos clínicos formais para mutações raras é uma consequência estrutural do tamanho reduzido da população — não uma evidência de que o medicamento não funciona para elas. A FDA, a EMA e a ANVISA reconheceram isso e aprovaram o medicamento para diversas mutações responsivas não-F508del. A Conitec não pode adotar critério mais restritivo que as agências regulatórias sem fundamentação adicional., O SUS é fundado no princípio da equidade. Negar tratamento eficaz a pacientes com mutações raras porque seu grupo é menor viola esse princípio constitucional. Solicito a incorporação do medicamento para esta população.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: , Tratamento convencional da Fibrose Cística (idêntico para todas as mutações, inclusive raras): reposição de enzimas pancreáticas, suplementação de vitaminas lipossolúveis (A, D, E e K), nebulização com solução hipertônica, fisioterapia respiratória diária para desobstrução brônquica e antibioticoterapia nas exacerbações. Para pacientes com mutações raras, este tem sido historicamente o único tratamento disponível — sem nenhuma alternativa modificadora., Positivo: O tratamento convencional é fundamental para todos os pacientes com FC, independentemente da mutação. Controla sintomas, previne desnutrição, reduz exacerbações e aumentou a sobrevida nas últimas décadas. A fisioterapia respiratória e a nebulização mobilizam o muco e reduzem o risco de infecções. O acompanhamento especializado em centros de referência melhora o prognóstico. Para pacientes com mutações raras, esse tratamento foi por muito tempo a única perspectiva disponível, e ainda é insubstituível como base do cuidado., Negativo: Para pacientes com mutações raras, o tratamento convencional representou, durante décadas, a única opção disponível — sem nenhuma alternativa modificadora. Enquanto alguns pacientes F508del tiveram acesso a gerações anteriores de moduladores CFTR (lumacaftor/ivacaftor, tezacaftor/ivacaftor), portadores de mutações raras frequentemente ficaram excluídos de todas essas opções., O defeito genético subjacente continua ativo com o tratamento convencional: o muco hiperviscoso continua sendo produzido, a inflamação crônica das vias aéreas persiste, e o dano pulmonar e pancreático progride silenciosamente. A carga do tratamento é intensa e permanente, sem perspectiva de mudança do curso da doença., O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor representa, para muitos desses pacientes, a primeira e única oportunidade de acesso a um tratamento que atua na causa da doença. Não incorporá-lo perpetua uma exclusão histórica de um grupo já marcado pela raridade de sua mutação.	4ª - , O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor tem mecanismo de ação que não se restringe à mutação F508del. O componente elexacaftor atua como corretor de conformação da proteína CFTR — mecanismo eficaz para diversas mutações que resultam em proteína mal dobrada ou com tráfego intracelular comprometido, independentemente de qual seja a mutação específica., A menor representação de mutações não-F508del em ensaios clínicos controlados de grande porte é uma consequência inevitável da epidemiologia das doenças raras: populações menores não conseguem recrutar pacientes suficientes para estudos com o mesmo poder estatístico dos realizados para F508del. Esse é um problema estrutural da pesquisa em doenças raras — não uma evidência de ineficácia., A FDA e a EMA reconheceram explicitamente esse problema e aprovaram o medicamento para diversas mutações responsivas não-F508del com base em estudos de menor escala, evidências in vitro e dados de extrapolação de segurança. A ANVISA seguiu caminho equivalente. Essas decisões regulatórias representam o consenso científico internacional sobre a suficiência da evidência disponível., Dados de vida real de pacientes com mutações raras que acessam o medicamento por decisão judicial no Brasil documentam benefícios clínicos concretos: melhora do VEF1, redução de exacerbações, ganho ponderal, melhora de	5ª - A análise econômica desfavorável da Conitec para pacientes com mutações não-F508del baseou-se principalmente no alto custo por paciente. Essa análise apresenta três limitações que precisam ser corrigidas., Primeiro: impacto orçamentário real é menor do que sugere o custo per capita. A população com mutações não-F508del responsivas é numericamente pequena. Um custo individual elevado, multiplicado por um número restrito de pacientes, resulta em impacto orçamentário total significativamente menor do que para a população F508del geral. A análise da Conitec deve apresentar o custo total estimado para a população brasileira afetada — não apenas o custo por paciente isolado —, para que o impacto real seja avaliado em proporção adequada., Segundo: a não incorporação não elimina o custo — fragmenta e amplifica. Cada paciente que recorre ao judiciário gera custos para a Defensoria Pública da União, o sistema judiciário federal, o processo de peritagem médica e, frequentemente, o próprio fornecimento judicial sem poder negociador de preço. A incorporação centralizaria a compra, viabilizaria desconto por volume e tornaria o gasto previsível

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:
				qualidade de vida e redução de internações — resultados equivalentes aos observados em populações F508del., Aplicar à incorporação um critério de evidência mais restritivo que o utilizado pelas agências regulatórias, sem justificativa clínica adicional, resulta em exclusão injustificada de pacientes que a própria regulação reconhece como beneficiários da terapia.	e auditável., Terceiro: ausência de alternativa modificadora muda o cálculo de custo-efetividade. Para esses pacientes, o elexacaftor/tezacaftor/iva caftor não é uma alternativa entre outras — é a única terapia modificadora disponível. A análise de custo-efetividade incremental pressupõe existência de comparadores, quando não há alternativa modificadora, o modelo convencional de ICER subestima o valor real da intervenção. O benefício de ter acesso a qualquer tratamento modificador, versus nenhum, é qualitativamente diferente e economicamente mais valioso do que os modelos tradicionais capturam., Solicito revisão da análise com os ajustes metodológicos necessários.
Interessado no tema **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, E muito importante e crucial pra vida de várias crianças	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Venho defender a ampliação do Trikafta para pacientes com 6 anos ou mais que apresentem mutações responsivas, como a G85E. Essa é uma luta pessoal: minha filha, de 4 anos, tem fibrose cística com a mutação G85E. Ela escapou da morte duas vezes ainda bebê– primeiro com uma virose que evoluiu para alcalose metabólica e internação na UTI, depois com um erro no diagnóstico que a manteve em tratamento para Síndrome de Barter por meses. Quando finalmente o diagnóstico correto veio, soubemos que a luta dela era contra a fibrose cística. Hoje, ela faz fisioterapia respiratória diariamente, toma 2g de sal por refeição para combater a alcalose metabolica e vive sob a sombra do fantasma de novas internações., , A G85E é uma mutação de classe II e já há estudos que demonstraram que o Trikafta resgata significativamente a função da proteína para essa mutação . A FDA já incluiu a G85E em sua lista de mutações responsivas ao Trikafta . Apesar disso, no Brasil, Minha filha e outras crianças com essa mutação estão excluídas do acesso., , Negar esse acesso é condenar minha filha e outras crianças com mutações responsivas a uma doença progressiva enquanto a solução existe. A fibrose cística não espera. Cada dia sem o medicamento é um dia a mais de dano pulmonar irreversível, um dia a mais de inflamação, um dia a mais de risco de internação. Minha filha escapou do perigo por duas vezes ainda bebê, mas e se ela novamente internar? E se dessa vez for fatal? Quanto mais cedo tomarmos as medidas necessárias, melhor o prognóstico. Na fibrose cística, se trabalha com precaução. Quem não gostaria disso para um filho?, , Peço que esta consulta pública reconheça a G85E como mutação responsiva e amplie o acesso ao Trikafta para todos os pacientes com 6 anos ou mais que tenham mutações elegíveis. Não se trata de privilégio – trata-se de justiça. A ciência já disse sim. O SUS precisa dizer também. Minha filha e centenas de outras crianças brasileiras não podem esperar mais.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A ampliação do Trikafta ao SUS representa um avanço essencial para o tratamento da fibrose cística, uma doença rara, genética e progressiva que compromete principalmente os pulmões e o sistema digestivo. Para os aproximadamente 400 pacientes com mutações raras elegíveis e suas famílias, essa decisão significa muito mais do que o acesso a um medicamento: representa a chance de viver mais, com mais saúde, autonomia e qualidade de vida., Hoje, mesmo com os tratamentos convencionais disponíveis, muitas pessoas enfrentam infecções frequentes, internações recorrentes e perda progressiva da função pulmonar. O Trikafta age na causa da doença e estudos demonstram que pacientes com mutações raras tem melhora tão significativa da função pulmonar, redução das complicações e aumento da expectativa de vida assim como já têm os pacientes F508del que tem acesso pelo SUS., Embora o custo do medicamento seja elevado, é importante considerar também os benefícios a longo prazo. Com menos internações, menos complicações e menor necessidade de procedimentos complexos, como o transplante pulmonar. Com isso há redução de gastos para o sistema de saúde, além de permitir que pacientes estudem, trabalhem e tenham uma vida mais produtiva. Pacientes de fibrose cística com mutações raras não podem ser esquecidos apenas porque representam uma parcela menor. O acesso ao melhor tratamento disponível é uma questão de equidade, dignidade e respeito ao direito constitucional à saúde. Cada dia sem a ampliação do Trikafta no SUS pode significar perda irreversível da função pulmonar e oportunidades que jamais serão recuperadas. Por isso, a ampliação do Trikafta ao SUS para pacientes com mutações raras responsivas é uma decisão baseada em evidências científicas, responsabilidade social e compromisso com a vida. Garantir esse tratamento é oferecer esperança aos pacientes responsivos que convivem diariamente com a fibrose cística e lutam por um futuro melhor.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Tenho experiência com tratamentos utilizados na fibrose cística, como Creon, solução salina, Pulmozyme, antibióticos, vitaminas e suplementos nutricionais. Esses medicamentos são fundamentais para controlar os sintomas, melhorar a função pulmonar, combater infecções e garantir uma melhor absorção dos nutrientes, sendo parte da rotina diária de muitos pacientes., Positivo: Esses tratamentos ajudam a controlar a doença e proporcionam mais qualidade de vida. O uso do Creon melhora a digestão e o estado nutricional, enquanto a solução salina e o Pulmozyme facilitam a eliminação das secreções. Os antibióticos reduzem o impacto das infecções respiratórias e as vitaminas e suplementos auxiliam na manutenção da saúde. Com isso, muitos pacientes conseguem ter mais disposição para estudar, trabalhar e participar das atividades do dia a dia., Negativo: Apesar dos benefícios, esses tratamentos exigem uma rotina diária muito intensa, com várias medicações, inalações e outros cuidados constantes. Eles ajudam a controlar as consequências da fibrose cística, mas não atuam diretamente na causa da doença. A disponibilização do Trikafta pelo SUS seria um grande avanço, pois pode reduzir complicações, diminuir a necessidade de internações e oferecer mais autonomia e qualidade de vida às pessoas com fibrose cística, permitindo que vivam com mais saúde e	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento é muito importante para a melhorar a condição de saúde dos pacientes com fibrose cistica, quem convive com e cuida de alguém com fibrose cistica sabe o qual é difícil e doloroso ver a pessoa definhando é sabendo que esse medicamento vai proporcionar mais qualidade de vida, a minha neta ainda não faz uso desse medicamento mas já conheci crianças que estão fazendo uso desse medicamento e vi a mudança na qualidade de vida dessas crianças , é um verdadeiro milagre	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como assistente social atuando em um centro de fibrose cística, atendendo pessoas que tem a vida atravessadas por essa condição de saúde venho observando que ano após ano o tratamento vem sendo baseado na mitigação dos sintomas. A possibilidade de incorporação de uma medicação que corrigirá o defeito, pode trazer muitos ganhos para pacientes e familiares. No centro que atuo em 2025 tínhamos 03 pacientes elegíveis para o trikafta com a expansão para as mutações raras. Destes, duas pacientes mulheres jovens com idade entre 20 e 30 anos, não tiveram a possibilidade de terem suas vidas prolongadas com o auxilio da medicação, pois morreram deixando filhos, maridos e familiares. A/o outro paciente é uma criança, que poderá ter sua historia de vida mudada com a possibilidade de incorporação da medicação	2ª - Sim, Qual: Medicamentos e procedimentos., Positivo e facilidades: Oferecimentos de novas possibilidades de tratamento impactando na qualidade de vida das pessoas, sendo diretamente do paciente e indiretamente dos familiares., Negativo e dificuldades: Não consta.	3ª - Sim, Qual: Trikatifa para pessoas a partir de 06 anos com pelo menos uma mutação do F508del, Positivo: Melhora da qualidade de vida de paciente, com diminuição de internações, paciente elegíveis para transplante pulmonar que melhoram a função pulmonar, retorno as atividades escolares e comunitárias aos que se limitavam por causa do uso continuo de oxigênio., Negativo: Não consta.	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:
Pessoa com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A fibrose cistica é uma doença muito agressiva, eu tenho 48 anos e hoje tenho 20% do meu pulmao. de acordo com os estudos e experiencias de quem ja usou o remedio, a melhora é excelente. vivemos em um quadro paleativo e os remedios que temos sao antigos. com o avanço da medicina e inumeros estudos e pesquisas, cada vez mais aparecem remedios novos podendo proporcionar uma melhor qualidade de vida para nos que não tivemos escolha e nascemos com a FC. a distribuição pelo SUS é essencial, pois o custo do remedio é altissimo e inviavel para a população em sua grande maioria. se o SUS nao distribui o remedio, a gente acaba vendo nossa chance de sobre vida indo embora sem ao menos termos tentado. ha crianças que poderao sonhar com uma vida mais longa, poderao fazer planos, jovens que terao esperança no tratamento. nosso sonho é ver a fibrose cisitica estabilizada nos pacientes, sem evoluir, sem levar os portadores embora tao cedo. Graças a medicina, essa esperança se renova e precisamos do SUS para acreditarmos	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: faço uso de pulmozyme, busonide, anoro, Positivo: com esses que eu uso hoje, sinto que ja nao fazem tanto efeito quanto antes. fazem muita diferença claro, mas nao como antes, Negativo: nao tenho, a nao ser o fato de hoje ja nao fazerem tanto efeito como antes	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe do Gabriel que tem FC e foi diagnosticado no teste do pezinho (2 testes positivos e teste do suor negativo) Mas com todos os sintomas da FC. Os pediatras nao acreditarma que ele tinha FC, mesmo nascendo com ileo meconial, suor salgado , fezes fétidas e com gordura nas fezes e tosse cronica. Mesmo médicos renomados de hospitais privados nao conhecem as doenças raras., , Uma indústria que faz 4 medicamentos para a mesma doença, eu desconheço, e nao seria correto deixar esses pacientes que já sao adultos sem acesso a esse milagre. O custo de um jovem adulto de internação, falta de trabalho, medicamentos etc. Precisamos urgente unir todos os envolvidos sentar juntos e pensarmos em como contemplar os cidadaos brasilieros que nao pediram e nem escolheram nascer com uma doença rara. O que vanos fazer com a novas tecnoogias que curam as doenças? vamso falar nao para todas? O nosso pais tem muito dinheiro para coisas erradas. temos que da um basta nisso. o MIn da saude sozinho nao faz milagre, tem sua verba limitada, mas ela é justa? Nao quero mais ver gente morrendo e muitos outros com fortunas desviadas. Entendo que temos limitação, mas o raro nao pode pagar coma a vida. Esse Trikafta é milagroso e vai fazer essse jovem adulto ser um cidadão que contribua com impostos e seja uma pessoa digna. Queria muito que o milagre do meu filho fosse para cada um dos nossos cidadaos. Obrigada e desculpa o desabafo. , ,	2ª - Sim, Qual: Trikfata para meu filho Gabriel., hoje está com 23 anos. Ele ha´3 anos que usa essa medicaçaõ milagrosa, Positivo e facilidades: No ano de 2002 quando ele nasceu, ele teve ileo meconial e foinpara a UTI, Esse foi o primeiro sintoma da doença e na maternidade , privada de referencia em SP, nao pensou em FC. Ele fiocu com a barriga distendida por 10 dias, sem pode ser amamentado com meu leite e eu passei 10 dias , com o corte da cesaria sentada do aldo de fora, tirando leite na sala de ordenha para que pudesse nao secar meu leite. Veio o cirurgiao e e disse que ia, tebtar revertes sem cirurgia. Foram 15 dias recem operada esperando ele melhorar para ser amamentado com o meu leite. Fizemos o teste do pezinho e deu alterado. Refizemos e deu alterado e o pediatram privado de um hospital renomado disse que ele precisava afzer o teste do suor, que era o padrao ouro, O teste deu nagtivo,mas ele tinha todos os sintomas da doenla. Perda de gordura suor super salgado . Eu ingênua, acreditei no médico renomado e segui a vida sempre com as fezes fetidas e suao salgado, ganhando pouco peso. O tenpo passou e ele teve bronquiolite com 10 meses. Ficamos 1 mes com ele tossindo dia e noite, dormindo sentado. Foi internado para antiobiotica. Atenção, internei no hispoital sao Luiz e os medicos era, do Eistein. Pois eu fui consulyar um penumo nesse meio tempo e ele disse que se o Gabriel tivesse FC ele rasgaria o diploma. Estou falando de medicos de referencia de hospitais de 1ª linha. Apos uma semana de UTI, os 2 pulmoes grudaram (colabaram) e ele parou de respirar. Preciso dizer o desespero ? Somente o Trikfata salvou a vida dele. Eu tinha certeza que eu ele nao estaria vivo para se formar na faculdadde. foram mais de 14 internações em 20 anos. Quanto custou isso para o plano de saude? e para o SUS? Em 3 dias ele nunca mais teve um muco seque e o pulmao voltou a ter sua capacidade quase plena. Nao podemos negar esse medicamento para esses jovens adultos com todas as evidências da eficacia, Negativo e dificuldades: nenhum aspecto negativo	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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou médico pneumologista, chefe do serviço de Pneumologia da PUCRS. No nosso serviço temos um dos dois únicos serviços que atendem adultos portadores de FC no RS. Considerando tudo o que já se têm de informações (e toda a experiência dos outros países com uso de Trikafta em não-F508del), nosso grupo sugere a incorporação da medicação para pacientes não-F508del respondedores ao Trikafta com intuito de melhorar a qualidade de vida destes pacientes, reduzindo suas internações e aumentando suas expectativas de vida.	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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como Centro de Atendimento ao Adulto com Fibrose Cística do CHC/UFPR — único centro de referência do SUS para pacientes adultos no Paraná, com cerca de 150 pessoas em acompanhamento — manifestamo-nos favoráveis à incorporação do ETI para portadores de variantes não-F508del. Apesar de raras individualmente, as variantes não-F508del correspondem a praticamente 30% dos pacientes no Brasil, e a maioria é potencialmente responsiva ao tratamento. , , A evidência científica atual inclui estudos de vida real, estudos clínicos controlados, metanálises e dados in vitro e demonstra benefícios clínicos consistentes e comparáveis aos observados na F508del. Estes benefícios também foram constatados diretamente em nossa prática, em que avaliamos em nosso centro o uso de ETI em 13 portadores de variantes não-F, com resposta positiva em todos: ganho de função pulmonar, recuperação nutricional e melhora significativa de qualidade de vida. Esses dados foram, inclusive, publicados em conjunto com outros centros brasileiros, confirmando a resposta clínica semelhante ao uso em não-F, assim como a redução expressiva de exacerbações e hospitalizações, com perfil de segurança idêntico ao já estabelecido. , , A fibrose cística é uma doença grave, progressiva e incapacitante. A ampliação do acesso ao ETI para pacientes com variantes não-F508del possui sólido embasamento científico, perfil de segurança estabelecido e efetividade comprovada, inclusive na população brasileira. Os centros de referência dispõem de estrutura para avaliar a elegibilidade, monitorar a resposta clínica e eventos adversos, além de suspender o tratamento quando não houver benefício. Restringir o acesso apenas à F508del, quando a resposta clínica é equivalente, é insustentável do ponto de vista científico e contraria o princípio da equidade do SUS., , O texto detalhado, resultados completos e referências encontram-se nos documentos em anexo.,	2ª - Sim, Qual: Uso da associação elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor em pessoas com fibrose cística portadoras tanto de variantes F508del quanto de variantes não-F508del. , Positivo e facilidades: Tivemos a oportunidade de avaliar o uso de ETI em 13 portadores de variantes não-F. Todos apresentaram resposta positiva ao tratamento, com ganho de função pulmonar — que chegou a 19% em um paciente —, além de recuperação nutricional e, principalmente, ganho de qualidade de vida. Como exemplos, temos uma paciente que apresentou normalização do teste do suor (de 86 para 9 mmol/L), ganho de 13% no VEF1 (de 39 para 52%) e melhora clínica significativa, podendo retomar um emprego formal, o que não era possível antes do uso de ETI. Outra paciente, bastante grave, recuperou mais de 10% do VEF1, ganhou 9 kg e pôde interromper o uso de oxigênio após 3 meses de uso da medicação. Hoje, ela conseguiu terminar a faculdade e trabalhar no negócio da família. Por fim, nossa experiência mais dramática foi com uma PcFC que, depois de apresentar 7 exacerbações em 2023, teve uma exacerbação grave no início de 2024 e necessitou de internamento em UTI com ventilação mecânica. A paciente iniciou ETI enquanto estava intubada e não só se recuperou da exacerbação e pôde ser extubada, como ganhou 14% de VEF1 e recuperou o estado nutricional, mantendo hoje, 2 anos depois, os ganhos atingidos, com melhora significativa da qualidade de vida. e redução de mais de 70% nas exacerbações., Nossa experiência, inclusive, foi publicada: primeiramente, relatando a evolução clínica de 4 PcFC com a variante N1303K7 e, posteriormente, relatando, em conjunto outros centros brasileiros, os dados do uso de ETI em 34 PcFC portadoras de variantes não-F8. Neste último estudo, pudemos verificar a resposta ao ETI em 15 variantes não-F, dentre as quais estão contempladas 8 das 10 variantes não-F, não classe 1, mais frequentes no Brasil, o que corresponde a uma amostra bastante fidedigna da população brasileira. , O texto detalhado, resultados completos e referências encontram-se nos documentos em anexo., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto clínico negativo significativo. A tecnologia é segura e na indicação em discussão tem perfil de eventos adversos semelhante ao já estabelecido para uso em variantes F508del. ,	3ª - Sim, Qual: Com todos os tratamentos para a Fibrose Cística hoje disponíveis no Brasil. , Positivo: Todos os tratamentos disponíveis, com exceção dos moduladores de CFTR, tratam apenas as consequências da doença e não são capazes de interromper a progressão das pessoas com fibrose cística para insuficiência respiratória, perda de qualidade de vida e mortalidade precoce. , Negativo: Todos os tratamentos disponíveis, com exceção dos moduladores de CFTR, tratam apenas as consequências da doença e não são capazes de interromper a progressão das pessoas com fibrose cística para insuficiência respiratória, perda de qualidade de vida e mortalidade precoce.	4ª - Informações detalhadas no documento em anexo.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu filho ele tem gene raro e ainda nao faz uso do medicamento mais ele compatível,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho dois familiares que são portadores de Fibrose Cistica e que usam o Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, e pude atestar pessoalmente a melhoria significativa que tiveram após o uso da medicação, mudando radicalmente sua qualidade de vida e expectativas.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Minha irmã e meu sobrinho que tem a doença Fibrose Cistica melhoram muito depois da medicação Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor,, desde então não tiveram mais quadros de exarcebação pulmonar, não mais precisaram de internações hospitalares, deixaram de tomar antibióticos de uso continuo, e estão vivendo com muita qualidade., Negativo e dificuldades: não houve aspectos negativos	3ª - Sim, Qual: Minha irmã e meu sobrinho sempre fizeram o tratamento convencional do SUS (Alfadornase, antibióticos e fisioterapia respiratória), Positivo: Ajudam a controlar a doença, mas não era suficiente para impedir o avanço e agravamento do quadro de saúde. Além de desenvolver falta de resposta a maioria dos antibióticos, tonando as bactérias multiresistentes, Negativo: Era muito remédio, muitos antibióticos, várias internações hospitalares, muitas sessões de fisioterapia e ainda assim a doença progredia constantemente. Além de desenvolver falta de resposta a maioria dos antibióticos, tonando as bactérias multiresistentes	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho dois amigos próximos que são portadores de Fibrose Cistica e que usam o Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, e pude atestar pessoalmente a melhoria significativa que tiveram após o uso da medicação, mudando radicalmente sua qualidade de vida e expectativas.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Meus amigos que tem a doença Fibrose Cistica melhoram muito depois da medicação Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor,, desde então não tiveram mais quadros de exarcebação pulmonar, não mais precisaram de internações hospitalares, deixaram de tomar antibióticos de uso continuo, e estão vivendo com muita qualidade., Negativo e dificuldades: Não houve aspectos negativos	3ª - Sim, Qual: Meus amigos sempre fizeram o tratamento convencional do SUS (Alfadornase, antibióticos e fisioterapia respiratória), Positivo: Ajudam a controlar a doença, mas não era suficiente para impedir o avanço e agravamento do quadro de saúde. Além de desenvolver falta de resposta a maioria dos antibióticos, tonando as bactérias multirresistentes, Negativo: Era muito remédio, muitos antibióticos, várias internações hospitalares, muitas sessões de fisioterapia e ainda assim a doença progredia constantemente. Além de desenvolver falta de resposta a maioria dos antibióticos, tonando as bactérias multirresistentes	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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, por que ocorre melhoria da qualidade de vida da pessoa com fibrose cistica relacionado aos aspectos físicos e psíquicos por diminuição de ocorrencias de hospitalizações, diminuição das exacerbações infecciosas pulmonares e intestinais, diminuição da ansiedade e depressão e consequentemente diminuição de custos ao Estado.	2ª - Sim, Qual: uso da terapia triplice em pessoas com fibrose cística, Positivo e facilidades: Diminuição das hospitalizações, , Poucos efeitos colaterais, , Tolerância e aderência da terapêutica, , diminuições das exacerbações infecciosas, , saída de paciente da fila de transplante pulmonar, , diminuição dos níveis alterados de cloretos no suor., Negativo e dificuldades: não observado	3ª - Não	4ª - Sou Enfermeira assistente do ambulatório de referência no estado do Pará em fibrose cística infantil e adulto desde o ano de 2020. No último ano tivemos 15 casos novos diagnosticados com esta doença rara e realizamos o acompanhamento de 128 pessoas com fibrose cística. Destas tivemos 4 pessoas (01 crianças e 03 adultos) com mutações raras, porém duas delas foram a óbitos em decorrências de complicações inerente a doença e que não puderam usufruir do benefício da terapia tríplice como melhoria da função pulmonar, ganho ponderal e diminuição de custos com hospitalizações e terapêuticas e diminuição das exacerbações por doenças respiratórias e intestinais. É do nosso conhecimento que esta doença consome diariamente 3 horas em terapias rotineiras como medicamentos orais e inalatórios, fisioterapias e outros cuidados assim como exige avaliação continua mensal ou trimestral de consultas com equipe especializada e realização de exames para diminuir impactos negativos entre hospitalizações e exacerbações de doenças. Mediante os benefícios estendidos as pessoas com mutações raras e responsivos a terapia tríplice (Trikafta) que recomendo a incorporação da terapia a pessoas com mutações raras condicionada a protocolos de monitoramento clínico e assim possam usufruir precocemente de todas vantagens inerentes ao uso da terapia.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como tia de uma criança de 4 anos com fibrose cística e mutações não-F508, acompanho de perto os desafios que essa doença impõe à nossa família. Cada consulta, cada exame, cada internação, cada infecção e cada momento de incerteza nos lembram da importância de oferecer às nossas crianças a oportunidade de viver com mais saúde, qualidade de vida e esperança. Conviver com a fibrose cística é aprender que o tempo faz toda a diferença. A doença é progressiva, e os danos provocados ao organismo podem ser permanentes. Por isso, o acesso precoce aos tratamentos mais eficazes pode mudar completamente a trajetória de uma criança. Não estamos falando apenas de um medicamento, mas da possibilidade de preservar a função pulmonar, reduzir complicações, diminuir hospitalizações e permitir que essas crianças tenham mais tempo para viver plenamente a infância. A incorporação do Trikafta ao SUS para crianças de 2 a 5 anos elegíveis, incluindo aquelas com mutações não-F508 que apresentem evidências de resposta ao tratamento, representa um passo importante em direção à equidade no cuidado. Cada criança com fibrose cística é única, e as decisões sobre seu tratamento devem considerar as evidências científicas e suas necessidades individuais, e não apenas a frequência de uma determinada mutação. Como familiar, é muito difícil conviver com a possibilidade de existir um tratamento capaz de oferecer melhores perspectivas e saber que ele ainda não está disponível para todas as crianças que podem se beneficiar. Essa realidade gera ansiedade, medo e um sentimento constante de impotência diante da evolução da doença. Acredito em um SUS que busca oferecer cuidado integral, baseado na ciência, na equidade e na dignidade das pessoas. Investir em tratamentos que possam retardar a progressão da doença também significa reduzir complicações futuras, internações, procedimentos invasivos e o sofrimento das famílias. Minha sobrinha merece crescer, brincar, estudar, e sonhar como qualquer criança.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Trikafta é um medicamento essencial na vida do paciente de fibrose cistica, é o único medicamento existente que, de fato, atua na origem da doença e isso faz toda a diferença. Todos os brasileiros que têm a doença e são responsivos ao medicamento, deveriam ter acesso. Frisa-se muito sobre o custo do medicamento, mas ele evita as consequências que podem ser até mais dispendiosas.	2ª - Sim, Qual: Tenho experiência com o Trikafta, minha filha faz uso., Positivo e facilidades: Minha filha tem 13 anos, é portadora das mutações 2052 del A e V232D (sendo esta última responsivo ao medicamento). A rotina da minha filha era limitada. No último ano (2025) ela precisou fazer uso de antibióticos todos os meses, otites, pneumonia, uma persistente colonização por pseudomonas aeroginosas, que, conhecida mente, é uma das bactérias mais temidas pelos pacientes portadores de fibrose cistica, por causar grande deterioração no pulmão do paciente. Em setembro de 2025 ela começou a fazer uso do Trikafta, e a melhora foi imediata. Desde que começou o uso no Tikafta, não precisou mais fazer uso de antibióticos, não teve mais nenhuma infecção, seu swab está livre de pseudomonas, ela adquiriu 5 kg em seu peso corpóreo (antes não ganhava nem 1 kg ao longo de 1 ano). O teste de suor realizado em dezembro/2025 já ficou nos parâmetros normais (48 mmol de cloro/ L), antes a concentração era 108mmol de cloro/L, sendo considerado normal até 60mmol/ L, a tomografia do pulmão revelou uma grande melhoria, segundo laudo médico, enfim, o medicamento Trikafta proporciona à minha filha uma qualidade de vida praticamente normal, Creio que os demais brasileiros que sofrem com essa doença são merecedores de fazer uso desse medicamento tão essencial., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme (alfadornase)., Positivo: O pulmozyme apenas trata as consequências da doença, ajudando na expectoração, nem se compara ao Trikafta, este sim, evita a viscosidade do muco e sua consequente retenção com proliferação de bactérias. , Negativo: Ele é apenas paliativo, não trata as causas.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que deve ser incluída sim no SUS, pois salvará e contribuirá para salvar muitas vidas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha Colega de trabalho, Cláudia, antes de usar o medicamento Trikafta, ficava muito doente, com muita tosse, febre, precisou ficar internada algumas vezes, inclusive na CTI. Depois do uso da medicação Trikafta, melhorou consideravelmente, ganhou um pouco de qualidade de vida, não precisou mais internar e nem apresentou mais infecções.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O TRIKAFTA age diretamente na causa do problema em pacientes com fibrose cística e traz uma melhora na qualidade de vida muito significativa	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA, Positivo e facilidades: Somente coisas positivas, a pessoa começa a VIVER de fato, Negativo e dificuldades: Nenhuma	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:
Organização da Sociedade Civil **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Sociedade de Pneumologia e Tisiologia do Rio Grande do Sul (SPTRS) manifesta-se favoravelmente à incorporação da combinação elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos, portadores de pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR responsiva ao medicamento., , A fibrose cística é uma doença genética, progressiva e multissistêmica, associada à importante morbidade, comprometimento da função pulmonar, redução da qualidade de vida e diminuição da sobrevida. Os moduladores da proteína CFTR representam um avanço terapêutico por atuarem diretamente na causa da doença, modificando sua história natural., , As evidências científicas demonstram que o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor proporciona melhora significativa da função pulmonar, redução das exacerbações respiratórias e das hospitalizações, melhora do estado nutricional, da qualidade de vida e da função da proteína CFTR. Estudos de acompanhamento também demonstram manutenção desses benefícios ao longo do tempo, com potencial para retardar a progressão da doença e reduzir a necessidade de intervenções de alta complexidade, incluindo transplante pulmonar., , A ampliação da indicação para pacientes com variantes responsivas não-F508del promove maior equidade no acesso ao tratamento, uma vez que esses indivíduos apresentam doença de igual gravidade e podem obter benefícios clínicos semelhantes aos observados em outros grupos já contemplados. A exclusão desses pacientes priva uma parcela da população de uma terapia comprovadamente modificadora da doença., , A SPTRS entende que a incorporação dessa tecnologia está alinhada aos princípios da integralidade, da equidade e da universalidade do SUS, oferecendo uma alternativa baseada em evidências, com potencial para melhorar os desfechos clínicos, a qualidade de vida e reduzir a carga assistencial da fibrose cística. Por esses motivos, manifesta-se favoravelmente à sua incorporação.,	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor em adultos. , Positivo e facilidades: Na experiência clínica com pacientes elegíveis para moduladores da CFTR, observa-se que o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor representa uma mudança de paradigma no tratamento da fibrose cística por atuar diretamente sobre o defeito molecular da doença., , Os principais benefícios observados incluem melhora significativa da função pulmonar, redução da frequência e da gravidade das exacerbações respiratórias, diminuição das internações e da necessidade de antibioticoterapia intravenosa, além de melhora do estado nutricional, da capacidade funcional e da qualidade de vida. Também é frequente a redução da carga diária de sintomas respiratórios, com impacto positivo na participação escolar, social e nas atividades da vida diária., , A experiência clínica e os estudos de seguimento demonstram que esses benefícios tendem a ser sustentados ao longo do tempo, contribuindo para retardar a progressão da doença e preservar a função pulmonar. Em crianças, o início precoce da terapia oferece a perspectiva de reduzir o dano pulmonar cumulativo e melhorar o prognóstico em longo prazo., , Para pacientes com variantes não-F508del responsivas, os benefícios clínicos observados são consistentes com o mecanismo de ação do medicamento e com as evidências disponíveis, justificando a ampliação do acesso. A incorporação dessa tecnologia permitirá oferecer tratamento mais efetivo e equitativo a pacientes que permanecem com necessidades terapêuticas não atendidas, com potencial de reduzir complicações, melhorar a sobrevida e otimizar a utilização dos recursos do sistema de saúde., , Negativo e dificuldades: De modo geral, o perfil de segurança do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor é favorável e os benefícios clínicos superam amplamente os riscos para os pacientes elegíveis. Os principais aspectos que merecem atenção estão relacionados à necessidade de acompanhamento clínico e laboratorial periódico, especialmente da função hepática, e à possibilidade de interações medicamentosas, o que exige seguimento por equipe multiprofissional experiente em fibrose cística., , Além disso, nem todos os pacientes apresentam a mesma magnitude de resposta clínica, sendo necessária avaliação individualizada da efetividade e da adesão ao tratamento. Também podem ocorrer eventos adversos, em geral leves a moderados e manejáveis, que raramente levam à suspensão da terapia., , Esses aspectos, entretanto, são conhecidos, monitoráveis e não comprometem a relação favorável entre benefícios e riscos do medicamento. Na prática clínica, não constituem justificativa para restringir o acesso de pacientes com variantes responsivas do gene CFTR a uma terapia comprovadamente modificadora da	3ª - Não	4ª - As evidências científicas demonstram que a combinação elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) é uma terapia altamente eficaz para pacientes com fibrose cística portadores de variantes responsivas do gene CFTR, incluindo variantes não-F508del. Estudos clínicos de fase 3 demonstraram melhora significativa da função pulmonar (ppFEV1), redução do cloro no suor, melhora da qualidade de vida (CFQ-R), ganho nutricional e redução das exacerbações pulmonares, com perfil de segurança favorável. Estudos de extensão e de vida real confirmam que esses benefícios são sustentados ao longo do tempo, reduzindo hospitalizações, uso de antibióticos intravenosos e a progressão da doença. A ampliação da indicação para variantes não-F508del responsivas é respaldada por evidências clínicas e funcionais que demonstram benefício consistente nesses pacientes. O tratamento precoce preserva a função pulmonar, reduz complicações e pode diminuir a necessidade futura de transplante pulmonar e outros procedimentos de alta complexidade. Os mais recentes documentos internacionais reforçam esse entendimento. Os **Standards of Care** da European Cystic Fibrosis Society (ECFS) destacam que os moduladores de CFTR transformaram o manejo da fibrose cística e recomendam que pacientes elegíveis tenham acesso às terapias modificadoras da doença. Da	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:
				mesma forma, a Cystic Fibrosis Foundation (CFF) mantém os moduladores de CFTR como componente essencial do tratamento, ressaltando que seu uso deve ser considerado para todos os pacientes com variantes responsivas. Essas recomendações refletem o consenso internacional de que os moduladores representam o atual padrão de cuidado para pacientes elegíveis. Cystic Fibrosis Foundation. Clinical Care Guidelines e CFTR Modulator Therapy Care Guidelines .,	

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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como amiga próxima de uma família que convive com a fibrose cística, acompanho de perto uma realidade muito difícil, marcada por desafios diários, sofrimento e muita luta. Estar ao lado deles me fez entender que essa doença não afeta apenas o paciente, mas toda a família, que vive em constante preocupação e dedicação., , A rotina é intensa e cansativa. São medicamentos, fisioterapia, consultas, exames e internações frequentes. Existe um esforço enorme para manter a saúde e a qualidade de vida, mas também um desgaste emocional profundo. Vejo de perto o medo constante de uma infecção, a angústia diante de cada piora e a força necessária para enfrentar cada obstáculo., , É impossível não se sensibilizar ao ver uma criança, um jovem ou um adulto lutando para respirar e tentando levar uma vida normal apesar de tantas limitações. E é ainda mais doloroso perceber o impacto disso sobre os pais e familiares, que muitas vezes abrem mão de trabalho, descanso e até da própria saúde para cuidar de quem amam., , Quando se trata de pacientes com mutações raras, a situação é ainda mais difícil. Saber que existem tratamentos inovadores, como o Trikafta, capazes de mudar o curso da doença, mas que ainda não estão acessíveis para todos, é algo que gera tristeza e indignação., , O Trikafta representa esperança real: menos internações, mais qualidade de vida, mais tempo e mais possibilidades para essas famílias. Sua incorporação ao SUS para pacientes com mutações raras é um ato de justiça, empatia e respeito à vida. Todos merecem a oportunidade de viver com dignidade e esperança.	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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou fisioterapeuta do Centro de Referência do Pará e trabalho com fibrose cística desde 1998. Jjá acompanhei e presenciei vários óbitos devido a insuficiência respiratória decorrente da evolução da doença pulmonar crônica, A Terapia que modula a proteína CFTR são, atualmente, sob a luz de evidências científicas, a terapia mais avançada para retardar a evolução e o aparecimento das complicações. Infelizmente, nem todos tiveram acesso a nova terapia. Nos últimos 6 meses perdemos duas pacientes jovens, de cidades de difícil acesso ao Centro de Referência, o que traz uma carga maior de tratamento, pelo deslocamento de várias horas e de dependência de TFD. Ambas tiveram o diagnóstico tardio aos 27 anos, com variante responsiva não-F508del, já incluídas nas bulas de outros países. Elas apresentavam quadro avançado da doença. A do Amapá, inclusive com indicação para transplante pulmonar. Ambas com VEF1 abaixo de 50%.. Manifestavam esperança em ter o acesso a nova terapia para desfrutarem de seus benefícios. Mas complicações respiratórias levaram as duas ao óbito. Uma durante a gravidez de risco, e não respondendo de forma satisfatória na internação hospitalar, foi submetida a cesárea de urgência e veio a falecer, posteriormente. Caso que trouxe muita comoção aos demais pacientes e familiares, mas também aos profissionais da equipe multiprofissional, que cuidam por anos estes pacientes. A nova terapia traz a expectativa de evoluções mais favoráveis, mesmo aqueles que já tem bastante complicação pulmonar, relatado nas pesquisas científicas. Lembrando que estamos num estado continental, como o Pará, com todas suas particularidades de transporte, infra estrutura dos serviços de saúde do interior e condições sociais e econômicas da população por nós atendida, e a possibilidade de melhorias clínicas, traz grandes benefícios na qualidade de vida, mas também menor procura por internações, atendimentos em unidades de urgência e emergência, transportes e gastos com saúde em geral.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor em pacientes acima de 6 anos com uma mutação F508del, Positivo e facilidades: Com a introdução dos moduladores de CFTR, vimos a mudança no curso da doença pulmonar de 38 pacientes acima de 6 anos de idade e com uma mutação de F508del em uso da terapia tripla, com redução de sintomas e relatos da melhora da qualidade de vida. Um caso me chama atenção é de um adulto jovem (27 anos atualmente), que teve diagnóstico tardio (com 9 anos), apresentando baixo peso e estatura e com sintomas respiratórios clássicos da fibrose cística, humor deprimido e que sempre aguardava a consulta agachado no corredor, posição que ficava mais confortável do quadro respiratório. Com o uso da terapia tripla, há 2 anos, obteve melhora radiológica, redução da tosse e da dispneia, aumento do VEF1 de 23% para 33,48%, ganho ponderal (4kg) e que hoje consegue frequentar a escola, evoluindo no desempenho acadêmico, além de desenvolver habilidades manuais na confecção de artesanatos, que auxilia na renda familiar. No primeiro ano de uso já houve redução do número de dias de tratamento de exacerbações. Hoje muito mais comunicativo com a equipe. Ganhos que não são mensuráveis. , Negativo e dificuldades: Meu relato é apenas quanto aos pacientes que não tem acesso ou sem indicação no momento a terapia tripla com moduladores, que mostram-se ansiosos e angustiados na possibilidade de se beneficiar dos efeitos positivos da medicação.	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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha amiga Cláudia, antes de usar trinkafta ficava internada com muita frequência e tinha extrema dificuldade laboral, tinha infecções recorrentes e após o uso da medicação não teve mais necessidade de internação, teve sua imunidade aumentada, sendo que não apresentou mais quadros de febres, infecção, prostração entre outros.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor – ETI) ao Sistema Único de Saúde (SUS) para o tratamento de pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos, com pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR responsiva ao medicamento, representa uma grande esperança para pessoas com fibrose cística que não apresentam a variante F508del. Essa expectativa é reforçada por evidências recentes de que ensaios funcionais em células FRT demonstraram responsividade ao ETI em 84% das 620 variantes não-F508del avaliadas, ampliando significativamente o número de pacientes potencialmente elegíveis para essa terapia (Castellani et al., AJRCCM, 2026), Sob a perspectiva clínica, negar acesso ao tratamento para pacientes cujas variantes possuem evidência de responsividade significa manter uma importante desigualdade terapêutica entre pessoas com a mesma doença, apesar da existência de um tratamento modificador da proteína CFTR capaz de alterar a história natural da fibrose cística.,	2ª - Sim, Qual: Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), Positivo e facilidades: Os pacientes que utilizaram a tecnologia apresentaram resultados positivos, com melhora significativa da função pulmonar, do estado nutricional, evidenciada por importante ganho de peso, e do estado geral de saúde. Também foi observada melhora na qualidade de vida, com redução dos sintomas respiratórios, diminuição da frequência de exacerbações e internações e maior capacidade para realizar atividades da vida diária. Muitos pacientes conseguiram retomar os estudos, ingressar ou retornar ao mercado de trabalho e recuperar sua autonomia e participação social. Além disso, em alguns casos, a melhora clínica foi tão expressiva que pacientes puderam sair da fila de transplante pulmonar, evidenciando o impacto transformador dessa terapia na evolução da fibrose cística., Negativo e dificuldades: Não houveram aspectos negativos	3ª - Sim, Qual: Com medicamentos como: Antibióticos, Alfa Dornase, Enzimas pancreáticas, suplementos nutricionais. Bem como o modulador Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), Positivo: A principal contribuição das outras tecnologias, como antibióticos, alfa dornase, enzimas pancreáticas e suplementos nutricionais, foi a melhora temporária dos sintomas, proporcionando melhor qualidade de vida durante o período de uso e auxiliando no controle das manifestações da doença. No entanto, seus efeitos são predominantemente sintomáticos e exigem uso contínuo. Em contraste, o Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) proporcionou uma melhora mais eficaz e duradoura, atuando na causa da doença em pacientes com variantes responsivas, com benefícios expressivos na função pulmonar, no estado nutricional, na qualidade de vida e na redução de exacerbações e internações., Negativo: Apesar da melhora inicial dos sintomas e da qualidade de vida, os benefícios observados foram limitados, uma vez que os pacientes continuavam necessitando de internações frequentes e o tratamento não era capaz de interromper a progressão da doença. Ao longo dos anos, foram registrados inúmeros casos de agravamento clínico e óbitos., Em contra partida o Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) proporcionou uma melhora mais eficaz e duradoura, sem aspectos negativos.,	4ª - * Ensaios em células FRT demonstraram responsividade ao ETI em 84% de 620 variantes não-F508del avaliadas (Castellani et al., AJRCCM 2026)., * Estudos de vida real franceses (Burgel et al., Lancet Respir Med 2024, ERJ 2023) demonstraram melhora clínica, funcional e no cloreto no suor em pacientes com variantes raras, incluindo R334W e R1066C — variantes com frequência relevante no Brasil mas ainda fora da bula., * Estudo brasileiro recente (Canan et al., J Bras Pneumol 2026, in press) demonstra efetividade e segurança de ETI especificamente em portadores de variantes não-F508del no Brasil., * A EMA aprovou em fevereiro de 2025 a extensão do uso para todos os pacientes com FC ? 2 anos sem duas variantes de classe I. O NHS seguiu em julho de 2025., * A ANVISA atualizou a bula do Trikafta®? incluindo mais de duzentas variantes não-F508del com evidência de resposta clínica ou in vitro.,	5ª - Não
Interessado no tema **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento deve ser incluído ao SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque é uma medicação muito importante porém muito cara se tornando impossível para muitas pessoas que estão precisando muito..	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como tio de uma pessoa com fibrose cística, acompanho de perto uma luta diária que vai muito além do que muitos conseguem enxergar. Conviver com essa doença dentro da família é carregar uma preocupação constante, um medo que nunca vai embora e uma dor silenciosa ao ver alguém que amamos enfrentar tantas dificuldades para viver., , A rotina é intensa e desgastante. São remédios, fisioterapia, consultas, exames e internações que muitas vezes interrompem a vida e os planos de toda a família. Ver meu sobrinho lutar para respirar, enfrentar limitações e passar por momentos tão difíceis é algo que corta o coração. E junto com isso vem o sofrimento de toda a família, que se desdobra física, emocional e financeiramente para garantir o melhor cuidado possível., , O impacto da fibrose cística não é só no paciente. Ela afeta todos nós. Vivemos em alerta, comemoramos pequenas vitórias e sofremos a cada piora. É doloroso perceber que, apesar de tantos avanços na medicina, pacientes com mutações raras ainda enfrentam barreiras para acessar tratamentos que podem transformar suas vidas., , O Trikafta representa esperança. Não é apenas um medicamento, é a possibilidade de menos internações, mais qualidade de vida, mais autonomia e mais tempo ao lado de quem amamos. Para famílias como a nossa, isso significa a chance de viver com menos sofrimento e mais esperança no futuro., , Por isso, a incorporação do Trikafta ao SUS para pacientes com mutações raras é uma questão de humanidade, justiça e dignidade. Nenhuma família deveria assistir alguém que ama perder qualidade de vida sabendo que existe um tratamento capaz de mudar essa história.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É essêncial para salvar vidas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A fibrose cística é uma doença genética rara, cruel e progressiva, que transforma a vida de toda uma família. Ela afeta principalmente os pulmões e o sistema digestivo, trazendo limitações diárias, infecções constantes, internações e uma rotina pesada de cuidados. Quem vive com essa doença luta todos os dias para respirar, para se alimentar e para ter uma vida que muitas vezes parece simples para os outros., , Mas a fibrose cística não atinge apenas o paciente. Ela atinge pais, avós, irmãos e todos que acompanham essa batalha de perto. Como avô, é impossível não sentir no coração a dor de ver alguém que amo enfrentando tanto sofrimento, tantas incertezas e tantas dificuldades, sem poder tirar esse peso de seus ombros., , O surgimento do medicamento Trikafta trouxe esperança real para milhares de famílias ao redor do mundo. Não é apenas um remédio, é a possibilidade de respirar melhor, de ter menos internações, de sonhar com um futuro mais longo e mais digno. É a chance de viver., , Por isso, é tão importante que pacientes com mutações raras também tenham acesso ao Trikafta. Cada caso é único, mas toda vida tem o mesmo valor. Nenhuma família deveria assistir ao sofrimento de quem ama sabendo que existe uma esperança possível, mas fora de alcance., , Como avô, meu pedido vem do amor, da esperança e da urgência. Que olhem para essas vidas com humanidade e deem a elas a oportunidade de lutar com mais força, mais dignidade e mais esperança.	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:
Pessoa com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, sou favorável por que eu sou beneficiado com o uso desta medicação e sei o quanto irá beneficiar também estas crianças, sem contar que quanto mais cedo usar, menos complicações terão	2ª - Sim, Qual: como o p´róprio Trikafta, Positivo e facilidades: melhorou sobremaneira minha condição de vida no dia a dia.... diminuiu uso de medicações, não precisei mais fazer fisioterapias e nem inalações diárias o que me deu liberdade de conduzir minha vida de forma mais facilitada, e creio que crianças usando o medicamento beneficiará muito mais daqueles que receberam em vida adulta, pois este medicamento impede complicações futuras, o que será favorável também ao Estado que não precisará dispensar muito mais medicamentos e muito menos internações, Negativo e dificuldades: não existem aspectos negativos, pois este medicamento só favoreceu muito a minha vida, a minha saúde e meu dia a dia	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque é uma medicação de extrema importância, para tratar a doença e seus sintomas, bem como trazer qualidade de vida para as crianças. Meu filho hoje é saudável, ganhou peso, tem independência e vive bem.	2ª - Sim, Qual: Meu filho faz uso quando adolescente e hoje é um adulto totalmente saudável, ganhou peso, tem uma frequência respiratória ótima, é independente e consegue fazer coisas básicas que antes se sentia cansado. Hoje ele tem qualidade de vida., Positivo e facilidades: Melhorou a respiração, ganhou peso, cresceu, aumentou o apetite, parou de tossir não tem mais secreção nem muco. , Negativo e dificuldades: Não teve nenhum aspecto negativo, só houve melhora.	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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou médico pneumologista pediátrico e coordenador de um Centro de Referência Fibrose Cística. Ao longo da minha trajetória profissional, acompanhei inúmeras transformações no tratamento da fibrose cística (FC), mas nenhuma comparável ao impacto proporcionado pelos moduladores de CFTR, especialmente pela combinação elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor., Tenho tido a oportunidade de observar diretamente os benefícios clínicos dessa terapia em pacientes com FC. Os resultados são extraordinários e superam amplamente aqueles observados com intervenções tradicionais. Um dos aspectos mais marcantes é a redução drástica das exacerbações e das internações hospitalares, que em muitos casos passam a ocorrer de forma rara ou praticamente inexistente. Isso representa não apenas melhora clínica, mas também menor sofrimento para pacientes e famílias e reduação da utilização de recursos do sistema de saúde e dos custos., Além dos benefícios respiratórios, observamos melhora significativa da qualidade de vida, da capacidade funcional, do estado nutricional, da participação social e do bem-estar geral dos pacientes. Muitos indivíduos que antes conviviam com limitações importantes passam a realizar atividades cotidianas de forma muito mais próxima da normalidade., Como médico que acompanha crianças, adolescentes e adultos jovens com FC, considero que estamos diante de uma mudança de paradigma. Pela primeira vez, dispomos de uma terapia capaz de modificar de forma substancial a história natural da doença. O impacto sobre a expectativa de vida e sobre as perspectivas futuras desses pacientes é algo sem precedentes na minha experiência clínica., Por esses motivos, considero fundamental que pacientes elegíveis com fibrose cística, inclusive aqueles sem a mutação F508del para os quais haja evidência de benefício e aprovação regulatória, tenham acesso a essa terapia transformadora. Trata-se de uma oportunidade de ampliar sobrevida, reduzir complicações e custos associados.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, incluindo pacientes não-F508del., Positivo e facilidades: Um dos aspectos mais marcantes é a redução drástica das exacerbações e das internações hospitalares, que em muitos casos passam a ocorrer de forma rara ou praticamente inexistente. Isso representa não apenas melhora clínica, mas também menor sofrimento para pacientes e famílias e reduação da utilização de recursos do sistema de saúde e dos custos., , Além dos benefícios respiratórios, observamos melhora significativa da qualidade de vida, da capacidade funcional, do estado nutricional, da participação social e do bem-estar geral dos pacientes. Muitos indivíduos que antes conviviam com limitações importantes passam a realizar atividades cotidianas de forma muito mais próxima da normalidade. Como médico que acompanha crianças, adolescentes e adultos jovens com FC, considero que estamos diante de uma mudança de paradigma. , , Al´´em do benefício observado em pacientes com a mutação F508del. Os estudo também demonstram o benefício em outras mutações raras, como no estudo abaixo citado. Inúmeros estudos e referências tem comprovado os resultados observados e descritos acima:, , - Impact of CFTR Modulators on Longitudinal Cystic Fibrosis Survival and Mortality: Review and Secondary Analysis, https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40646419/, , - Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor for cystic fibrosis and rare CFTR variants: in vitro translation to a phase 3, double-blind, randomized, placebo-controlled trial, and real-world study, https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/41738096/, Negativo e dificuldades: Possíveis efeitos adversos como elevação de enzimas hepáticas, mas são efeitos relativamente faceis de monitorar e controlar.	3ª - Sim, Qual: Ex: Alfadornase, Tobramicina inalatória, Positivo: São intervenções com um efeito benéfico mas limitado. Os moduladores como o ETI são a primeira intervenção que corrige o defeito básico da doença., Negativo: O efeito benéfico é limitado ao londo de alguns meses e as complicaçoes voltam inevitavelmente.	4ª - Embora a maioria dos pacientes apresente pelo menos uma cópia da mutação F508del, existe um grande número de variantes raras para as quais ainda há limitações de acesso a terapias moduladoras. O estudo de Castellani et al é o mais relevante e avaliou a eficácia e a segurança da combinação elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ELX/TEZ/IVA) em pacientes com FC portadores de variantes raras do CFTR e sem a mutação F508del. , Inicialmente, os pesquisadores analisaram 620 variantes raras em modelos laboratoriais e observaram que 84% delas responderam ao tratamento. Em seguida, realizaram um estudo clínico fase 3, randomizado, duplo-cego e controlado por placebo, envolvendo 307 pacientes com FC portadores de 18 variantes raras responsivas. Após 24 semanas de tratamento, os pacientes que receberam ELX/TEZ/IVA apresentaram melhora significativa da função pulmonar, com aumento de 9,2 pontos percentuais no VEF1 previsto e melhora de 19,5 pontos nos escores de qualidade de vida relacionados aos sintomas respiratórios. Também foram observados ganhos nutricionais e redução expressiva das exacerbações e internações. , Os resultados foram confirmados por um estudo de vida real que acompanhou 422 pacientes portadores de 82 variantes raras sem F508del. Nesse grupo, houve melhora sustentada da função pulmonar, aumento de peso e	5ª - A terapia tripla com elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) tem demonstrado benefícios econômicos substanciais ao reduzir complicações graves da fibrose cística, diminuindo a utilização de recursos de saúde e modificando a história natural da doença. Diversos estudos de vida real mostram que a melhora da função pulmonar e da nutrição é acompanhada por importante redução de exacerbações pulmonares, principal causa de internações e custos hospitalares. No registro alemão de fibrose cística, envolvendo mais de 2.600 pacientes, o uso de ETI reduziu as exacerbações pulmonares em aproximadamente 76% ao longo do primeiro ano de tratamento., , Dados brasileiros do monitoramento clínico do Trikafta® no SUS também demonstraram impacto expressivo na utilização de recursos, com redução de 64% das internações hospitalares e diminuição de 58% no uso de antibióticos intravenosos após o início do tratamento, refletindo menor necessidade de hospitalização por exacerbações respiratórias. Além disso, observou-se melhora significativa da função pulmonar e do estado nutricional dos pacientes., Estudos nacionais de registros da Itália mostraram redução aproximada de 65% nos

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:
				redução de 53% na taxa de exacerbações pulmonares após o início do tratamento. , O perfil de segurança foi consistente com o já conhecido para a terapia, sem identificação de novos sinais de risco. Os autores concluem que as evidências laboratoriais, clínicas e de vida real demonstram que o ELX/TEZ/IVA proporciona benefícios clínicos relevantes para pacientes com FC sem a mutação F508del, apoiando a ampliação do acesso ao tratamento para indivíduos portadores de variantes raras responsivas., , Referência: Castellani C et al. AJRCCM 2026, https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/41738096/,	dias de internação hospitalar após a introdução do ETI, mantendo-se esse benefício durante os dois primeiros anos de acompanhamento. , , Embora os estudos econômicos mostrem que o medicamento possui elevado custo de aquisição, os benefícios clínicos podem gerar economia indireta por meio da redução de internações, do uso de antibióticos intravenosos, de procedimentos complexos e da necessidade de cuidados intensivos. , , Referências: Sutharsan et al. Lancet Regional Health Europe, 2023, Salvatore et al. Journal of Clinical Medicine, 2026, Råket et al. Pulmonary Therapy, 2025, Programa de Monitoramento Clínico Trikafta/SUS, 2026.

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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Na qualidade de Presidente do Departamento Científico de Pneumologia da Sociedade Brasileira de Pediatria, manifesto meu apoio à ampliação do acesso ao Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (ETI) para pessoas com fibrose cística acima de 6 anos que não apresentam a variante F508del, mas que possuem variantes com evidência de resposta clínica, funcional ou laboratorial ao tratamento., , A fibrose cística no Brasil apresenta elevada heterogeneidade genética. Diferentemente de outros países, a proporção de pessoas com pelo menos uma variante F508del é inferior a 70%, o que deixa um grupo expressivo de pacientes brasileiros fora dos critérios iniciais de acesso aos moduladores CFTR. Essas pessoas, embora não portadoras da F508del, podem apresentar doença grave, com comprometimento nutricional, exacerbações respiratórias frequentes, internações recorrentes, perda progressiva da função pulmonar e importante impacto na qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: A combinação tripla de moduladores da proteína CFTR: Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (ETI) ., , Positivo e facilidades: Utilizamos o Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (ETI) em 2 crianças que compuseram a série brasileira multicêntrica com 34 pessoas com fibrose cística portadoras de variantes não-F508del, acompanhadas em sete centros de referência. Os nosso pacientes pediátricos, bem como, todos os pacientes apresentaram melhora em pelo menos um desfecho clínico após 12 a 16 semanas de tratamento. Houve redução dos sintomas respiratórios em todos os indivíduos, ganho de IMC em 88%, aumento de pelo menos 5% no VEF1 em 79,4% e redução do cloro no suor em 94% dos pacientes avaliados, sem eventos adversos significativos. , A melhora robusta da qualidade de vida foi vista nos casos em questão. Uma das pacientes encontrava-se internada, com uso de ventilação não invasiva e antibióticos de amplo espectro no momento do início do ETI. Em poucos dias a melhora foi evidente, com redução progressiva da necessidade de suporte ventilatório e de oxigênio e alta em evidente melhora do quadro clínico. Ambos os pacientes apresentaram recuperação nutricional e não hospitalizaram outras vezes após o início da terapêutica com ETI>, Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo até o momento. O monitoramento da função hepática, bem como, a acompanhamento clínico periódico destes pacientes, conferiram a segurança necessária para o uso do modulador triplo. Em nosso centro estamos com mais de 60 crianças em uso (sendo mais de 5 casos com variantes não-F508 del) sem nenhum vento adverso grave relatado.	3ª - Sim, Qual: Medicamentos de suporte: Salina hipertônica, Alfa dornase, Antibióticos para as exacerbações, Corticóides para as exacerbações, Enzimas pancreáticas (pancreatina), Antibióticos inalatórios (para os casos colonizados por bactérias mutlirresistentes), Dieta hipercalória, Vitaminas lipossolúveis (A,D,E,K), Soro fisiológico (prevenção das perdas de sal). Fisioterapia respiratória semanal., Positivo: Melhora parcial das exacerbações com redução pobre das hospitalizações, melhora parcial da desnutrição., Negativo: Em nenhum dos casos houve considerável ou duradoura resposta com redução das hospitalizações e/ou ganho nutricional satisfatório. Não se observou, de forma considerável, redução das colonizações pulmonares. Muitos pacientes, apresentavam formas graves da doença, mantinham padrão respiratório comprometido, dependência de oxigênio, perda importante da função pulmonar, atingindo critérios para transplante pulmonar.	4ª - As evidências nacionais recentemente publicadas reforçam de forma consistente o benefício do ETI nessa população. Em série brasileira multicêntrica com 34 pessoas com fibrose cística portadoras de variantes não-F508del, acompanhadas em sete centros de referência, todos os pacientes apresentaram melhora em pelo menos um desfecho clínico após 12 a 16 semanas de tratamento. Houve redução dos sintomas respiratórios em todos os indivíduos, ganho de IMC em 88%, aumento de pelo menos 5% no VEF1 em 79,4% e redução do cloro no suor em 94% dos pacientes avaliados, sem eventos adversos significativos., Esta experiência demonstrou redução substancial das exacerbações pulmonares e das hospitalizações após o início do ETI, com diminuição de 72,1% nas exacerbações tratadas ambulatorialmente e de 89,7% nas internações. Reforçando que a exacerbações respiratórias estão associadas à piora da função pulmonar, maior carga terapêutica, pior qualidade de vida e maior risco de mortalidade., Destaca-se que variantes frequentes no Brasil, como R334W, R1066C e A561E, demonstraram resposta clínica consistente ao ETI em estudos de vida real, mesmo quando a evidência laboratorial isolada era limitada ou discordante. Pacientes com essas variantes apresentaram melhora de função pulmonar, ganho nutricional e redução do cloro no suor, reforçando que a avaliação clínica individual e	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:
				os dados de vida real são fundamentais para populações geneticamente diversas como a brasileira. A exclusão automática de pacientes sem F508del, mesmo quando há evidência de responsividade ao ETI, aprofunda desigualdades no acesso a uma terapia transformadora. Do ponto de vista pediátrico e de saúde pública, não é razoável aguardar deterioração clínica irreversível, internações sucessivas ou perda nutricional importante para reconhecer o benefício de um tratamento que já demonstrou melhora respiratória, nutricional e de qualidade de vida.	

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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Manifesto-me favoravelmente à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para o tratamento de pessoas com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos, portadoras de pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR responsiva ao medicamento., , Na prática assistencial, observam-se resultados extremamente positivos entre as pessoas que já utilizam essa terapia, com melhora significativa do quadro clínico, da qualidade de vida e redução das exacerbações e das internações. Além disso, o tratamento proporciona maior autonomia aos pacientes e suas famílias, refletindo diretamente na continuidade das atividades escolares, sociais e laborais., , A ampliação do acesso a essa terapia representa um importante avanço na assistência às pessoas com fibrose cística, promovendo maior equidade no acesso ao tratamento e possibilitando que todos os pacientes elegíveis tenham a oportunidade de usufruir dos benefícios clínicos e da melhora na qualidade de vida já observados na prática assistencial.	2ª - Sim, Qual: elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Na minha atuação como assistente social no Centro de Referência em Fibrose Cística do Estado de Mato Grosso do Sul, acompanho pacientes que fazem uso da tecnologia elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor e tenho observado impactos muito positivos em sua qualidade de vida., , Entre os principais aspectos percebidos estão a redução das internações e das exacerbações, refletindo em maior estabilidade clínica e menor necessidade de afastamentos das atividades cotidianas. Também é possível observar melhora na autonomia dos pacientes, maior participação nas atividades escolares e de trabalho, além da redução da sobrecarga vivenciada pelas famílias, que passam a demandar menos deslocamentos para atendimentos de urgência e hospitalizações., , Do ponto de vista social, a tecnologia contribui para maior inclusão, fortalecimento dos vínculos familiares e sociais e ampliação das perspectivas de estudo, trabalho e planejamento de vida. Esses resultados têm repercussão não apenas na saúde dos pacientes, mas também em seu bem-estar e na qualidade de vida de todo o núcleo familiar., , Pela experiência vivenciada no serviço de referência, considero que a ampliação do acesso a essa tecnologia representa um importante avanço para a assistência às pessoas com fibrose cística, permitindo que um maior número de pacientes elegíveis possa se beneficiar dos resultados positivos já observados na prática assistencial., Negativo e dificuldades: Não identifiquei aspectos negativos relacionados à tecnologia. Entretanto, observo que a ausência de acesso ao elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pacientes elegíveis pode acarretar importantes prejuízos, como a manutenção da progressão da doença, maior frequência de exacerbações e internações, comprometimento da qualidade de vida e aumento da sobrecarga para as famílias., , Na prática do Serviço Social, também são percebidos impactos sociais decorrentes da não utilização da tecnologia, como maior dificuldade para a manutenção das atividades escolares e laborais, necessidade de deslocamentos frequentes para tratamento e maior dependência da rede de apoio. Dessa forma, a ampliação do acesso ao medicamento representa uma oportunidade de promover maior equidade no cuidado e melhores perspectivas de saúde e qualidade de vida para as pessoas com fibrose cística.	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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Um bebê, filho de amigos meus, apresentou mudanças extremamente positivas após o uso dos medicamentos elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor., , Em apenas um mês de tratamento, ele ganhou mais de 1 kg, entrando na curva de crescimento esperada para a idade. A necessidade de nebulizações, que antes era de cerca de quatro vezes ao dia, sempre acompanhadas de fisioterapia respiratória, foi reduzida para apenas uma aplicação diária., , Além disso, o sódio no suor, que anteriormente era superior a 93 mmol/L, reduziu para 41 mmol/L, indicando a normalização da perda de sal., , Ele também deixou de apresentar cansaço, passando a correr, brincar e se desenvolver com muito mais disposição. Outro resultado muito importante foi a ausência de novos episódios de pneumonia., , Essas são apenas algumas das melhorias observadas com o tratamento. Se puder responder ao questionário, sua participação será de grande importância. Muito obrigado!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Um bebê, filho de amigos meus, apresentou mudanças extremamente positivas após o uso dos medicamentos elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor., , Em apenas um mês de tratamento, ele ganhou mais de 1 kg, entrando na curva de crescimento esperada para a idade. A necessidade de nebulizações, que antes era de cerca de quatro vezes ao dia, sempre acompanhadas de fisioterapia respiratória, foi reduzida para apenas uma aplicação diária., , Além disso, o sódio no suor, que anteriormente era superior a 93 mmol/L, reduziu para 41 mmol/L, indicando a normalização da perda de sal., , Ele também deixou de apresentar cansaço, passando a correr, brincar e se desenvolver com muito mais disposição. Outro resultado muito importante foi a ausência de novos episódios de pneumonia., , Essas são apenas algumas das melhorias observadas com o tratamento. Se puder responder ao questionário, sua participação será de grande importância. Muito obrigado!	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Estudos clínicos mostram que os moduladores de CFTR trazem melhora importante na função pulmonar, reduzem as crises respiratórias e diminuem as internações em pessoas com fibrose cística. Também há melhora na qualidade de vida e no dia a dia dos pacientes, principalmente quando o tratamento começa mais cedo, ajudando a retardar a progressão da doença. Além disso, esses benefícios acabam gerando impacto positivo para o sistema de saúde, já que reduzem gastos com internações, antibióticos intravenosos e possíveis transplantes. Por isso, trata-se de um tratamento que não só melhora a saúde dos pacientes, mas também pode representar economia para o SUS a longo prazo.	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 **03/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Fibrose cística é causada por centenas de variantes no gene CFTR, cuja distribuição varia conforme a composição demográfica de cada país. No Brasil, a diversidade genética é particularmente relevante: dados do REBRAF 2023 mostram que a variante F508del, embora seja a mais frequente, corresponde a 50,7% dos alelos identificados, frequência inferior à observada em populações norte-americanas e europeias. Entre os indivíduos genotipados no REBRAFC, 922 pessoas apresentam duas variantes sem F508del, correspondendo a 17,49% dos casos com genotipagem registrada., , A bula recentemente atualizada do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) na Anvisa ampliou a indicação para pessoas com FC maiores de 6 anos com variantes raras não F508del responsivas ao tratamento. Assim, embora o número exato dependa da combinação genotípica individual, da idade e da presença de variantes listadas na bula, os dados brasileiros indicam que centenas de pessoas com FC no país podem ser potencialmente beneficiadas pela incorporação dessa indicação ao SUS. A elegibilidade ao tratamento com ETI deve se basear na responsividade funcional da variante ao modulador, e não apenas na presença da F508del. A baixa frequência de muitas variantes raras dificulta a realização de ensaios clínicos tradicionais, mas não significa ausência de benefício. Estudos funcionais, dados clínicos e experiências internacionais já fundamentaram a aprovação regulatória para múltiplas variantes não F508del responsivas., , Restringir o acesso no SUS apenas aos pacientes com F508del cria uma desigualdade genética injustificada, excluindo pacientes que têm a mesma doença grave, progressiva e multissistêmica, e que podem responder ao tratamento. A incorporação para variantes não F508del responsivas representa um avanço em medicina personalizada, permitindo que o tratamento seja definido pelo potencial de resposta da variante genética, e não ela sua frequência na população.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Uso do ETI para pacientes portadores de pelo menos uma variante F508del, Positivo: Desde o início da utilização do ETI em nosso ambulatório, observamos mudanças expressivas na evolução clínica dos pacientes elegíveis. Na prática clínica, verificamos uma redução acentuada das exacerbações pulmonares, tanto das formas leves, tratadas com antibióticos orais, quanto das exacerbações graves, que anteriormente frequentemente resultavam em internações hospitalares para antibioticoterapia intravenosa prolongada. Essa redução representa um benefício importante para os pacientes, suas famílias e para o próprio sistema de saúde., Também observamos maior estabilidade clínica, permitindo ampliar o intervalo entre as consultas ambulatoriais de muitos pacientes. Além de refletir melhor controle da doença, essa mudança reduziu o impacto do tratamento sobre a rotina familiar, diminuindo a necessidade de deslocamentos frequentes aos centros especializados, as faltas escolares das crianças e o afastamento dos pais de suas atividades profissionais, favorecendo também a adesão ao acompanhamento e ao tratamento., Outro benefício evidente foi a melhora do estado nutricional. Muitos pacientes apresentaram recuperação ponderal e melhor evolução do crescimento, permitindo, em alguns casos, reduzir ou até suspender a necessidade de suplementação nutricional., A melhora clínica também possibilitou reduzir, em diversos pacientes, a necessidade de terapias de uso contínuo, como antibióticos inalatórios, mucolíticos e outras medidas de suporte, diminuindo a carga terapêutica e o impacto do tratamento sobre a qualidade de vida das famílias., Esses resultados têm sido observados de forma consistente em nossa experiência assistencial e são compatíveis com as evidências descritas na literatura científica e em estudos de vida real. Em nossa experiência, o ETI modificou significativamente a evolução clínica da fibrose cística, reduzindo a carga da doença e proporcionando melhor qualidade de vida aos pacientes e suas famílias., , Negativo: Em nossa experiência assistencial, a principal dificuldade observada durante o uso do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) esteve relacionada à interrupção temporária ou à descontinuidade do tratamento, seja por dificuldades de acesso ao medicamento ou pela	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:
			necessidade de suspensão em situações específicas. Nesses casos, foi frequente a perda dos benefícios clínicos previamente alcançados, principalmente com recrudescimento dos sintomas respiratórios e aumento da necessidade de intervenções terapêuticas, reforçando a importância da manutenção contínua da terapia., Também foram observados eventos adversos relacionados ao tratamento, em geral de intensidade leve e compatíveis com o perfil de segurança descrito nos estudos clínicos e na experiência de vida real. Na maioria dos casos, esses eventos puderam ser manejados de forma conservadora, com medidas de suporte, ajuste temporário da dose ou acompanhamento clínico, sem necessidade de suspensão definitiva da medicação., De modo geral, os benefícios clínicos observados superaram amplamente os eventos adversos identificados, mantendo uma relação benefício-risco altamente favorável para os pacientes elegíveis.		

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A AMUCORS considera a incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta®) para pessoas com fibrose cística portadoras de mutações raras responsivas uma medida de extrema importância, baseada em princípios científicos, éticos, constitucionais e de justiça social. As pessoas com mutações raras representam uma pequena parcela da população com fibrose cística e, justamente por isso, enfrentam ainda mais dificuldades para ter acesso à pesquisa, à inovação e às tecnologias em saúde. A raridade da mutação genética não pode resultar em menor proteção do Estado nem em menor acesso aos avanços da medicina. Ao contrário, é exatamente essa condição de maior vulnerabilidade que exige a aplicação do princípio da equidade, um dos pilares do Sistema Único de Saúde. A experiência da AMUCORS demonstra que viver com fibrose cística já impõe desafios diários às pessoas e às suas famílias. Quando o paciente possui uma mutação rara responsiva, negar o acesso a uma terapia capaz de atuar sobre a causa da doença significa ampliar uma desigualdade que poderia ser evitada. Além disso, as evidências científicas atualmente disponíveis, incluindo estudos funcionais de responsividade e metodologias internacionalmente reconhecidas para avaliação de mutações raras, demonstram que esses pacientes podem se beneficiar da terapia com moduladores da CFTR. A impossibilidade de realizar grandes ensaios clínicos para cada mutação específica decorre da própria raridade dessas variantes e não da ausência de benefício clínico. Acreditamos que a decisão da CONITEC deve considerar o impacto transformador que essa terapia pode proporcionar. Para quem convive com uma doença rara, grave, progressiva e sem cura, ter acesso a um tratamento que modifica a evolução da doença significa preservar a função pulmonar, reduzir hospitalizações, aumentar a qualidade de vida e oferecer perspectivas de futuro que, até poucos anos atrás, eram inalcançáveis. O direito à vida nao pode se restringir à mutação ser rara.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Na experiência da AMUCORS, o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta®) representa o maior avanço terapêutico já observado no tratamento da fibrose cística. Ao acompanhar pacientes que tiveram acesso ao medicamento, a associação constatou benefícios clínicos significativos e uma mudança expressiva na qualidade de vida dos pacientes e de suas famílias. Melhora da função respiratória, com redução da tosse, da produção de secreções e maior facilidade para respirar, , Ganho de peso e melhora do estado nutricional, refletindo uma melhor absorção e utilização dos nutrientes, umento da disposição para as atividades diárias, prática de exercícios físicos e participação em atividades escolares e profissionais, Melhora da qualidade de vida, da autonomia e do bem-estar físico e emocional dos pacientes, Maior esperança em relação ao futuro, com perspectiva de preservação da função pulmonar e aumento da expectativa de vida. associação observa que muitos pacientes passaram a viver uma rotina antes inimaginável para quem convive com a fibrose cística: menos hospitalizações, menos limitações impostas pela doença e maior participação na vida escolar, profissional e social. Embora reconheça que cada paciente responde de forma individual ao tratamento, a experiência acumulada pela AMUCORS demonstra que o Trikafta tem potencial para modificar a história natural da fibrose cística, atuando sobre a causa da doença e não apenas no controle de suas complicações. Essa mudança de paradigma representa um ganho incomparável para as pessoas elegíveis ao tratamento. Para a AMUCORS, o maior benefício do medicamento é devolver às pessoas com fibrose cística a possibilidade de viver com mais saúde, autonomia, dignidade e esperança, permitindo que crianças cresçam, adolescentes façam planos e adultos possam estudar, trabalhar, constituir família e participar plenamente da sociedade., Negativo e dificuldades: Na experiência da AMUCORS, essa é uma resposta muito forte e coerente: o principal aspecto negativo não é o medicamento, mas a dificuldade de acesso a ele. Na experiência da AMUCORS, não foram observados aspectos negativos relevantes relacionados ao uso do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta®) que superem seus benefícios clínicos para os pacientes elegíveis. O principal aspecto negativo vivenciado pelas pessoas com fibrose cística e por suas famílias é a dificuldade de acesso ao medicamento. A demora na incorporação e na disponibilização da terapia faz com que muitos pacientes permaneçam expostos à progressão de uma doença grave, genética, rara e irreversível, perdendo uma oportunidade valiosa de preservar sua função pulmonar, seu estado nutricional e sua qualidade de vida. Na fibrose cística, o tempo é um fator deerminante. Cada atraso no	3ª - Sim, Qual: A AMUCORS e os pacientes acompanhados pela associação já tiveram acesso às tecnologias atualmente disponibilizadas para o tratamento da fibrose cística, incluindo antibióticos inalatórios, como a tobramicina, Colistimetato, medicamentos mucolíticos, como a dornase alfa (Pulmozyme®), reposição de enzimas pancreáticas, suporte nutricional e outras terapias de suporte previstas nos protocolos assistenciais., Positivo: Esses tratamentos foram e continuam sendo fundamentais para o cuidado das pessoas com fibrose cística, contribuindo para o controle de infecções, redução da viscosidade das secreções, melhora do estado nutricional e manejo das complicações da doença., Negativo: A experiência da AMUCORS demonstra que essas terapias atuam principalmente no tratamento das manifestações e complicações da fibrose cística, sem modificar sua causa genética ou impedir a progressão natural da doença. Apesar de todos os avanços proporcionados por essas tecnologias, muitos pacientes continuaram apresentando perda progressiva da função pulmonar, infecções respiratórias recorrentes, internações frequentes e comprometimento da qualidade de vida.	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:
		início de uma terapia modificadora da doença pode resultar em danos permanentes aos pulmões e a outros órgãos, aumentando o risco de infecções, internações e complicações que poderiam ser evitadas ou minimizadas. A associação acompanha diariamente famílias que convivem com a angústia de saber que existe um tratamento eficaz, capaz de modificar a evolução da doença, mas que ainda não está acessível a todos os pacientes elegíveis pelo Sistema Único de Saúde. Assim, na experiência da AMUCORS, o maior prejuízo não está no medicamento, mas na falta de acesso a ele. Garantir o tratamento no momento oportuno significa oferecer às pessoas com fibrose cística a possibilidade de viver mais, com melhor qualidade de vida, menos complicações e maior dignidade.			

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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pai de uma menina de 4 anos com fibrose cística. Ela possui as variantes G85E e 875+1G>A. No nosso caso, existe uma complexidade especialmente dolorosa: embora a variante G85E esteja incluída nesta análise atual, a indicação em avaliação contempla apenas pacientes a partir de 6 anos. Isso significa que, mesmo que haja uma decisão final favorável, como sinceramente espero, minha filha, que já vive há 4 anos sem acesso a esse tratamento, ainda poderá ter que esperar quase 2 anos para se beneficiar pelo SUS de um medicamento que já é indicado para sua variante e para sua faixa etária por importantes agências regulatórias internacionais, como FDA e EMA. Compreendo que a CONITEC analisa a demanda dentro dos limites da submissão apresentada e que os pedidos de novas ampliações regulatórias dependem especialmente da própria empresa demandante. Ainda assim, é impossível ignorar o impacto concreto dessa limitação para crianças como a minha filha: ela tem uma variante responsiva, já reconhecida nesta análise, mas continuará excluída do acesso público apenas por ainda não ter completado 6 anos. NA FIBROSE CÍSTICA, ESPERAR NÃO É NEUTRO. Tempo é função pulmonar, é nutrição, é desenvolvimento e é qualidade de vida. Cada ano sem tratamento modificador da doença pode significar progressão pulmonar, piora nutricional, novas complicações, maior carga de tratamento e danos que talvez não possam ser totalmente revertidos no futuro. Nossa família convive com a realidade de uma doença grave, progressiva e imprevisível. Por isso, além de apoiar integralmente a incorporação do Trikafta para pacientes com 6 anos ou mais com variantes raras responsivas, peço que se avance com urgência também na ampliação do acesso para crianças menores que já possuem variante responsiva e indicação terapêutica reconhecida internacionalmente. Qual pai não desejaria isso para sua filha?	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Medicações: Alfadornase, Salbutamol spray, salina 3%, soro oral, antibiótico Rifampicina suspensão, antibiótico Sulfametoxazol + trimetropin supensão, Clorexidina solução degermante a 2%, Mupirocina pomada, Vitadek, , , Procedimentos: Fisioterapia respiratória, elastase fecal, espirometria, ultra + elastografia, tomografia do tórax, teste do suor, cultura de escarro e swab, exames laboratoriais , , Produto: sal adicional na comida (2 g no almoço e 2 g na janta), , , Positivo: Minha filha teve um primeiro teste do pezinho positivo, seguido de um segundo resultado negativo. Aos 5 meses de vida, após uma virose, seu quadro de saúde piorou muito. Ela chegou a receber diagnóstico de Síndrome de Bartter e precisou ser internada em UTI, até que houve suspeita de fibrose cística e o teste genético confirmou o diagnóstico. Desde então, as terapias e cuidados convencionais passaram a fazer parte da rotina da nossa família e eles são muito importantes e reconheço o papel que eles têm no tratamento da fibrose cística. Eles ajudam a manter a hidratação, repor perdas de sal, auxiliar na eliminação de secreções, reduzir riscos de complicações e dar algum controle à rotina da doença. Por isso, considero que esses tratamentos têm aspectos positivos relevantes. No entanto, apesar de importantes, essas terapias não resolvem a fibrose cística. Elas ajudam a tratar e controlar consequências da doença, mas não atuam diretamente na causa. Por isso, mesmo com todos esses cuidados, a doença continua exigindo atenção constante e pode continuar progredindo., Negativo: Os principais aspectos negativos das terapias convencionais para fibrose cística estão na sobrecarga da rotina, no impacto sobre a infância da criança e na limitação desses tratamentos diante de uma doença progressiva. No caso da Atiê, que tem apenas 4 anos, o tratamento exige cuidados todos os dias e significa que a doença ocupa um espaço muito grande na vida dela e de toda a nossa família, mesmo quando ela está aparentemente bem. Essas terapias demandam tempo, disciplina, organização e vigilância permanente. Para uma criança pequena, é difícil crescer com tantos cuidados obrigatórios. Para os pais, é muito angustiante viver tentando prevenir a próxima piora, a próxima crise ou uma nova internação. Outro aspecto	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:
			negativo é que esses tratamentos não corrigem a causa da fibrose cística. Eles são necessários, mas funcionam como suporte: ajudam a lidar com sintomas, perdas de sal, secreções, infecções e complicações. Porém, não modificam o curso da doença. A história da Atiê mostra como a fibrose cística pode ser grave desde muito cedo. Ainda bebê, ela já enfrentou piora importante e internação em UTI. Isso demonstra que, mesmo com cuidado e acompanhamento, a doença pode ser agressiva e imprevisível. Por isso, embora as terapias convencionais sejam indispensáveis, elas também mostram seus limites. Elas ajudam, mas não bastam. Nossa família continua convivendo com medo, insegurança e preocupação com a progressão da doença. O maior aspecto negativo é justamente esse: fazer tudo o que está ao nosso alcance e, ainda assim, saber que a fibrose cística pode continuar avançando enquanto o Trikafta que atua na causa da doença ainda não está disponível pelo SUS para todos os pacientes responsivos., ,		
Interessado no tema **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Se tem algo que possa ser usado para melhorar a condição física de pessoas que tem fibrose, acredito que tenha que ser usado	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **04/07/2026**	1ª - Não acho que deve ser incorporada no SUS, A Fibrose Cística é uma condição altamente impactante na qualidade de vida do paciente e de sua família. Como se trata de uma doença genética e hereditária quanto mais cedo for diagnosticada e mais cedo se iniciar o tratamento melhor previsibilidade de controle da doença, qualidade de vida do paciente e da família, menos custos de futuras internações hospitalares, minimização da doença afetar outros órgãos e ampliar o impacto com outras doenças. As variantes das mutações genéticas são bastante variáveis de pessoa para pessoa e assim se faz necessário ampliar o alcance do tratamento, incluindo variantes não 508del do gene CFTR. Com isso teremos pacientes que até o momento não encontram um tratamento adequado, eficaz e seguro para a Fibrose Cística. As variantes não 508del estão presentes em diversos pacientes que não encontram um tratamento para melhorar a qualidade de vida.	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 **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Penso que mudará a vida de muitas pessoas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu tenho fibrose cística e sei, na pratica, o quanto o acesso aos medicamentos faz diferença na vida de quem convive com uma doença rara. O Trikafta representa uma esperança real de mais saúde, qualidade de vida e um futuro melhor para muitas pessoas, inclusive para mim. No entanto, esse e outros medicamentos para doenças raras têm um custo muito alto, o que impede que muitas famílias consigam o tratamento. Acredito que o SUS deve garantir esse acesso, porque a saúde é um direito de todos. Disponibilizar esses medicamentos significa oferecer mais dignidade, igualdade de oportunidades e a chance de viver melhor para milhares de pessoas.	2ª - Sim, Qual: Tricafta , Positivo e facilidades: Ouvir relatos de outros fibrosisticos que conseguiram a medicação de forma judicial, todos eles me relataram que tiveram uma grande melhora em suas funções pulmonares, no seu cotidiano, conseguindo fazer atividade física, sair de casa sem medo ou com receio de do nada ter uma recaída, todos eles relataram que a qualidade de vida deles melhorou em 100% de tipo assim eles poderem agir e interagir como pessoas relativamente comum na sociedade, sem preocupações., Negativo e dificuldades: Nem um apenas reações normais ao se tomar um medicamento novo, nosso corpo ele leva um tempo até digerir novas substâncias.	3ª - Sim, Qual: Sim tenho uso continuo de pulmozime, pancrealipase, tobramicina, entre outras usadas pelos portadores de fibrose Cística, todas fornecidas pelo SUS., Positivo: Todas muito positivas, e muito necessárias para conseguir ter o mínimo de (dignidade) qualidade de vida., Negativo: Nem um.	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica (SBGM) e a Sociedade Brasileira de Pediatria (SBP), optaram por fazer a contribuição a esta Consulta pública em conjunto., Nossos comentários estão em anexo.	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA, Positivo e facilidades: A Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica (SBGM) e a Sociedade Brasileira de Pediatria (SBP), optaram por fazer a contribuição a esta Consulta pública em conjunto., Nossos comentários estão em anexo., Negativo e dificuldades: A Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica (SBGM) e a Sociedade Brasileira de Pediatria (SBP), optaram por fazer a contribuição a esta Consulta pública em conjunto., Nossos comentários estão em anexo.	3ª - Sim, Qual: A Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica (SBGM) e a Sociedade Brasileira de Pediatria (SBP), optaram por fazer a contribuição a esta Consulta pública em conjunto., Nossos comentários estão em anexo., Positivo: A Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica (SBGM) e a Sociedade Brasileira de Pediatria (SBP), optaram por fazer a contribuição a esta Consulta pública em conjunto., Nossos comentários estão em anexo., Negativo: A Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica (SBGM) e a Sociedade Brasileira de Pediatria (SBP), optaram por fazer a contribuição a esta Consulta pública em conjunto., Nossos comentários estão em anexo.	4ª - A Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica (SBGM) e a Sociedade Brasileira de Pediatria (SBP), optaram por fazer a contribuição a esta Consulta pública em conjunto., Nossos comentários estão em anexo.	5ª - A Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica (SBGM) e a Sociedade Brasileira de Pediatria (SBP), optaram por fazer a contribuição a esta Consulta pública em conjunto., Nossos comentários estão em anexo., , Tambem em anexo carta enviada a Industria Farmaceutica referente a aspectos econômicos.

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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pai de uma filha com fibrose cistica, ela tem 34 anos e duas mutações raras, sendo uma delas a P205S. Minha filha está fazendo uso de trikafta a cerca de um ano e a vida dela mudou radicalmente! Antes do Trikafta ela tinha tosse crônica, infecções respiratórias recorrentes, sinusite crônica (submetida a processo cirúrgico por conta disso), cansaço rápido ao esforço e tinha uma rotina intensa de tratamentos com outras medicações (alfadornase e azitromicina) e fisioterapia respiratória. Após uso do trikafta ela já não tosse mais, os outros medicamentos ja está retirando da rotina e a fisioterapia respiratória também diminuiu bastante, com expectativa de tirar todas as outras medicações de vez. Nos exames de função pulmonar teve um aumento de VEF1 de 46% para 54% e os de imagens mostram redução importante das alterações inflamatórias e infecciosas. Por tudo isso, o Trikafta deve ser incorporado ao SUS, não só para minha filha mas para todos os pacientes com Fibrose Cistica, para que possam ter uma boa qualidade de vida!	2ª - Sim, Qual: O Trikafta é um modulador genético que atua diretamente no gene defeituoso CFTR, fazendo com que ele volte a funcionar de forma correta. Com isso ele praticamente elimina todos os sintomas da fibrose cística e garante uma boa qualidade de vida e uma perspectivia de futuro melhor!, Positivo e facilidades: Todos os apectos foram positivos. Passou a ter condições para trabalhar, contribuindo com seus conhecimentos científicos, para a sociedade. Possibilitou uma carga de atividades físicas mais intensa, sem o cansaço anterior, melhorando sua qualidade de vida. Passou a ter melhores condições de saúde para cuidar da sua filha de 3 anos., Negativo e dificuldades: Não percebemos pontos negativos, só o fato da medicação ainda não fazer parte do SUS.	3ª - Sim, Qual: Ela fazia uso de alfadornase e azitromicina de formas contínuas, ambas conseguimos pelo SUS., Positivo: Eram as únicas medicações disponíveis para a Fibrose Cistica, mas são medicações paliativas, onde controlavam um pouco os sintomas, mas eles existiam e a doença continuava progredindo mesmo com o uso delas., Negativo: As outras medicações não são moduladores genéticos, então não resolviam o problema, só ajudavam um pouco nos sintomas. Elas não têm o poder de atuar de forma direta no gene CFTR.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ja é sabido por todos e com evidências científicas comprovadas que o uso da medicação traz e aumenta a qualidade de vida significativamente, dando condicoes da pessoa (usuario) viver de forma mais digna. , Nesse sentido, quanto antes as crianças fizerem uso, melhor e menos agravos eles terão no decorrer da vida. , Tenho um netinho com FC e é desesperador imaginar q algo possa vir a acontecer, assim como pra todas as cirancas na faixa etaria menor q seis anos. Concordo plenamente com o uso liberado pelo SUS	2ª - Sim, Qual: Com pesquisas sobre varios temos e formularios ligas a qualificações do SUS, Positivo e facilidades: Que de fato são opiniões importantes e levadas a serio!, Negativo e dificuldades: Não percebi nenhum ate o momento	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação deve ser acessível a todos , não somente a quem pode pagar.	2ª - Sim, Qual: Tricafta , Positivo e facilidades: Eu tenho a minha menina que usando o Tricafta teve muita melhora na saturação, voltou a tomar banho sem oxigênio, andar de bicicleta e interagir com as pessoas , ter disposição graças ao Tricafta., Negativo e dificuldades: Alto custo	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 **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O uso da terapia tripla em outras mutações responsivas já mostram resultados benéficos fora do país, trazendo efeitos semelhantes e positivos assim como para os que tem mutação F508del.,	2ª - Sim, Qual: Terapia moduladora Elexacaftor + Tezavaftor + Ivacaftor., Positivo e facilidades: Paciente com mais qualidade de vida., Negativo e dificuldades: O acesso ao medicamento que não está disponível amplamente via SUS.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho uma filha com fibrose cistica, ela tem 34 anos e duas mutações raras, sendo uma delas a P205S. Minha filha está fazendo uso de trikafta a cerca de um ano e a vida dela mudou! Antes ela tinha tosse crônica, infecções respiratórias recorrentes, sinusite crônica (já precisou fazer cirurgia para tratar a sinusite), cansaço rápido ao esforço e tinha uma rotina intensa de tratamentos com outras medicações (alfadornase e azitromicina) e fisioterapia respiratória. Depois do trikafta ela já não tosse mais, os medicamentos ja está retirando da rotina e a fisioterapia respiratória também diminuiu bastante, com expectativa de tirar todas as outras medicações de vez. Nos exames de função pulmonar teve um aumento de VEF1 de 46% para 54% e os de imagens mostram redução importante das alterações inflamatórias e infecciosas. Então sim, o Trikafta deve ser incorporado ao SUS para minha filha e todas as outras pessoas com Fibrose Cistica poderem viver esse verdadeiro milagre que é esta medicação! Agora podemos ver um futuro melhor para minha filha, com uma boa qualidade de vida!	2ª - Sim, Qual: Minha filha faz uso do Trikafta há cerca de um ano, e como já descrevi anteriormente, a vida dela mudou para melhor depois dele. O Trikafta é um noduladkr genético que atua diretamente no gene defeituoso CFTR, fazendo com que ele volte a funcionar de forma correta. Com isso ele diminuiu todos os sintomas da fibrose cística e garante uma boa qualidade de vida e uma perspectivia de futuro melhor!, Positivo e facilidades: "Só percebemos pontos positivos na vida da minha filha. Seus sintomas sumiram todos, hoje ela pode fazer exercícios mais intensos sem se cansar rápido, ela tem uma vida ""normal"" onde ela trabalha e também pode cuidar melhor da sua filha de 3 anos!", Negativo e dificuldades: Nenhum ponto negativo!	3ª - Sim, Qual: Ela fazia uso de alfadornase e azitromicina de formas contínuas, ambas conseguimos pelo SUS. , Positivo: Eram as únicas medicações disponíveis para a Fibrose Cistica, mas são medicações paliativas, onde controlavam um pouco os sintomas, mas eles existiam e a doença continua a progredindo mesmo com o uso delas., Negativo: As outras medicações não são moduladores genéticos, então não resolviam o problema, só ajudavam um pouco nos sintomas. Elas não têm o poder de atuar de forma direta no gene CFTR.	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 **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como nutricionista que acompanha regularmente crianças e adolescentes com fibrose cística, observo que a manutenção do estado nutricional adequado é um dos principais determinantes da evolução clínica, estando diretamente relacionada à função pulmonar, à imunidade, ao crescimento, ao desenvolvimento e à qualidade de vida. Na prática assistencial, pacientes que recebem moduladores da CFTR apresentam melhora do apetite, da absorção de nutrientes, do ganho ponderoestatural e da composição corporal, além de redução das exacerbações e das internações, favorecendo uma recuperação nutricional mais consistente e diminuindo a complexidade do cuidado. Estender o acesso ao elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor aos pacientes com idade igual ou superior a 6 anos portadores de variantes não-F508del comprovadamente responsivas representa uma oportunidade de oferecer um tratamento baseado na medicina de precisão, com potencial para modificar a história natural da doença e reduzir suas complicações. Por esses motivos, manifesto meu parecer favorável à incorporação dessa tecnologia no Sistema Único de Saúde, por considerar que seus benefícios clínicos e nutricionais são relevantes e têm impacto direto na sobrevida e na qualidade de vida desses pacientes.	2ª - Sim, Qual: Com o uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor , Positivo e facilidades: Observo melhora considerável do estado nutricional dos pacientes. , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso.	3ª - Sim, Qual: Uso de suplementos alimentares os quais não estão disponíveis para todos os pacientes. , Positivo: Observo melhora considerável do estado nutricional dos pacientes. , Negativo: Não observei pontos negativos	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Direito para todos, um remédio que veio para melhorar a qualidade de vida trazendo futuro para muitos que tem fibrose cistica, antes desse medicamento meu futuro era incerto agora se o mesmo for incorporado pelo SUS saberei que terei a possibilidade de anos de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com a Claudia, colega de trabalho, e antes da medicação ela vivia internada, tossia muito, ficava muito doente, precisava muito mais do oxigênio e não aguentava fazer quase nada, precisava faltar muito do trabalho. Depois da medicação a melhora foi visível. Ela tem mais disposição para família e trabalho, usa o oxigênio porém muito menos, não ficou mais internada e pode voltar a viver com mais qualidade	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Indo para o SUS os pacientes terão acesso	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Minha filha se alimenta melhor, ela ganhou peso, pegou corpo, faz exercícios físicos. , Faz tudo que seus colegas de escola faz., A médica tirou o tobramicina e o pilmozime., Só felicidade. , , Negativo e dificuldades: Só teve melhoras	3ª - Sim, Qual: Tobramicina, pulmozime, pancreatina. Ursacol, polivitaminico, azitromicina, Positivo: Ajudou um pouco , Negativo: Muitos remédios, durante o dia para pouco benefício comparado ao Trikafta	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:
Organização da Sociedade Civil **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Instituto Unidos pela Vida defende a incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) ao SUS para pessoas com fibrose cística a partir de 6 anos com ao menos uma variante não-F508del responsiva, pois se trata de população com necessidade clínica não atendida e já contemplada na bula aprovada pela ANVISA. A fibrose cística é uma doença genética progressiva, grave e potencialmente letal, marcada por inflamação crônica, infecções respiratórias recorrentes e dano pulmonar irreversível. Embora o ETI já esteja disponível no SUS para pessoas com variante F508del, pacientes com variantes raras responsivas seguem sem acesso a uma terapia que atua na causa básica da doença, apesar de terem gravidade comparável e expectativa racional de resposta. As evidências demonstram benefício clínico relevante. Estudos clínicos, dados in vitro, observacionais e de mundo real indicam melhora da função pulmonar, redução do cloreto no suor, melhora da qualidade de vida e redução de hospitalizações e exacerbações. Em estudo brasileiro multicêntrico com pacientes não-F508del responsivos, 79,4% atingiram ganho de pelo menos 5 pontos percentuais no VEF1, com redução de 89,7% nas hospitalizações e de 72,1% nas exacerbações. Em doenças raras e subgrupos genéticos ultrarraros, a ausência de grandes ensaios clínicos randomizados para cada variante não deve ser interpretada como ausência de benefício. A baixa prevalência limita o recrutamento, exigindo avaliação integrada das evidências clínicas, biológicas, in vitro e de vida real. A não incorporação aprofunda uma iniquidade genética: pessoas com a mesma doença e indicação em bula ficam excluídas apenas por terem mutações menos prevalentes. A redução de internações, exacerbações e complicações também pode diminuir a pressão assistencial sobre o SUS. Por isso, o Instituto Unidos pela Vida solicita que a Conitec reconsidere a recomendação preliminar e emita parecer favorável à incorporação do ETI para variantes não-F508del responsivas.	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: A partir da experiência acompanhada pelo Instituto Unidos pela Vida junto à comunidade de fibrose cística, os principais aspectos positivos observados com o uso do Trikafta® em pessoas com variantes não-F508del responsivas são a melhora da função pulmonar, a redução de infecções e exacerbações, a diminuição de hospitalizações, o ganho de peso, a redução da tosse e da secreção, a melhora do sono, do apetite, da disposição e da autonomia para estudar e trabalhar. Os relatos recebidos pelo Instituto, conforme anexo, mostram que o impacto vai além dos exames. Uma pessoa que estava em avaliação para transplante relatou que, após iniciar o Trikafta®, deixou de viver em hospitais, não teve mais sangramentos pulmonares, ganhou peso e voltou a sentir que tinha vida. Outro paciente relatou que a tosse quase desapareceu, passou a dormir melhor, recuperou energia para estudar e trabalhar e conseguiu concluir estágio e assumir emprego efetivo. Também houve relato de mãe que, antes limitada pelo cansaço, passou a conseguir cuidar da filha, brincar, correr e realizar atividades que antes pareciam impossíveis. Esses relatos são coerentes com os dados clínicos e de mundo real apresentados no anexo complementar, que indicam melhora de VEF1, redução de cloreto no suor, redução de exacerbações e hospitalizações e melhora importante da qualidade de vida. Também falo como pessoa que vive com fibrose cística. Antes de ter acesso ao Trikafta®, a rotina era marcada por tosse diária, medo de infecções, perda de função pulmonar e limitações constantes. O uso de uma tecnologia que atua na causa da doença muda radicalmente a perspectiva, deixando de ser um tratamento que trata apenas sintomas, mas que recupera fôlego, energia, autonomia e esperança de futuro. , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme, enzimas, corticoides. , Positivo: Apenas para sintomas, e não para a causa base. , Negativo: Nenhum	4ª - As evidências que o Instituto Unidos pela Vida apresenta no anexo complementar sustentam que o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) produz benefício clínico em pessoas com fibrose cística com variantes não-F508del responsivas. Os dados incluem estudos clínicos e observacionais que mostram melhora da função pulmonar, redução do cloreto no suor, melhora da qualidade de vida e redução de eventos graves, como exacerbações e hospitalizações. Em ensaio clínico randomizado com variantes raras, o ETI levou a ganho médio de 9,2 pontos percentuais na função pulmonar e redução de 28,3 mmol/L no cloreto no suor em comparação ao placebo. Coortes internacionais também observaram benefícios relevantes, incluindo aumento médio de 14,6 pontos percentuais no VEF1 em estudo italiano e redução média de 44,5 mmol/L no cloreto no suor, associada a ganho de 11,1 pontos percentuais na função pulmonar, em estudo francês. Também são apresentados dados brasileiros de mundo real. Em estudo multicêntrico retrospectivo com 34 pacientes brasileiros com variantes não-F508del responsivas, 79,4% tiveram ganho de pelo menos 5 pontos percentuais no VEF1. Além disso, houve redução de 89,7% nas hospitalizações e de 72,1% nas exacerbações agudas, desfechos diretamente relevantes para os pacientes e para o SUS. O anexo também reúne	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:
				evidências laboratoriais que demonstram melhora da função da proteína CFTR em variantes raras responsivas. Esses dados são importantes porque, em doenças raras, nem sempre é possível realizar grandes estudos clínicos para cada mutação individual. Por fim, são apresentados relatos de pacientes que confirmam, na vida real, os benefícios observados nos estudos: redução da tosse e da secreção, menos infecções, ganho de peso, melhora da disposição, retorno ao trabalho e aos estudos, maior autonomia e afastamento da necessidade de transplante em casos graves. O conjunto das evidências sustenta a incorporação do ETI para essa população.	

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "A recomendação preliminar reconhece que o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor promove melhora da função pulmonar, redução do cloro no suor, diminuição das exacerbações e ganho de qualidade de vida em pacientes com variantes não-F508del responsivas, fundamentando a recomendação desfavorável predominantemente na elevada razão de custo-efetividade incremental (RCEI) e no impacto orçamentário, e não na ausência de benefício clínico. Em doenças ultrarraras, a ATS deve considerar as limitações inerentes da produção de evidências. A baixa frequência dessas variantes torna inviável a realização de ensaios clínicos randomizados para cada mutação, razão pela qual agências regulatórias e sistemas públicos (EMA e NHS) passaram a admitir evidências provenientes de estudos funcionais (""theratyping"") e de vida real, com monitoramento da resposta clínica. A própria Anvisa já ampliou a bula do Trikafta® para mais de uma centena de variantes responsivas, refletindo esse avanço científico. Além disso, a população elegível é reduzida: cerca de 383 pessoas com idade igual ou superior a 6 anos (REBRAFC), o que permite estratégias de incorporação acompanhadas de monitoramento clínico. O histórico brasileiro demonstra ainda que o preço do medicamento não é um parâmetro estático. A primeira aquisição judicializada (SEI 25000.158616/2021-32) ocorreu por R$ 112.779,05 por caixa, reduzindo-se posteriormente para R$ 68.321,40 após a definição do PMVG e, por novas negociações, para R$ 35.231,28 nos Contratos 357/2024 e 193/2025. Antes da incorporação para pacientes com F508del, a ABRAM e o GTPI requereram ao MS a declaração de interesse público dos moduladores da CFTR para eventual licenciamento compulsório, e manterão esse pleito. Atualmente a mesma medicação é comercializada em Bangladesh (TRIKO - Beximco Pharmaceulticals) por US$ 12.750 por ano para adultos e US$ 6.375 para crianças, em regime permitido pelas flexibilidades do Acordo TRIPS."	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Houve melhora da função pulmonar, redução do cloro no suor, diminuição das exacerbações e melhora da qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Nenhum	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:
Pessoa com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou a prova viva de que o medicamento mudou a minha vida. Eu vivia com tosse, muito magro e sem energia para qualquer atividade. Depois que comecei a utilizar o Trikafta, pude cursar uma faculdade, estagiar e agora estudo e trabalho como qualquer pessoa saudável. Esse medicamento se mostrou capaz de mudar completamente a minha vida. Ele trouxe saúde, energia e esperança. Consegui provar, através de exames, que o medicamento mudou completamente a minha saúde e, por isso, é imprescindível que nós portadores da Fibrose Cística tenhamos o acesso gratuito ao medicamento. É impossível uma família brasileira ter a capacidade financeira de manter o medicamento. Por isso, peço que considerem a incorporação ao SUS.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Todas, como por exemplo, melhora de 100% da minha saúde. Redução de internações, eliminação da tosse crônica, ganho de peso, capacidade de ser economicamente ativo, melhora na respiração, na qualidade do sono, nos aspectos emocionais, na autoestima, redução do tempo diário dedicado ao tratamento, redução no uso de outros medicamentos de alto custo, como por exemplo antibióticos inalatórios. , Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acredito que medicamentos para doenças raras, como o Trikafta para pessoas com fibrose cística, devem ser disponibilizados pelo SUS porque representam muito mais do que um tratamento: representam a oportunidade de viver com mais qualidade, saúde e esperança. Minha namorada tem fibrose cística e acompanho de perto o quanto o acesso ao tratamento faz diferença na vida de quem convive com essa doença. O Trikafta representa uma esperança real de mais saúde e um futuro melhor, mas, assim como outros medicamentos para doenças raras, tem um custo muito alto, o que impede que muitas famílias consigam o tratamento. Acredito que o SUS deve garantir esse acesso, porque a saúde é um direito de todos. Disponibilizar esses medicamentos significa oferecer mais dignidade, igualdade de oportunidades e a chance de uma vida melhor para milhares de pessoas que convivem com doenças raras.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O sus é o único sistema de saúde gratuito e especializado do mundo. O sus deve ser orgulho de ser brasileiro. Devemos muito pela criação, porém há algumas doenças que o sus nao valoriza e a doença do meu sobrinho é uma delas. Sabemos que possuímos direito a saúde, conforme a constituição e podemos solicitar isso via judicial. Meu sobrinho demorou para solicitar via judicial. Desta forma, com a incorporação via sus o medicamento é mais rapido e eficaz, chegando para o paciente/sobrinho. Desta forma, mas nao somente, o tricafita é essencial para a vida de pessoas com essa condição, vejo pela vida do meu sobrinho que melhorou significativamente com o uso.	2ª - Sim, Qual: Meu sobrinho utiliza tricafita desde novembro de 2025, Positivo e facilidades: Meu sobrinho melhorou de vida, hoje ele come muito bem, nao vomita, nao vai para o o hospital e fica 15 dias tratando. Hoje ele brinca toda tarde e consegue engordar. Sem o medicamento ele nao é uma criança, mas um idoso, pois sofre, nao come, nao engorda e vive no hospital. O medicamento deu a vida novamente um sentido. Meu sobrinho tem 8 anos com mutação N1303K/R334W , Negativo e dificuldades: Nao observamos nenhum aspecto negativo	3ª - Sim, Qual: SOLUÇÃO SALINA HIPERTONICA, ALFADORNASI, FISIOTERAPIA, NEBULIZAÇÃO E AZITROMICINA, Positivo: Todos os tratamentos antes do tricafita foram importantes. O antibiótico controlaram as infecções respiratórias, as nebulização e terapias ajudaram na eliminação das secreções e os demais medicamentos ajudaram nos sintomas. Esses tratamentos foram essenciais para aliviar as complicações da doença em alguns momentos de melhora, porém esse benefício era temporário., Negativo: Todos esses tratamentos foram essenciais para o tratamento do meu sobrinho, porém nao conseguiram parar a progressão da fibrosecistica	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O trikafta deve ser incorporado ao sus por que ele é um tratamento capaz de mudar a vida de pessoas com fibrose ciática que possue mutações elegíveis diferentemente dos tratamentos convencionais que ajudao a controlar os sintomas e tratar as complicações da doença ele atua na causa do problema oferecendo a oportunidade de preservar a função dos órgãos e interromper a progressão da doença quando conseguimos o trikafta por decisão judicial em novembro de 2025 vimos uma transformação que nenhum outro tratamento havia proporcionado.	2ª - Sim, Qual: Meu filho usa o trikaft na dosagem infantil des de novembro 2025 , Positivo e facilidades: Sou pai do Emanuel Marcos de 8 anos com as mutações N1303k R334W minha experiência com trikafta foi transformadora , Negativo e dificuldades: Não observamos efeitos negativos relacionados ao uso do trikafta pelo contrário todos os benefícios superaram qualquer expectativa que tínhamos o maior aspecto negativo foi a demora para conseguir o acesso ao	3ª - Sim, Qual: Solução salina ipertonica alfadornase fisioterapia nebulização azitromicina , Positivo: Todos os tratamentos que foram feitos antes do trikafta foram importantes os antibiótico ajudaram a controlar as infecções respiratórias a nebulização e fisioterapia auxiliaram na eliminação das secreções e os demais medicamentos contribuíram para aliviar os sintomas. Esses tratamentos foram ecessiais para aliviar as complicações da doença e alguns momentos de melhoras porém percebemos que esse benefício era temporário , Negativo: Todos esses tratamentos foram fundamentais para cuidar do meu filho porém eles não conseguiram impedir a progressão da fibrose cistica. Mesmo seguindo corretamente todas as orientações médicas meu filho continuava perdendo qualidade de vida e permanecia com risco de novos danos aos pulmões e outros órgãos apesar de reconhecer a importância de todas essas terapias percebemos que elas sozinhas não eram suficientes para oferecer a melhora que ele precisava a verdade mudança na qualidade de vida e na perspectiva de futuro só aconteceu após o início do tratamento com trikafta	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento muda verdadeiramente a qualidade de vida e a saude de pessoas com fibrose cística de uma maneira que nunca aconteceu antes. Basta ver a resposta a esse medicamento em pessoas com mutação f508del que ja esta incorporado no SUS, pegar os dados do sistema e ver a resposta. Nao tem como nao ser incorporado para pessoas com outras mutações, isso seria uma verdadeira barbarie a saude brasileira.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor , Positivo e facilidades: Antes do medicamento, minha filha fazia o uso diário de nebulizações com salina hipertonica, enzimas pancreáticas, e multivitaminicos, eram muitas consultas medicas e apresentava baixa qualidade de vida. Os resultados dos exames de sangue e de imagem vinham constantemente alterados , alem do medo constante dos pais de internações piorando a saude mental de todos os familiares. Apos o uso do trikafta, a qualidade de vida, saude mental melhorou exponencialmente. Deixou de fazer fisioterapia respiratória diária, as internações diminuíram e ela voltou a ser uma criança normal, podendo brincar e correr na escola, sem se sentir cansada. , Negativo e dificuldades: Nenhuma, esse medicamento so traz benefícios.	3ª - Não	4ª - 1. Hergenroeder GE, Psoter KJ, Brown CD, Ostrenga J, Ford C, Bendy L, Rosen BH, Luo NM, Zhang C, Sabadosa KA, Ren CL. Baseline Characteristics and Self-Reported Use of Chronic Daily Therapies of the Home Reported Outcomes With CFTR Modulator Therapy (HERO-2) Cohort. Pediatr Pulmonol. 2025 Jul, 60(7):e71190. doi: 10.1002/ppul.71190. PMID: 40662498., , De acordo com esse estudo publicado em 2025, que estudou pessoas com FC acima de 12 anos, a diminuição do fardo de tratamentos da FC diminuiu e aumentou a qualidade de vida. 42% largou algum tipo de tratamento medicamentoso, e aumentou o dialogo entre os familiares.	5ª - Não
Interessado no tema **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha colega de trabalho Cláudia vivia internada e em condições desumanas antes do tratamento com TRIKAFTA, era lastimável ver como nao tinha nada que pudesse acabar com aquela dor, aquele sofrimento contínuo e principalmente as idas e vindas do hospital. , Não sabíamos se estaria bem fisicamente para estar no trabalho, até começa bem o dia, mas no outro, era uma durpreca que devastada toda a equipe, estava internada sem saber ao certo que tratamento seguir..., Finalmente um medicamento que lhe proporciona qualidade de vida, ou melhor, lhe proporciona saúde, dignidade e vontade de viver., Porém, o valor é uma barreira que nunca saberemos como será o dia de amanhã.	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 **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como pneumologista pediátrica atuando em um centro de referência para fibrose cística no Sul do país acompanho regularmente crianças portadoras de mutações não F508del que, apesar do tratamento convencional otimizado, permanecem com doença pulmonar progressiva, infecções respiratórias recorrentes, comprometimento nutricional e elevada carga de tratamento., , Embora eu não tenha experiência direta com o uso do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) nessa população específica, acompanho de perto a evolução desses pacientes e reconheço a limitação das opções terapêuticas atualmente disponíveis para aqueles que não apresentam acesso aos moduladores da CFTR., , A expansão da indicação para mutações reconhecidas como responsivas pelas principais agências regulatórias internacionais representa uma oportunidade de oferecer tratamento direcionado ao defeito molecular da doença também para pacientes que, até então, permaneciam restritos ao manejo das complicações. Na prática clínica, essas crianças frequentemente apresentam evolução semelhante ou até mais grave do que pacientes com F508del, e continuam acumulando lesões pulmonares irreversíveis enquanto aguardam alternativas terapêuticas, alguns até se encontram em lista de transplante pulmonar e dependentes de O2., , As evidências laboratoriais, os estudos em organoides, os ensaios clínicos disponíveis para mutações responsivas e a experiência internacional sustentam que pacientes com variantes elegíveis podem obter benefício clínico significativo quando tratados com ETI., , Por esse motivo, considero favorável a incorporação do ETI para pacientes com mutações responsivas previstas em bula, independentemente da presença da variante F508del, desde que respeitados os critérios de elegibilidade e acompanhamento em centros especializados.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Tratamento convencional para fibrose cística, incluindo fisioterapia respiratória, alfadornase, solução salina hipertônica, antibióticos inalatórios, enzimas pancreáticas, suplementação vitamínica, suporte nutricional e acompanhamento multiprofissional., Positivo: O tratamento convencional permanece indispensável para o controle das manifestações clínicas da fibrose cística, contribuindo para redução de exacerbações, melhora nutricional, controle de infecções respiratórias e aumento da sobrevida. O acompanhamento em centros especializados também possibilita diagnóstico precoce de complicações e educação continuada das famílias., , , , Negativo: Apesar dos avanços obtidos nas últimas décadas, o tratamento convencional atua predominantemente sobre as manifestações clínicas da doença, sem corrigir o defeito funcional da proteína CFTR. Além disso são muitas terapias que levam a uma sobrecarga para paciente e família, sem atuar na causa base da doença. Já o ETI complementa esse cuidado ao atuar na causa da doença, oferecendo potencial para retardar ou evitar danos irreversíveis, principalmente quando iniciado precocemente., , Na prática clínica, observa-se que crianças com mutações não elegíveis aos moduladores ou sem acesso a essas terapias permanecem suscetíveis à progressão da doença pulmonar, desenvolvimento de bronquiectasias, insuficiência pancreática, hospitalizações repetidas e necessidade frequente de antibioticoterapia., , Essa população apresenta importante necessidade não atendida, justificando a disponibilização de terapias capazes de atuar na causa da doença quando houver evidência de resposta à modulação da CFTR.,	4ª - A incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) para pacientes com variantes não-F508del responsivas é sustentada por evidências provenientes de estudos clínicos, dados de vida real e ensaios funcionais em modelos celulares e organoides. Como muitas variantes raras apresentam baixa prevalência, ensaios clínicos específicos para cada mutação são inviáveis. Por esse motivo, a avaliação da responsividade da proteína CFTR in vitro passou a ser aceita por agências regulatórias, como o FDA, para ampliar as indicações do ETI., , Os estudos demonstram melhora da função da CFTR, redução das exacerbações pulmonares, hospitalizações e necessidade de antibioticoterapia, além de benefícios nutricionais e melhor qualidade de vida em pacientes com variantes responsivas. Na prática clínica, acompanho crianças com mutações não-F508del que permanecem com doença progressiva e grave apesar do tratamento convencional, evidenciando uma necessidade terapêutica ainda não atendida. A disponibilidade do ETI para pacientes com variantes comprovadamente responsivas representa um importante avanço da medicina de precisão e uma oportunidade de reduzir a progressão, morbimortalidade da doença.., , Referências: Middleton PG et al. N Engl J Med. 2019, 381:1809-1819. Keating D et al. N Engl J Med. 2018, 379:1612-1620. FDA. Trikafta® Prescribing	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:
				Information. Relatório Preliminar CONITEC – Consulta Pública nº 48/2026.	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque se for comparado no sus é mais fácil a pessoa ter o direito	2ª - Sim, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Posso afirmar com toda convicção, que essa medição vai revolucionar a vida dessas pessoas, juntamente com seus familiares. , É um verdadeiro milagre.	2ª - Sim, Qual: Sim, tivemos experiência com o Trikafta. , Positivo e facilidades: Um aspecto fundamental, nesse período que minha filha está usando não precisou internar, sem infecção, sem cirurgias, sem bactérias, uma vida mais possível dentro de uma normalidade., Prática esportes sem intercorrencia, é um verdadeiro milagre., Negativo e dificuldades: Absolutamente nenhum.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conheço Claudia, que vive com fibrose e após o remédio teve uma melhora significativa demais. Parou de ser internada, consegue trabalhar melhor, diminuiu a tosse... Antes vivia na UTI e dependia muito do oxigênio	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:
Pessoa com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou paciente de fibrose cística desde o nascimento, em 1987, e uso a terapia tripla elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor desde fevereiro de 2022. Minha variante é F508del, portanto não pertenço diretamente ao grupo contemplado nesta consulta (pacientes com variante não-F508del responsiva). Ainda assim, considero fundamental contribuir, porque minha experiência ilustra o real potencial desta classe terapêutica e porque vejo, na comunidade de fibrose cística, o quanto o acesso a um tratamento eficaz pode mudar completamente uma trajetória de vida., Antes da terapia tripla, cheguei ao estágio terminal da doença: 22% de FEV1, dependente de oxigênio contínuo. Em 15 dias de tratamento, me tornei independente do O^2. Hoje, quase 4 anos depois, minha função pulmonar está estável em torno de 35% — pela primeira vez em 35 anos sem queda progressiva. Isso só foi possível porque o medicamento corrige o funcionamento da proteína CFTR, e não apenas os sintomas da doença., Se esse mecanismo já demonstrou eficácia e segurança em pacientes com F508del, e há evidência científica de que também beneficia pacientes com variantes não-F508del responsivas, negar ou postergar o acesso a esses pacientes, unicamente por uma diferença genética específica, cria uma desigualdade profunda dentro da própria comunidade de fibrose cística. Todos enfrentam a mesma doença progressiva, os mesmos riscos de dano irreversível, e merecem a mesma oportunidade de tratar a causa, não apenas os sintomas., Por tudo isso, sou favorável à incorporação desta tecnologia no SUS para pacientes com variantes não-F508del responsivas ao medicamento. Nenhum paciente deveria ser impedido de acessar um tratamento eficaz por causa de qual mutação especificamente carrega, quando a resposta terapêutica já está comprovada.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta), Positivo e facilidades: Ainda que minha experiência seja com a indicação para variante F508del, os aspectos positivos observados refletem diretamente o mecanismo de ação da tecnologia (correção da proteína CFTR), o mesmo que fundamenta seu potencial benefício em variantes não-F508del responsivas:, , Independência de oxigênio em tempo recorde: eu utilizava 5 litros de oxigênio contínuo domiciliar desde outubro de 2021. Em apenas 15 dias de tratamento, me tornei totalmente independente do O^2., Estabilização inédita da função pulmonar: partindo de um FEV1 de 22% (estágio terminal), minha função pulmonar se manteve estável em torno de 35% ao longo dos últimos 4 anos — a primeira vez em 35 anos sem queda progressiva., Redução drástica de internações e antibióticos venosos: antes do tratamento, eu precisava de uma internação por ano para antibioticoterapia venosa, essa necessidade caiu significativamente desde o início do uso., Melhora expressiva na qualidade de vida: recuperação de disposição física e autonomia, sem depender de equipamentos de oxigênio., Ação sobre a causa da doença: diferente dos tratamentos sintomáticos, o efeito foi consistente e duradouro por atuar diretamente na proteína CFTR., , Esses resultados demonstram, na prática, a robustez do mecanismo de ação desta classe terapêutica, reforçando a plausibilidade científica de que pacientes com variantes não-F508del responsivas possam obter benefícios semelhantes, conforme já demonstrado em estudos que embasam esta consulta pública., Negativo e dificuldades: Não identifiquei qualquer efeito colateral ao longo de quase 4 anos de uso contínuo do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor. A tolerabilidade foi excelente desde o início do tratamento, sem impactos adversos na minha saúde física., O único aspecto negativo que destaco não está relacionado à tecnologia em si, mas ao acesso a ela: precisei recorrer à via judicial para conseguir o medicamento em fevereiro de 2022, um processo que exige tempo, recursos e conhecimento jurídico que nem todo paciente ou família possui. Essa barreira de acesso reforça a importância de mecanismos formais de incorporação no SUS que contemplem todas as variantes com resposta terapêutica comprovada, incluindo as não-F508del, para que nenhum paciente precise depender de judicialização para obter um tratamento eficaz e seguro.	3ª - Sim, Qual: Ao longo de mais de 30 anos de tratamento da fibrose cística, tive experiência com as seguintes tecnologias/terapias sintomáticas:, , Enzimas digestivas pancreáticas, Dornase Alfa (inalação), Complexo de vitaminas, Ácido ursodesoxicólico (Ursacol), Suplementação de cálcio, Broncodilatadores inalatórios (bombinhas respiratórias), Antibióticos orais (6 a 8 ciclos por ano), Antibióticos venosos (anualmente, de 2012 a 2021, devido à colonização por Pseudomonas aeruginosa e Burkholderia cepacia), Oxigenoterapia domiciliar contínua (a partir de outubro de 2021), Positivo: "Reconheço o valor desses tratamentos apenas pelo que eles realmente são: medidas de sobrevivência diante da ausência, durante décadas, de uma terapia capaz de agir sobre a causa da fibrose cística. Nenhum deles deteve o avanço da doença — apenas adiaram, com grande custo físico e emocional, o que viria a se agravar de qualquer forma., , Enzimas digestivas permitiram alguma absorção de nutrientes, mas não impediram a desnutrição crônica associada à insuficiência pancreática., Dornase Alfa e broncodilatadores aliviaram parcialmente o acúmulo de secreções, mas não impediram a perda progressiva e irreversível de função pulmonar ao longo dos anos., Antibióticos orais e venosos conseguiram conter, episódio após episódio, infecções que colocavam minha vida em risco, mas ao custo de anos de resistência bacteriana crescente e internações cada vez mais frequentes., Complexo vitamínico, cálcio e Ursacol minimizaram, sem resolver, complicações nutricionais e hepáticas decorrentes da doença de base., A oxigenoterapia domiciliar me manteve vivo no estágio mais crítico da doença, mas é, por definição, prova de que a função pulmonar já havia sido destruída além do reparável., , Preciso ser categórico: esse conjunto de tratamentos me manteve vivo, mas não me manteve saudável. Sobrevivi, porém carrego até hoje sequelas físicas e emocionais irreparáveis, resultado direto de décadas em que a doença avançou livremente por trás de um manejo apenas sintomático. Tratar esse tipo de manejo como resposta ""suficiente"" seria repetir, em qualquer paciente que hoje tenha acesso a uma tecnologia capaz de tratar a causa da doença — incluindo os pacientes com variantes 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:
			F508del responsivas contemplados nesta consulta — exatamente o mesmo erro que moldou permanentemente minha vida. Negar ou adiar esse acesso, quando ele já está disponível, não é uma posição neutra ou cautelosa: é uma escolha que condena pacientes a danos evitáveis e irreversíveis, exatamente como os que eu vivo até hoje.", Negativo: Os aspectos negativos desse conjunto de tratamentos foram numerosos e cumulativos ao longo de décadas:, , Resistência bacteriana progressiva: o uso recorrente de antibióticos orais (6 a 8 ciclos por ano) e, posteriormente, venosos (uma internação por ano, de 2012 a 2021), levou à seleção de bactérias cada vez mais resistentes. Cheguei a um ponto em que apenas antibióticos venosos, em doses e combinações cada vez mais fortes, surtiam efeito., Internações recorrentes e seus custos pessoais: as internações anuais para antibioticoterapia venosa interromperam repetidamente minha rotina, minha vida profissional e meus estudos. Cheguei a resistir a internar para não prejudicar o trabalho — um esforço que se mostrou inútil, pois minha saúde piorava de qualquer forma., Efeitos colaterais dos próprios antibióticos: doses crescentes e ciclos cada vez mais frequentes de antibióticos potentes trazem, por si só, riscos de toxicidade (renal, auditiva, entre outros) que se acumulam ao longo dos anos de uso repetido., Progressão inevitável da doença: nenhum desses tratamentos impediu a queda progressiva da minha função pulmonar, que me levou ao estágio terminal (22% de FEV1) e à dependência de oxigênio contínuo aos 34 anos., Impacto físico e emocional cumulativo: anos de sintomas mal controlados, hospitalizações e incerteza constante sobre o futuro geraram um desgaste emocional profundo, além de sequelas físicas que carrego até hoje., , Esses aspectos negativos não são falhas de adesão ou de manejo clínico — são o limite estrutural de qualquer tratamento que atua apenas sobre os sintomas, sem corrigir a causa da doença. É exatamente esse limite que a terapia tripla supera, e é por isso que sua incorporação também para pacientes com variantes não-F508del responsivas é tão importante: para que eles não precisem experimentar nada disso.		

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:
Pessoa com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Faço uso do medicamento a quatro anos e mudou minha qualidade de vida, aumentando a minha condição respiratória e melhorando minha alimentação no ganho de peso.	2ª - Sim, Qual: Uso trikafta com Elexacaftor 100mg /tezacaftor 50mg /ivacaftor75mg + 150mg, Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida e avanço no tratamento contra a fibrose cística., Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Uma medicações muito importante que já está ajudando muitas vidas ,vários relatos de pessoas que começaram tomar e a vida mudou ..antes era várias internação, frequência pulmonar baixa e com a medicaco obteve uma melhora muito maravilhosa ...prescisamos pelo sus urgente	2ª - Sim, Qual: Medicamento, Positivo e facilidades: Uma melhora magnífica , Negativo e dificuldades: Negativo que não tem pelo sus ??	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O remédio é incrível. O resultado de melhora é fantástico. Reduzindo internações, outros medicamentos que não sao mais necessário depois do trikafta	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Vida nova para o paciente e toda sua família. , Qualidade de vida. O remédio é um milagre em formato de comprimido , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **04/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Trikafta representa muito mais do que um medicamento. Para milhares de pessoas que vivem com a fibrose cística, ele simboliza esperança, novos sonhos e a possibilidade de enxergar o futuro com mais confiança. Cada avanço da ciência nos lembra que a luta de tantas famílias não é em vão. Onde antes havia incertezas, hoje nasce a esperança de dias com mais saúde, mais qualidade de vida e mais momentos para compartilhar ao lado de quem se ama. Que essa conquista continue alcançando cada vez mais pessoas, para que nenhum paciente fique para trás. A esperança transforma vidas, e cada vida importa. Fibrose cística não define uma pessoa. Com acesso ao tratamento, sonhos podem continuar sendo escritos.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Ganho de peso, melhora função pulmonar e bactérias , Negativo e dificuldades: Não tivemos nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Totalmente de acordo pois hoje sabemos que a fibrose cística está relacionada a muitas outras mutações alem da mutação clássica. Nos dias atuais é inadmissível deixar de dispor aos portadores de outras mutações a medicações responsável por impactar positivamente fortemente a qualidade de vida e a sobrevida.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Intensa redução na necessidade de internações, nas agudizacões pulmonares, no estado nutricional, nos estado emocional e qualidade de vida. , Negativo e dificuldades: A não Utilização da medicação não proporciona aos pacientes nao medicados os benefícios demonstrados pelos que a utilizaram.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque é um tratamento que atua na causa da doença, melhora a qualidade de vida, reduz complicações e pode evitar internações e outros tratamentos mais caros.	2ª - Sim, Qual: Sim. Meu filho faz uso do Trikafta sob prescrição médica., Positivo e facilidades: Melhora importante da função pancreática, redução de sintomas, suspensão de diversos medicamentos e ausência de novas internações relacionadas à progressão da fibrose cística., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo significativo durante o tratamento.	3ª - Sim, Qual: Sim. Antes do Trikafta, utilizávamos apenas tratamento convencional para controle dos sintomas., Positivo: Ajudavam no controle dos sintomas e na manutenção do estado clínico., Negativo: Não tratavam a causa da doença, exigiam muitos medicamentos e procedimentos diários e não impediam a progressão da fibrose cística.	4ª - Estudos clínicos demonstram que o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor promove melhora da função pulmonar, redução das exacerbações, ganho nutricional e melhora da qualidade de vida em pessoas com fibrose cística elegíveis. Além disso, evidências recentes mostram benefícios também na recuperação da função pancreática em alguns pacientes, especialmente quando o tratamento é iniciado precocemente., , Referências:, , * Estudo PROMISE., * Cystic Fibrosis Foundation., * European Cystic Fibrosis Society., * Publicações em periódicos como The Lancet Respiratory Medicine, American Journal of Respiratory and Critical Care Medicine e Journal of Cystic Fibrosis.	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, De extrema importância a inclusão desse medicamento pois se trata de um medicamento vital pra sobrevivência de que possui fibrose cística, essa medicação traz esperança para os pacientes com quadros de evolução na doença muito avançada, sendo um luz no fim do túnel para quem não tem condições de fazer um transplante de pulmão condições físicas, financeiras e pisicogicas pois essa doença nos sobrecarrega nus deixando num mundo de incertezas e com essa medicação é uma certeza que pode dar certo e vem dando certo para milhares de pessoas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Esse medicamento faz muita diferença mesmo para pessoas que não estão legíveis a ele!	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como mãe de um paciente com fibrose cística, ver meu filho lutar por ar é uma dor que dilacera a alma. Nossa rotina é uma jornada exaustiva: horas de fisioterapia respiratória, inalações intermináveis e dezenas de comprimidos diários. Vivemos sob a sombra do medo de infecções e internações de emergência. É uma vida roubada por uma doença genética cruel que consome os pulmões e o sistema digestivo.A chegada da terapia tripla (Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor) acendeu uma luz na nossa escuridão. Esse medicamento não é apenas ciência, para nós, é um milagre. Ele age direto no erro das células, transformando a realidade do meu filho. O impacto é uma benção: os sintomas graves desaparecem e o fôlego volta. Ver meu filho, que antes vivia cansado e preso ao oxigênio, respirar livremente, correr, estudar e sonhar com o futuro é o maior presente do mundo. É o resgate da dignidade dele e da nossa paz.No entanto, essa alegria vem acompanhada de uma revolta dolorosa. O remédio foi liberado no SUS, mas apenas para a mutação mais comum (F508del). Meu coração sangra ao ver tantas outras mães, que enfrentam o mesmo sofrimento e sintomas severos, ficarem de mãos vazias. A Anvisa já expandiu a bula para cobrir as variantes raras e responsivas, mas o acesso real é negado por burocracias frias e barreiras financeiras das comissões de saúde. Negar essa extensão é excluir uma parcela vulnerável que sofre exatamente do mesmo mal.Nenhum pai ou mãe tem como pagar o valor astronômico desse tratamento. Sem o SUS, nossos filhos não têm chance de sobrevivência. A saúde é um direito constitucional, e garantir essa medicação para todas as variantes aprovadas é um dever humanitário urgente do Ministério da Saúde. Não permitam que papéis e carimbos tirem a chance de uma criança viver. Como mãe, eu imploro: salvem a vida dos nossos filhos. O tempo para eles corre rápido demais para esperar a burocracia.	2ª - Sim, Qual: meu filho usa o Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor, Positivo e facilidades: Olhar para o meu filho hoje é testemunhar um milagre. Quem vive a realidade da fibrose cística conhece o peso da luta. Por anos, nossa rotina foi marcada por uma tosse que parecia não ter fim, falta de ar constante, infecções repetidas e internações que partiam meu coração. Ele dependia do oxigênio para respirar e a exaustão dominava os dias dele.Tudo mudou completamente com o início do tratamento com Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor. A transformação foi imediata e profunda.Os pontos positivos transformaram nossa realidade:Fim do oxigênio: Ele finalmente conseguiu parar de usar o oxigênio suplementar.Respiração livre: A falta de ar sumiu e a produção de catarro diminuiu drasticamente.Silêncio no peito: Aquela tosse constante e exaustiva desapareceu.Saúde blindada: As infecções cessaram e as internações hospitalares ficaram no passado.Energia renovada: Ele ganhou uma disposição incrível para praticar atividades físicas.Alegria de viver: O desânimo deu lugar a um ânimo contagiante e um brilho lindo nos olhos.Esse medicamento não mudou apenas os exames dele, devolveu a liberdade, a saúde e o futuro que a doença havia roubado. Ver meu filho respirar sozinho e sorrir com vontade é a maior vitória da minha vida.,	3ª - Sim, Qual: O meu filho tem acesso às tecnologias convencionais para a fibrose cística, :, Terapia Inalatória : Uso diário de Pulmozyme e antibioticoterapia inalatória (Tobramicina)., Fisioterapia Respiratória: duas vezes ao dia., Administração de enzimas pancreáticas (pancreatina) a cada refeição , Reposição diária de vitaminas lipossolúveis (Complexo ADEK) de alta absorção., Positivo: pontos positivos é que esse tratamento ajudou meu filho a ficar vivo, pois quando ele nasceu nao existia um tratamento adequado, e apesar desse tratamento ser paleativo é o unico que existia ate o lançamento do trikafta onde tudo mudou, Negativo: pontos negativos que apesar de todo o esforço do meu filho a doença ainda progride e muitas vezes deixa meu filho desanimado e triste por esse fato	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A condição do medicamento que melhora a qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação desse medicamento pelo sus trará a oportunidade de muitas vidas serem salvas, ele é um medicamento que tem uma eficácia muito grande, a melhora que ele traz ao paciente é gigantesca, melhorando o estado de saúde e não deixando a doença evoluir tão rapidamente, e acho que todos que tem essa doença devem ter acesso ao tratamento.	2ª - Sim, Qual: Tenho experiencia ao Trikafta (elexacftor, tezacaftor, ivacaftor), Positivo e facilidades: Esse medicamento me devolveu a vida, tive uma melhora muito grande logo nos primeiros dias de uso, ele limpa o pulmão de uma tal forma, tirando toda a secreção dos pulmões, isso permitiu a diminuição no uso de antibióticos fortíssimos, o que me deu mais disposição, tive um aumento de peso e uma qualidade de vida bem maior., Negativo e dificuldades: Não tive nada de negativo com essa medicação	3ª - Sim, Qual: Já usei o alfa dornase., Positivo: Ele ajudava a limpar o pulmão, mas só como um mucolitico o que não conseguia retirar tudo, aumentando as chances de exacerbações. , Negativo: Ele não consegui controlar a secreção e ainda era inalatório, o que dificulta a adesão ao tratamento	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou paciente de fibrose cística e já faço uso do trikafta. É um remédio ABSOLUTAMENTE EXTRAORDINÁRIO que me devolveu a vinda quando eu estava na iminência de ser inserido na lista de transplanta pulmonar. Conheço pacientes que têm variante não-F508del do gene CFTR e que já fazem uso porque conseguiram na justiça o direito ao medicamento. De igual forma, passaram a viver em condições EXCELENTES de saúde com o trikafta (mutação responsiva ao tratamento). Os relatos da minha médica, uma das maiores autoridades do país nos estudos e tratamentos da fibrose cística, são de que esses pacientes também tiveram uma recuperação EXTREMAMENTE EXTRAORDINÁRIA depois de estarem muito ruins.	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA há 3 anos, Positivo e facilidades: SIMPLESMENTE: passei a viver em condições excelentes de saúde depois de estar em vias de ser indicado para transplante pulmonar quando meu quadro era muito delicado. A recuperação com o TRIKAFTA foi em curto espaço de tempo e vivo normalmente hoje. Nunca imaginei que esse medicamento pudesse ser tão ESPETACULAR como é. E conheço crianças com menos de 5 anos que conseguiram na justiça o fornecimento e, de um cenário extremamente ruim, vivem hoje em uma condição excelente., Negativo e dificuldades: Não houve nenhum aspecto negativo digno de consideração frente ao tamanho benefício do medicamento para minha saúde/vida	3ª - Sim, Qual: Alfadornase, solução salínica hipertônica, antibióticos variados por longos períodos sucessivos, fisioterapia pulmonar, antinflamatórios etc., Positivo: Apenas um pequeno alívio temporário, sem ação direta na causa da doença. Não se evitava a progressão da doença. Tanto que eu estava em vias de ser indicado para transplante pulmonar quando comecei a fazer uso do trikafta., Negativo: Cansaço intenso e tratamentos apenas paliativos	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com toda certeza o elexacaftor,tezacftor,ivacaftor deve ser incorporado no sus para atender esses paciente com pelo menos uma mutação não delf508. Ter saúde é um direito de todos e esses pacientes merecem o direito de ter saúde e qualidade de vida. Esse medicamento traz benefícios significativos de melhora na saúde do paciente de fibrose cistica e impede o avanço da doença. Eu faço uso há 2 anos e sou prova disso.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor, tezacaftor, ivacaftor faço uso há 2 anos., Positivo e facilidades: Inúmeros benefícios melhora da função e capacidade pulmonar, sem infecção e exacerbações, ganho de peso e massa muscular, melhora na disposição e qualidade de vida. E o mais importante impede a evolução da doença e me trouxe uma maior expectativa de vida. , Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo.	3ª - Sim, Qual: Alfadornaze, antibióticos como tobramicina,gentamicina,ceftazidima, enzimas pancreaticas, suplementos e vitamina., Positivo: Apenas tratavam o sintomas da doença. Porém não impedia as exacerbação infecciosas e a evolução da doença., Negativo: não impedia as exacerbações infecciosas e não impede a evolução da doença.	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 **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O acesso à terapia tripla representa um marco no tratamento da fibrose cística. Por atuar diretamente na correção do defeito fisiopatológico básico da doença, o tratamento gera uma queda expressiva no número de exacerbações agudas e hospitalizações. Mais do que mitigar danos, a terapia freia a progressão da doença estrutural pulmonar e devolve funcionalidade e qualidade de vida real a esses pacientes via SUS.	2ª - Sim, Qual: Medicamento - TRIKAFTA - Terapia tripla , Positivo e facilidades: Como fisioterapeuta atuante em um centro de referência, observo na prática clínica o impacto sistêmico e funcional do Trikafta. Documentamos ganhos respiratórios expressivos, incluindo aumento médio de 10% no VEF1, redução significativa da hipersecreção pulmonar e melhora sustentada na oximetria de pulso. Além disso, os desfechos funcionais são notáveis: os pacientes apresentam retomada da independência nas AVDs, com incrementos substanciais na distância percorrida no Teste de Caminhada de 6 Minutos (TC6M) e na força de preensão palmar (FPP)., Negativo e dificuldades: Os aspectos negativos restringem-se a efeitos adversos pontuais e contornáveis. Observo, principalmente, o ganho ponderal excessivo (sobrepeso) devido à rápida melhora metabólica e absortiva, além de casos isolados de intolerância gastrointestinal, manifestada por episódios de diarreia em uma minoria dos pacientes.	3ª - Sim, Qual: Medicamento : A introdução do Kalydeco (ivacaftor) otimizou diretamente a reabilitação respiratória. Ao restaurar a hidratação das vias aéreas, o medicamento facilita drasticamente a higiene brônquica e reduz a hipersecreção. Isso diminui o trabalho respiratório e se traduz em maior tolerância ao esforço físico e autonomia funciona, Positivo: O uso do Kalydeco garante um controle secretivo eficaz e a estabilização da função pulmonar. Trata-se de uma terapia-alvo que reduz internações e devolve qualidade de vida real ao paciente., Negativo: Nos aspectos negativos do Kalydeco (como elevação de transaminases hepáticas, tontura ou sintomas respiratórios altos)	4ª - "A vivência clínica em um centro de referência para Fibrose Cística (FC) em adultos no Rio de Janeiro, com acompanhamento superior a 130 pacientes, evidencia os desfechos funcionais positivos da terapia moduladora. Como exemplo representativo, relata-se o caso do paciente L.R.M.D.S., sexo masculino, portador das mutações R334W/G85E, não elegível pelo SUS à Terapia Tripla , mas que iniciou o uso por receber por doação a medicação. Na avaliação basal, antes da mediação , o paciente exibia intolerância severa ao exercício, sendo incapaz de finalizar o Teste de Caminhada de 6 Minutos (TC6). A interrupção precoce (antes do terceiro minuto) ocorria em virtude de dessaturação acentuada e dispneia limitante (Borg 8).Após o início do tratamento com ELX/TEZ/IVA, constatou-se evolução funcional substancial. O paciente registrou uma Distância percorrida no TC6 (DTC6) de 551 metros. Tendo em vista a distância prevista de 660 metros, o desempenho representou 83,4% do predito, com estabilidade da SpO2 (90–95%). Esses achados corroboram que a otimização da tolerância ao esforço reflete diretamente na recuperação da independência para as Atividades de Vida Diária (AVDs). Adicionalmente, o tratamento associa-se à mitigação de exacerbações pulmonares, redução das taxas de hospitalização e impacto clínico sustentado na	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:
				qualidade de vida.Referências:, Enright PL, Sherrill DL (1998). Reference equations for the six-minute walk in healthy adults. Am J Respir Crit Care Med., Britto RR, et al. (2013). Reference equations for the six-minute walk distance based on a Brazilian multicenter study. Braz J Phys Ther.""""	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acredito na melhora da qualidade de vida para portadores de Fibrose Cistica com a utilização desse medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tem ser incorporado trikfta mutações raras e nova vida para eles meus filhos renasceram de novo	2ª - Sim, Qual: Trikfta , Positivo e facilidades: Função pulmonar aumentou. Sem axcerbacoes. Sem internamento . Ganho peso e qualidade vida melhorou 100%, Negativo e dificuldades: Menhum aspectos negativo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha Mãe tem Fibrose Cística, e ela estava em estado de quase morte, ficou internada por muitos meses, ficou muitos dias na CTI, e depois que ela utilizou o Trikafta, ela melhorou bem rápido, e conseguiu sair da CTI e sair do hospital e ficar em casa, continuando o tratamento em casa, e hoje em dia ela consegue andar, consegue trabalhar, e fazer muitas tarefas que antes era Impossivel, então o que posso dizer sobre esse medicamento é que ele não apenas salva as vidas, mas transforma, então com toda certeza essa medicamento precisa ser Incluido no SUS pois é algo que faz total diferença, fez toda a diferença pra minha mãe, pra mim e pra minha familia.	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:
Pessoa com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou uma pessoa com a mutação delta f508 e posso afirmar que a medicação mudou completamente a minha vida. Ganhei peso, nao internei mais e posso ser produtivo para a sociedade. Hoje trabalho, moro com minha namorada, vivo como um jovem de 28 anos deve viver e isso por conta do medicamento. Acredito que a maior disponibilidade dele vai ser benéfica para uma sociedade mais saudável e produtiva.	2ª - Sim, Qual: O trikafta., Positivo e facilidades: Ganho de peso, melhora de função pulmonar, não ter mais internações, poder trabalhar e viver., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho necessário a inclusão dessa medicação para que mude a vida de milhares de pessoas que sofrem com a Fibrose Cistica.	2ª - Sim, Qual: Meu filho toma essa medicação a um ano e dois meses. , Positivo e facilidades: Acabou a tosse e a secreção que eam constantes. Também ele não passou mais por internações que Também eram frequentes e muito difíceis pra toda família. Ele tinha Pneumonia de repetição várias vezes por ano., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Essa medicação é muito cara e não vende aqui no Brasil impossibilitando o acesso pra pessoas simples como nós.
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação já foi testada e comprovada que é eficaz, não só pra quem tem a variante Delta F 508,, Se todas as famílias que convivem com filhos de Fibrose Cística, conseguir ter acesso a essa medicação, as internações, as complicações, com certeza seriam amenizadas para que haja uma vida normal., #trikaftajá	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esta provado por órgãos que e eficiente,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Todas indicam	5ª - Não
Interessado no tema **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Quando eu conheci ela. Ela vivia cansada, sem fôlego pra nada e com a rotina bem limitada. sem poder trabalhar e depois que ela começou a tomar o remédio novo. Em pouco tempo, ela já tava com outra cara, com muito mais força e fôlego pra aguentar o dia a dia. e agora esta conseguindo fazer as coisas dela de boa voltou a trabalhar e ter mais qualidade de vida, .	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 **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Embora a mutação F508del seja a mais frequente mundialmente, vários pacientes brasileiros apresentam outras variantes capazes de responder ao tratamento com elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor conforme demonstrado por estudos laboratoriais, estudos clínicos e dados de vida real., Como pneumologista pediátrico, acompanho pacientes com fibrose cística tratados com a combinação elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor e observo benefícios consistentes, incluindo:, •melhora da função pulmonar, , •redução expressiva das exacerbações, , •menor necessidade de hospitalizações, , •redução do uso de antibióticos intravenosos, , •melhora do estado nutricional, , •aumento da capacidade funcional, , •melhora importante da qualidade de vida., Assim, pacientes portadores de outras mutações responsivas compartilham o mesmo racional biológico para utilização do medicamento., Negar acesso ao tratamento apenas pela diferença da variante genética, quando existe evidência funcional de resposta, significa impedir que esses pacientes recebam uma terapia capaz de modificar a história natural da doença., Nos últimos anos, diversos estudos internacionais demonstraram benefícios clínicos também em indivíduos sem a mutação F508del, incluindo pacientes com variantes raras responsivas.Os benefícios clínicos esperados incluem menor número de exacerbações pulmonares, preservação da função pulmonar, menor necessidade de internações hospitalares, melhora do estado nutricional e da qualidade de vida, com provável redução dos custos assistenciais ao Sistema Único de Saúde., Considerando as evidências científicas disponíveis, a experiência clínica acumulada e o mecanismo biológico da doença, manifesto apoio à ampliação da incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pacientes portadores de outras mutações elegíveis, permitindo que indivíduos com variantes comprovadamente responsivas também tenham acesso a uma terapia modificadora da doença., "	2ª - Sim, Qual: A combinação elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor em pacientes com mutação genética DeltaF508, Positivo e facilidades: Resultados extremamente positivos em pacientes tratados com essa combinação com melhora acentuada do quadro pulmonar, Negativo e dificuldades: Alguns efeitos colaterais como elevação da CPK e das enzimas hepáticas, com pouca significância clínica	3ª - Sim, Qual: Outras opções terapêuticas como Dornase alfa, solução salina hipertônica e fisioterapia respiratória, Apenas retardam a lesão pulmonar crônica pois não tem capacidade de corrigir o problemas essencial da enfermidade, Positivo: Apenas retardo das lesões pulmonares , Negativo: A não capacidade de corrigir o defeito fisiopatológico da doença	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 **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conforme a lei corri caí americana e europeia os trabalhos científicos mostram benefícios muito semelhantes ao pacientes com mutação deltas 508	2ª - Sim, Qual: Nós pacientes com delta f 508 observamos melhora substancial de qualidade de vida assim como melhora da função pulmonar ganho ponderal e diminuição das exacerbações e internações , Positivo e facilidades: Nós pacientes com delta f 508 observamos melhora substancial de qualidade de vida assim como melhora da função pulmonar ganho ponderal e diminuição das exacerbações e internações . Pela bula americana as mutações eesonsivsr terão os mesmos ben cicios , Negativo e dificuldades: Nenhum até o momento	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Nós que temos fibrose precisamos de um medicamento que nos ajude a melhorar cada dia mais. E o trikafta tem se mostrado muito eficaz nessa questão.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Tive uma boa melhora, tanto na disposição como clinicamente , Negativo e dificuldades: Nos primeiros dias enjoo	3ª - Sim, Qual: Creon , Alpha dornase, Tobramicina, Positivo: Em conjunto os outros medicamentos faz uma melhora significativa , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O remédio muda totalmente para melhor a condição de saúde do portador da doença. Minha filha já usa o remédio e melhorou muito sua condição de vida após o início do uso.	2ª - Sim, Qual: Minha filha já usa este remédio, Positivo e facilidades: Melhora na respiração,capacidade pulmonar,melhor recuperação quando fica gripado,ganho de peso,mais disposição para o dia-a-dia., Negativo e dificuldades: No início a adaptaçào ocorre tonturas,dores abdominais.	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:
Pessoa com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento deve ser incorporado ao SUS, pois transforma profundamente a vida das pessoas com fibrose cística e também de suas famílias., Após iniciar o tratamento, houve uma redução significativa das tosses, da produção de secreção e da frequência das infecções respiratórias. Como consequência, diminuíram os internamentos, o uso recorrente de antibióticos e até mesmo a necessidade de alguns outros medicamentos de uso contínuo. O tratamento proporciona uma qualidade de vida muito superior, permitindo que a doença deixe de controlar completamente a rotina do paciente., Antes de utilizar essa medicação, eu não conseguia trabalhar, pois precisava ser internada com frequência, apresentava episódios de hemoptise (tosse com sangue), sofria com intensa falta de ar e vivia em constante medo das complicações da doença. Esse cenário também afetava minha saúde mental, causando crises de ansiedade e uma sensação permanente de insegurança em relação ao futuro., Hoje, graças ao medicamento, consigo trabalhar, realizar atividades que antes eram impossíveis e planejar minha vida com muito mais tranquilidade. A melhora não representa apenas um benefício clínico, mas a possibilidade de viver com dignidade, autonomia e esperança., Por isso, desejo que essa medicação seja incorporada ao SUS, para que todas as pessoas com fibrose cística tenham a oportunidade de viver com mais saúde, menos sofrimento e melhor qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (TRIKAFTA), Positivo e facilidades: Com o uso da medicação, percebi uma melhora significativa na minha qualidade de vida. As tosses, a produção de secreção e as infecções respiratórias diminuíram muito, deixei de apresentar episódios de hemoptise (tosse com sangue) e a necessidade de internações e do uso frequente de antibióticos também reduziu significativamente. Passei a ter mais disposição, respirar melhor e realizar atividades do dia a dia que antes eram limitadas pela doença. Além dos benefícios físicos, também ganhei mais tranquilidade e segurança para viver, trabalhar e fazer planos para o futuro., Negativo e dificuldades: Não houve aspectos negativos.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, No centro de FC onde trabalho, cerca de 20% dos pacientes se enquadram nesta categoria. Temos observado uma melhora substancial naqueles pacientes já em uso do tratamento, e as evidências clínicas suportam seu uso nas mutações não delta F 508 (comprovadamente responsivas), e creio que, pelo princípio de justiça do SUS, estes pacientes também devem receber a medicação.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: A medicação melhora a taxa de exacerbações, melhora o ganho ponderal, estabiliza e reduz a perda de função pulmonar, estabiliza a função pancreática, contribui para um aumento substancial na qualidade de vida dos pacientes pela redução de carga de medicamentos e redução de exacerbações e internações, além de aumentar a sobrevida. Para o SUS, há redução substancial no gasto com internações e com medicamentos como antibióticos., Negativo e dificuldades: Até o momento, nenhum do ponto de vista clínico.	3ª - Sim, Qual: Enzimas pancreáticas, vitaminas, antibióticos inalatorios, mucoliticos. , Positivo: Elas apenas atenuam a doença, sem efeitos de resolução efetiva do problema., Negativo: Efeito parcial no controle da doença.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, meu filho faz uso da medicacao e sua qualidade de vida mudou completamente sem internacoes ou tratamentos intensos c antibioticos	2ª - Sim, Qual: trikfta 150, Positivo e facilidades: mudanca radical na qualidade de vida, sem tratamentos intensos c antibioticos e internacoes, Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
05/07/2026					

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 **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pessoas com fibrose cística portadoras de variantes raras responsivas, incluindo a variante G85E., , A realização de ensaios clínicos randomizados específicos para cada variante rara individualmente é, na prática, inviável, pois muitas dessas variantes são ultra-raras. Nesse contexto, considero adequada a utilização de um conjunto de evidências composto por plausibilidade biológica, resposta funcional in vitro, estudos clínicos envolvendo grupos de variantes responsivas e dados de mundo real., A variante G85E consta na lista de mutações do gene CFTR aprovadas pela FDA para uso de Trikafta, conforme divulgado pela Cystic Fibrosis Foundation com base na U.S. Food and Drug Administration. Portanto, trata-se de uma variante já reconhecida como responsiva em agência regulatória internacional., Na prática clínica, o impacto do acesso aos moduladores de CFTR tem sido transformador. Observa-se melhora da qualidade de vida, redução de exacerbações e internações, maior estabilidade clínica, ganho funcional, retorno às atividades habituais e, em alguns casos, possibilidade de retorno ao mercado de trabalho. Esses benefícios não se limitam ao paciente: modificam também a dinâmica familiar, a carga de cuidado e a perspectiva de vida., Do ponto de vista econômico e assistencial, a estabilização clínica pode reduzir gastos com internações, antibióticos, oxigenoterapia, deslocamentos frequentes aos serviços de saúde e outros tratamentos de suporte. Com a evolução favorável em uso de moduladores, alguns medicamentos e cuidados antes necessários podem ser reduzidos ou suspensos, sempre sob monitoramento médico., Diante disso, sou favorável à incorporação da tecnologia para variantes raras responsivas, com protocolo de monitoramento clínico, laboratorial e funcional, garantindo acesso equitativo aos pacientes que hoje permanecem sem alternativa modificadora da doença no SUS.	2ª - Sim, Qual: Tenho experiência direta com o uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor em pacientes adultos com fibrose cística acompanhados em centro de referência, incluindo pacientes com variantes raras não-F508del responsivas, como a G85E., , Em especial, acompanho uma paciente com genótipo G85E/Y1092X, 25 anos, com doença pulmonar e hepatobiliar graves, insuficiência pancreática, bronquiectasias, colonização por Burkholderia, colangite esclerosante, internações recorrentes para antibioticoterapia intravenosa e importante comprometimento da qualidade de vida, com vômitos diários, dor abdominal crônica e perda ponderal., , Após o início do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, observei uma mudança significativa na evolução clínica da paciente, com desaparecimento das exacerbações, recuperação nutricicional, melhora expressiva da função pulmonar, resolução completa dos sintomas gastrointestinais e normalização das provas de função hepática, permitindo importante redução da carga terapêutica., , Um aspecto particularmente marcante foi que, após estabilização clínica sustentada, a paciente pôde realizar o planejamento reprodutivo e atualmente encontra-se com 11 semanas de gestação, evoluindo de forma estável. Essa gestação representa, na prática, uma mudança profunda de perspectiva de vida, que dificilmente seria possível em um cenário de doença ativa, instabilidade clínica e internações frequentes., , Essa experiência reforça que os moduladores de CFTR não apenas melhoram parâmetros laboratoriais e funcionais, mas modificam o curso natural da doença e permitem que pacientes com variantes raras voltem a fazer planos de longo prazo, com mais segurança, autonomia e qualidade de vida., Positivo e facilidades: Na minha experiência, o uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor em paciente de 25 anos com variante rara responsiva G85E esteve associado a melhora clínica expressiva e mensurável., , Após o início do tratamento, a paciente evoluiu sem exacerbações registradas, sem tosse ou secreção crônica, com SpO2 de 99%, ganho ponderal de 42 kg para 58 kg e melhora da função pulmonar: VEF1 de aproximadamente 57% antes do tratamento para 70,5% em junho de 2026, chegando a 80% pós-broncodilatador em março de 2026., , Também houve melhora completa dos vômitos diários e da dor abdominal crônica, além de normalização das provas de função hepática, apesar do uso da terapêutica tripla. Observou-se ainda redução importante da carga terapêutica e melhora global da qualidade de vida., , Esses desfechos são altamente relevantes para o SUS: menor necessidade de internações, menor uso de antibióticos intravenosos, preservação da função pulmonar, melhora nutricional, redução de sintomas crônicos e potencial diminuição de custos assistenciais. Para pacientes com variantes raras	3ª - Sim, Qual: Tenho experiência com ivacaftor em pacientes com fibrose cística e variantes responsivas, além do tratamento convencional com alfadornase, broncodilatadores, antibióticos, enzimas pancreáticas, suporte nutricional e fisioterapia respiratória., Acompanhei paciente mulher, 29 anos, com FC desde 1 ano e 10 meses, mutações F508del/G1244E, insuficiência pancreática exócrina e colonização por Pseudomonas aeruginosa. Antes do ivacaftor, apresentava tosse produtiva recorrente. Após início em outubro de 2019, evoluiu com melhora do estado geral, desaparecimento dos sintomas respiratórios, reversão da produção de escarro, ganho de 2 kg e ausência de exacerbações. A função pulmonar melhorou de VEF1 2,4 L, 87,9%, em 16/08/2019, para 2,7 L, 96,4%, em 22/11/2019. A paciente relatou que deixou de tossir, reduziu necessidade de antibióticos, passou a dormir melhor, estudar e trabalhar com melhor rendimento, além de melhora do fôlego e dos sintomas gastrointestinais., Também acompanhei a irmã, mulher, 27 anos, com FC desde os 2 meses, mutações F508del/G1244E, insuficiência pancreática exócrina, colonização por Pseudomonas aeruginosa, Mycobacterium abscessus e Aspergillus fumigatus. Iniciou ivacaftor em 03/06/2019. Evoluiu com melhora significativa da qualidade de vida, redução de exacerbações, redução importante da tosse e secreção respiratória, ganho de peso de 47 kg para 55 kg e ausência de novas internações. A paciente relatou maior disposição física, melhora do sono, redução das diarreias e menor ansiedade por conseguir planejar casamento, filhos e carreira. , Outro paciente, homem, 39 anos, com FC, F508del/G551D, insuficiência pancreática exócrina, diabetes relacionado à FC e colonização crônica por complexo Burkholderia cepacia, iniciou ivacaftor em 17/11/2018. Evoluiu com ganho ponderal de 64,7 kg para 71 kg, IMC de 21,42 para 23,50, melhora do VEF1 de 2,11 L, 53%, para 2,88 L, 71%, redução expressiva de secreção, tosse e cansaço., Esses dados reforçam que moduladores de CFTR, Positivo: A experiência com moduladores de CFTR, inicialmente com ivacaftor e posteriormente com elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, mostrou benefícios claros para os pacientes e também para a organização do cuidado em centro de	4ª - As evidências clínicas sustentam o uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) em pessoas com fibrose cística portadoras de variantes raras responsivas do CFTR. Para essas variantes, ensaios clínicos por mutação são, na prática, inviáveis, pois muitas são ultra-raras. Assim, a decisão deve integrar plausibilidade biológica, resposta in vitro, estudos clínicos com grupos de variantes responsivas e dados de mundo real., Castellani et al. avaliaram 620 variantes raras não-F508del em modelo celular FRT, 518/620 (84%) responderam ao ETI. No estudo clínico fase 3 com variantes raras não-F508del, houve melhora média do VEF1 previsto de 9,2 pontos percentuais, redução do cloro no suor em 28,3 mmol/L e melhora de 19,5 pontos no domínio respiratório do CFQ-R. Esses dados demonstram benefício funcional em população pouco representada nos estudos clássicos., A variante G85E consta em lista de mutações do CFTR aprovadas pela FDA - Trikafta, conforme documento da Cystic Fibrosis Foundation baseado na U.S. Food and Drug Administration., Dados de mundo real reforçam esses achados. Burgel et al., no programa francês de uso compassivo, observaram benefício clínico do ETI em pessoas com FC sem variante F508del, incluindo pacientes com doença pulmonar avançada e em avaliação para transplante. Mouliade et al., em coorte nacional francesa com 10.083 pessoas com FC ?12 anos, observaram queda	5ª - Os custos evitados devem ocupar papel central na avaliação econômica dos moduladores de CFTR. Na fibrose cística, o custo assistencial não se limita ao preço do medicamento: inclui exacerbações, internações, antibioticoterapia IV, oxigenoterapia, exames, consultas, equipe multiprofissional e, em casos avançados, avaliação para transplante., , Estudos de mundo real mostram que elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) reduz exacerbações, hospitalizações, dias de internação e utilização de recursos. Schechter et al. observaram, em análise retrospectiva de seguros de saúde dos EUA, redução de exacerbações, hospitalizações e custos associados após ETI. Råket et al., em coorte nacional com seguimento de até 24 meses, observaram redução de hospitalizações eletivas, contatos ambulatoriais hospitalares, visitas à farmácia, coletas de sangue e dias de internação. Marshall et al. demonstraram que, embora o custo total aumente pelo preço farmacêutico, há redução significativa de exacerbações e utilização de recursos em saúde., , Além dos custos diretos, devem ser considerados absenteísmo, perda de produtividade, dependência de

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:
		responsivas, negar acesso significa manter uma desigualdade baseada no genótipo, mesmo quando há evidência de responsividade e benefício clínico., Negativo e dificuldades: Não observei eventos adversos graves que superassem os benefícios clínicos obtidos com o uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor., , O principal ponto de atenção não é um aspecto negativo, mas um cuidado necessário: o tratamento exige monitoramento clínico e laboratorial regular, especialmente da função hepática, além de atenção a sintomas gastrointestinais ou musculoesqueléticos no início do uso. Quando surgem sintomas, eles podem ser manejados com acompanhamento médico, ajuste temporário e reintrodução progressiva., , Considero que esses cuidados são plenamente viáveis dentro de um protocolo estruturado de seguimento e não reduzem a relevância dos benefícios observados.	referência em fibrose cística., Do ponto de vista clínico, observei melhora objetiva da função pulmonar, ganho ponderal, redução de tosse, secreção respiratória, exacerbações, necessidade de antibióticos e internações. Também houve melhora de sintomas gastrointestinais, sono, disposição física, rendimento no trabalho e nos estudos, além de maior segurança emocional para planejar o futuro., O impacto ultrapassa o indivíduo. Muitos pacientes eram dependentes de cuidados diários intensos realizados por pais ou familiares, alguns com necessidade de oxigênio domiciliar, consultas frequentes, internações repetidas e limitação importante para estudar, trabalhar ou circular socialmente. Com a estabilização clínica, parte desses pacientes recuperou autonomia, reduziu a dependência familiar, voltou ao trabalho e passou a considerar projetos antes inviáveis, como constituir família, avançar na carreira e retomar participação social., Esse benefício também modifica a dinâmica familiar e comunitária: pais e cuidadores podem reduzir a carga de cuidado, reorganizar sua rotina e, em alguns casos, retornar ao trabalho. O paciente deixa de ocupar permanentemente o lugar de pessoa gravemente doente e volta a participar da comunidade., Na estrutura assistencial, a melhora clínica permitiu espaçar consultas com segurança, reduzir encaixes, atendimentos urgentes, internações e ciclos de antibioticoterapia IV. Nosso ambulatório recebe pacientes pediátricos que cresceram, fazem a transição para o cuidado adulto e permanecem em seguimento longitudinal. Com pacientes mais estáveis, essa transição se torna mais segura e o serviço direciona melhor tempo e recursos aos casos de maior gravidade., Portanto, os aspectos positivos não se limitam a parâmetros clínicos. Os moduladores de, Negativo: Da mesma forma que ja respondi acima, não observei eventos adversos graves que superassem os benefícios clínicos obtidos com o uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor., O principal ponto de atenção não é um aspecto negativo, mas um cuidado necessário: o tratamento exige monitoramento clínico e laboratorial regular, especialmente da função hepática, além de atenção a sintomas gastrointestinais ou musculoesqueléticos no início do uso. Quando surgem sintomas, eles podem ser	da progressão da doença hepática relacionada à FC após a era ETI, de 25,4 para 1,2 casos por 1.000 pessoas-ano, sem aumento de falência hepática aguda., , Na experiência do nosso centro, pacientes com G85E em uso de ETI apresentaram melhora de VEF1, ganho ponderal, redução de exacerbações, menor necessidade de internação e antibiótico IV, melhora gastrointestinal, estabilidade hepatobiliar e maior autonomia., , Castellani C et al. Am J Respir Crit Care Med. 2026., Burgel PR et al. Lancet Respir Med. 2024, 12:888-900., Mouliade C et al. JHEP Rep. 2025, 7:101512., CFF/FDA. Trikafta Approved Mutations.	cuidadores, deslocamentos e impacto familiar. Na experiência do nosso centro, pacientes em uso de moduladores tiveram maior estabilidade clínica, menos internações, menos atendimentos urgentes e maior autonomia., , Recomendo que a análise econômica incorpore custos evitados, impacto familiar e produtividade, com negociação de preço, monitoramento e registro nacional de efetividade, segurança, exacerbações, hospitalizações, oxigenoterapia, função pulmonar, estado nutricional e transplante., , 1. Schechter MS et al. Pulm Ther. 2023. doi:10.1007/s41030-023-00241-z. , , 2. Råket HK et al. Pulm Ther. 2025. doi:10.1007/s41030-025-00287-1. , , 3. Marshall LZ et al. J Manag Care Spec Pharm. 2023, 29(6):599-606. doi:10.18553/jmcp.2023.29.6.599.,

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:
			manejados com acompanhamento médico, ajuste temporário e reintrodução progressiva., , Considero que esses cuidados são plenamente viáveis dentro de um protocolo estruturado de seguimento e não reduzem a relevância dos benefícios observados.		
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sei o quanto é importante a incorporação no SUS pois tenho uma netinha de 4 aninhos que tem essa doença e precisa muito desse medicamento.	2ª - Sim, Qual: Medicamento , Positivo e facilidades: Vários , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Uso do colete,fisioterapia, natação , Positivo: Diminuição das internações , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com o uso desta medicação, minha filha teve substancial melhora do seu quadro secretivo	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Melhora o quadro secretivo, Ganho de peso, Melhora dos quadros virais, Negativo e dificuldades: Leve cefaleia ao iniciar obtuso do medicamento	3ª - Sim, Qual: Creon, Alfadornase, Tobramicina, Positivo: Não há como saber, minha filha osnutiliza desde o segundo mês de vida, Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho uma filha de 10 anos que esta tomando medicamento há 1 ano e meio e.mudou a vida dela, ela não tem mais manifestações pulmonares, nem pancreaticas, quando fica gripada ela se cura muito mais rápido sem a necessidade de antibióticos, ja retirou diversos medicamentos que utilizava diariamente para tratar a doença e tem utilizado menos o sistema de saúde, tem mais disposição e qualidade de vida não só para ela como para toda família. , O medicamento deve ser incorporado para crianças para todas as mutações, para não haver danos a saúde e ter uma vida normal sem diversos medicamentos, fisioterapia, consultas e internações que podem ser evitadas com o uso desse medicamento., Além disso essas pessoas poderão trabalhar normalmente sem ficar doente sempre ou internada ou tendo q fazer consultas e fisioterapia diárias., ,	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Menos dias doentes, Menos uso de antibióticos, Vida normal e produtiva , Sem uso de medicamentos diários que so tratam consequência , Menos uso do sistema de saude, Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Medicamentos de uso diário que so tratavam as consequências , Positivo: Nenhum, Negativo: Tratavam somente as consequências, era uso diário e cansativo, nao dava para ter vida normal, estudar e trabalhar	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Isso é essencial para salvar vidas.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Segundo a CR todos têm direito à saúde	2ª - Sim, Qual: Com as medicações em análise , Positivo e facilidades: Melhoras significativas nos pacientes que os utilizam , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação precisa ser incorporada no sus, salvaria muitas vidas e ajudaria o portador da doença a ter uma vida mais tranquila e saudável, infelizmente muitos pacientes não tem condições de comprar a medicação Trikafta, e a nossa única saída e esperança é que seja incorporada no sus.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Cloro, vitamina e as enzimas. , Positivo: Vida mais saudável, ganho de peso., Negativo: Nenhum.	4ª - Não	5ª - Não
Gestores do SUS **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, IRÁ MELHORAR A QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha filha ja tem idade e faz uso dessa medicação e mudou a vida dela. Ela ja não tem secreção como tinha antes e, não sei se ha alguma relação, mas até casos gripais ficaram raros por aqui. É de direito de todos os que possuem essa doença ter acesso a medicação o qto antes.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Diminuição da secreção , Consequentemente Diminuição de gripes ou quadros virais respiratórios, Melhor absorção da comida, Negativo e dificuldades: Leve cefaleia no início mas que não persistiu	3ª - Sim, Qual: Alfadornase, Creon, Positivo: Ajudam na condição de melhora de peso, Negativo: Nenhuma	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, '-	2ª - Sim, Qual: '-, Positivo e facilidades: '-, Negativo e dificuldades: '-	3ª - Sim, Qual: '-, Positivo: '-, Negativo: '-	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos merecem acesso a saúde é uma condição de vida digna.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para pacientes com mutações responsivas à medicação deve ser incorporado para conseguir melhorar a qualidade de vida, com redução dos riscos de internações e adoecimentos graves causados pela doença.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: 1) Creon 10 000 UI antes das refeições , 2) Vitamina ADEK - 2 mL, 3) Neutrofer - 4 gotas, 5) Seretide 25/50 mcg - 1 jato/dia, 6) Nebulização com solução salina 3% 1x/dia, 7) NaCl 20% - 7 mL via oral, 8) Fisioterapia respiratória diária, sendo duas vezes por semana com profissional habilitado., 9) Lavagem nasal diária, , Positivo: manutenção da condição de saúde., Negativo: não trata a causa base da doença	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para melhorar e ajudar nas avaliações médicas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A implementação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos, com pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR que seja responsiva ao mesmo trará benefícios à vida desses pacientes e melhora de desfechos.	2ª - Sim, Qual: Com pacientes em uso da terapia, através de pesquisas. , Positivo e facilidades: Melhora de desfechos clínicos e funcionais. , Negativo e dificuldades: Difícil acesso à medicação.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como profissional de saúde que acompanha e trata pacientes com Fibrose Cística delta F508 tenho visto a grande transformação na vida destas crianças: diminuição das exacerbações, melhora do estado nutricional, melhora ou estabilização da função pulmonar e consequentemente da qualidade de vida e sobrevida. Daí, os pacientes não-delta F508 e que têm mutações raras responsíveis à terapia tripla poderiam também se beneficiar com o tratamento. Certamente esses pacientes diminuiriam os custos hospitalares, o absenteísmo escolar e poderiam se tornar adultos produtivos.,	2ª - Sim, Qual: Com os moduladores do canal do cloro: elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor em pacientes delta F508, Positivo e facilidades: Como citei anteriormente, a terapia com ETI permitiu mudanças incríveis na vida dos nossos pacientes que estão em tratamento. Vou dar 1 exemplo entre tantos que estamos acompanhando antes e depois do início da terapia ETI:, Criança de 7 anos, diagnosticada pela triagem neonatal, delta F508, iniciou acompanhamento ambulatorial desde os 6 meses de idade e tratamento com ETI aos 6 anos., O cloro no suor antes era 103 mmol/L e caiu para 28 mmol/L, houve remissão da tosse, não apresentou nenhuma exacerbação pulmonar que necessitasse de internar, o VEF1 passou de 76% para 92% em 6 meses de tratamento. Esses resultados podem ser extensivos aos paciente não delta F508 que sejam responsivos ao ETI., , Negativo e dificuldades: O alto custo e a interrupção do tratamento por falta de disponibilidade na rede pública de saúde (UNICAT)	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 **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como médica que atua no acompanhamento de crianças e adolescentes com fibrose cística, manifesto parecer favorável à ampliação do acesso à combinação elezacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pacientes acima de 6 anos com mutações elegíveis não-F508del. Na prática clínica, a terapia modificadora da proteína CFTR transformou a evolução da doença dos pacientes que estão em uso dessa medicação, promovendo melhora consistente da função pulmonar (aumento dos valores de VEF1), do estado nutricional (excelente ganho pondero-estatural e aumento do IMC), dos sintomas respiratórios e gastrointestinais (redução expressiva da tosse, secreção respiratória, dispnéia, dor abdominal e esteatorreia, muitos pacientes estão assintomáticos), além de reduzir exacerbações e internações hospitalares. A ampliação da indicação representa uma medida baseada em evidências, promove equidade no acesso e oferece a esses pacientes a oportunidade de modificar significativamente a história natural da fibrose cística.	2ª - Sim, Qual: Uso dessa medicação em pacientes pediátricos acima de 6 anos com ao menos uma mutação F508del., Positivo e facilidades: Como já relatado acima, essa medicação modificou o curso da história natural da doença nos pacientes que usaram, observado por mim durante as consultas regulares. São melhorias clínicas sustentadas e redução das exarcebações, isso reduz gastos com visitas a pronto-socorro e internações hospitalares. Além disso, repercute de forma favorável na qualidade de vida dos pacientes e de seus familiares. , Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa é uma oportunidade único, que tem o poder de mudar a vida de quem tem e tambem dar esperança e conforto para quem convive com quem nasceu com a fibrose cística. Quanto antes tiverem acesso ao medicamento melhor sera a qualidade de vida da pessoa. Desde ja agradeço oportunidade e aos envolvidos a essa incorporação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que deve ser incorporada, pois é um medicamento que virá a ajudar muitas crianças.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação da tecnologia no SUS, pois as evidências científicas demonstram benefícios clínicos importantes para pacientes com fibrose cística portadores de variantes responsivas do gene CFTR, incluindo melhora da função pulmonar, redução de exacerbações, aumento da qualidade de vida e maior sobrevida. A disponibilização pelo SUS contribui para a equidade no acesso a um tratamento altamente eficaz para uma doença rara e grave.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda criança com fibrose cistica tem direito de ter esperança e uma boa qualidade de vida e esse medicamento muda muito a vida dessas criancas! Tenho uma bebê de 2 meses que foi diagnosticada no teste do pezinho com Fibrose Cistica e todas as mães que conversei dissem que a vida mudou após o uso desse medicamento!	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: No momento uso de enzimas pancreaticas, Positivo: Minha bebe começou ganhar peso após o uso das enzimas, Negativo: A administração deve ser feita sempre antes da mamada!	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Vivo com uma pessoa que recuperou a vida depois de estar na iminência de ser encaminhado a transplante pulmonar e acho que o direito à vida deve ser garantido a todos.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Recuperação absoluta da saúde , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Tratamentos convencionais já incorporados ao Sus que não agiam na causa da doença e eram apenas paliativos, Positivo: Tratamentos temporários e ineficazes contra a doença , Negativo: Muito cansaço e sofrimento do paciente sem resultado efetivamente útil	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Por que pagamos nossos impostos para isso. Salvar vidas, dar qualidade de vida. Isso é o melhor que o ser humano pode fazer.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Remédio essencial para o tratamento de pessoas com fibrose cística.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Uso trikafta há 4 meses e nunca estive tão bem de saúde.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Melhoria pulmonar, respirando melhor e mais forte, conseguindo fazer exercícios físicos sem me cansar, Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme, Positivo: Melhoria na limpeza do escarro do meu organismo, Negativo: nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Precisa ser incorporada.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tecnologia fundamental para a vida de pessoas com a doença., Deve ser disponibilizada gratuitamente a todos.	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 **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Há pessoas que precisam desse tratamento e ele deve ser incorporado ao SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eles precisam e o medicamento é muito caro.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Dar qualidade de vida ao paciente. , ,	2ª - Sim, Qual: Experiência prática com as novas terapias., Positivo e facilidades: Melhora clínica, funcional e estrutural., Negativo e dificuldades: Sem experiência	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho importante o governo ajudar essas pessoas, nao são muitas, mas sofrem muito e a.familia toda tb	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento pode prolongar e deixar a vida das pessoas com essa condição de saúde mais confortável	2ª - Sim, Qual: Medicamento , Positivo e facilidades: A melhora significativa na saúde e disposição , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Pumozyme inalatório, enzima pancreática, vitaminas ADEK., Positivo: Controle dos problemas de saúde, como tosse, pouca vitamina e peso baixo., Negativo: Demora no tratamento usando medicamentos inalatórios.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Olá! Me chamo Renata e sou mãe do Ryan Schot Knupp, paciente de Fibrose Cística. Meu filho teve este diagnóstico tardiamente, aos 4 anos e meio de vida. Desde que nasceu, ele não teve saúde, vivíamos passando por consultas médicas e inúmeras internações longas. Todos nós estávamos tentando sobreviver junto com ele. Não tivemos sossego e doía o coração vê-lo a cada dia, piorando mais e mais. , Aos 2 meses e 23 dias de vida, foi submetido a uma transfusão sangüinea, por tão desnutrido que estava. Pois a diarréia era frequente. Não ganhava peso e nessa fase perdia o pouco que tinha. Ele teve todos os sintomas possíveis da FC: (falta de ar, diarréia inchaço abdominal, desnutrição, inúmeras pneumonias, gordura nas fezes, muita tosse e o suor mais salgado que o normal). Ao obtermos o diagnóstico, iniciamos os tratamentos das medicações que amenizavam os sintomas (Aeroilin, Creon, Pulmozyme, Seretide, Salina, Fisioterapias Respiratórias,que foram benéficas sim, sou grata por isso, porém não impedem avanço da doença e nem mais internações., Vi meu filho quase morrer., Após um tempo com esse tratamento, recebemos a tão esperada notícia da equipe médica que Ryan, poderia ter acesso a um novo medicamento, que é o TRIKAFTA. Juntei todos os documentos necess´ários e dei entrada no Processo Judicial. Ele usa o Trikafta desde Março de 2026. E desde então, nossas vidas mudaram. Hoje com 7 aninhos, Ryan está sendo criança de verdade. Brinca, corre, fala como um tagarela e tem toda vitalidade de uma criança. OTrikafta é um milagre que Deus enviou pra nós . , E assim deixo minha contribuição e SÚPLICA para os orgãos envolvidos que incorporem este medicamento aos SUS, para que todos os pacientes de FC tenham uma vida normal e vivam de verdade. , #TRIKAFTAJÁ#	2ª - Sim, Qual: Meu filho de 7 anos está em uso do Trikafta por via judicial desde Março deste ano de 2026., , É uma vitória muito grande, pois antes deste medicamento milagroso, vivíamos mais no hospital do que em casa., , Agora todos da família tem tranquilidade., Positivo e facilidades: Com o uso do TRikafta meu filho está tendo vida de verdade., E desde então, seus sintomas como tosse, secreção em excesso, pneumonias de repetição e as tão temidas internaçoes desapareceram., Se alimenta muito bem e tem disposição de brincar e fazer suas atividades em seu dia-dia., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo, somente qualidade de vida de verdade. O que antes nós todos não tínhamos., , #TRIKAFTA JÁ NO SUS# PARA TODOS OS PACIENTES DE FIBROSE CÍSTICA!, , Suplicamos por esta autorização, pois esta doença não é brincadeira., Conitec, nos dê um parecer favo´rável!	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda ajuda e necessário para quem precisa do tratamento	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:
Pessoa com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho 54 anos e sou portador de fibrose cística. Durante toda a minha vida convivi com problemas pulmonares e gastrointestinais sem receber o diagnóstico correto. Desde a infância, fui submetido a diversos tratamentos que traziam apenas melhoras temporárias, sem identificar a verdadeira causa dos sintomas. Perdi oportunidades de estudo, trabalho, amizades, viagens e convivência, além de enfrentar constantemente mal-estar, cansaço e dificuldade para acompanhar o ritmo das pessoas ao meu redor. Muitas vezes, acreditavam que meus problemas eram psicológicos, e sofri em silêncio por não conseguir explicar o que sentia. Em 2016, tive uma grave hemorragia pulmonar e fui diagnosticado com tuberculose, mesmo sem confirmação do bacilo. Após concluir o tratamento, sofri uma nova hemorragia e recebi o diagnóstico de bronquiectasia, iniciando anos de tratamento para excesso de secreção pulmonar e episódios de sangramento. Embora já existisse uma suspeita de fibrose cística devido à infertilidade diagnosticada por um urologista, nenhum especialista investigou essa possibilidade, principalmente pela raridade da doença em adultos da minha idade. Em 2023, após o surgimento de graves problemas gastrointestinais e a descoberta de insuficiência pancreática grave, um pneumologista finalmente solicitou o teste do suor, que confirmou o diagnóstico. Posteriormente, o exame genético identificou a mutação F508del. Com acompanhamento especializado no Hospital das Clínicas de São Paulo e acesso à medicação Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, passei a ter uma nova perspectiva de vida. Mesmo convivendo com sequelas decorrentes do diagnóstico tardio, hoje tenho qualidade de vida e esperança no futuro. Meu relato demonstra que, apesar de ter sobrevivido até aqui, a trajetória foi extremamente difícil. Por isso, peço a ampliação do acesso ao medicamento para crianças de até 5 anos e para pacientes com outras variantes da fibrose cística, permitindo com saúde, dignidade e	2ª - Sim, Qual: Trikafta (Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), Creon, Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida e convivio social, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: remedio tradicionais para tratamento gastrico e pulmonar, Positivo: Apesar de não funcionar o fato psicologico trazia uma esperança de encontrar o diagnostico correto, , Negativo: nem bom nem ruim simplesmente não funcionavam apenas minimizavam alguns sintomas,	4ª - estou a disposição para contribuir com pesquisas e no quer for preciso para outras pessoas terem condições de diagnosticos e tratamentos,	5ª - sim , não ha preço para a saúde,

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 **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha mae apos anos de de diagnostico errado foi constatada com fibrose cística e isso acarretou em insuficiencia em um dos pulmões mas atraves de muitas buscas a medicação que ajudaria ela a ter uma condicao de vida melhor seria a medicação Tricafta pois apos ela fazer o uso desse medicamento ja conseguiu voltar as atividades comuns como caminhar,brincar com netinho dela no caso meu filho, e seria de grande importancia para ela com tudo a capacidade pulmonar dela melhorou e nao voltou a ser internada por dias por conta de falta de ar,muito secrecao e cansaco recorrente de febre tambem	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acredito que o medicamento deve estar incorporado no SUS.Pois este medicamento melhora consideravelmente a qualidade de vida das pessoas que tem fibrose cística., Conversei com várias pessoas com mães e médicos e com crianças que utilizam esse medicamento.Esse medicamento significa uma nova perspectiva de vida para pessoas com fibrose cistica significa um sonho e melhora considerável na qualidade de vida.voces governantes deveriam aprovar pois irá melhorar muito a qualidade de vida destas pessoas	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha filha está com 38 anos e lutamos muito para mantê-la o melhor possível com os medicamentos apenas sintomáticos oferecidos no Brasil. Muito sofrimento e tratamentos com antibióticos endovenosos, muitas nebulizações e, mesmo assim, a função respiratória sempre caindo. Conseguiu estudar, é biomédica, tudo com enorme sacrifício. Finalmente ela conseguiu emigrar (período muito difícil que atingiu toda a família, pois ela foi sozinha com uma doença gravíssima e a família ficou no Brasil com muita esperança na ciência e novos medicamentos) para os EUA pois foi convidada para fazer um pós doutorado na sua profissão, onde mora até hoje com residência permanente, pois lá aceitam uma das mutações dela para uso do trikafta! A melhora foi enorme!! A função respiratória ficou normal com o tempo, nunca mais precisou de antibióticos endovenosos! Faz uma nebulização apenas por dia. E ela agora trabalha com genética e é especializada em fibrose cística! É paciente e cientista! Desejo que outros pacientes que não tenham a mutação F508 delta, mas possuam uma das 271 aprovadas pelo FDA como a minha filha, tenham a mesma oportunidade! Não é ainda a cura, mas não há mais risco de morte e a vida é praticamente normal! A contribuição da minha filha com a ciência em outro país poderia ter sido feita aqui se o nosso país valorizasse as vidas com doenças raras e o trabalho que cada um poderia fazer pelo Brasil se pudessem ficar no país com uma vida digna e com muito mais saúde!	2ª - Sim, Qual: Trikafta para uma mutação F508delta., Positivo e facilidades: A medicação trikafta que foi aprovada e quem pode aproveitar por ter uma mutação F508delta está muito melhor, sem risco de morte e diminuição do uso dos medicamentos sintomáticos do SUS. , Gasta-se o valor do medicamento, mas diminui o gasto com os outros medicamentos e internações para tratamentos endovenosos!, O trikafta para quem tem outra mutação aprovada pelo FDA é extremamente eficiente e pude acompanhar a melhora e vida normal da minha filha nos EUA!!, Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo!	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Este medicamento salva vidas	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como mãe de dois pacientes portadores de fibrose cística e vendo a impotência da equipe médica,diante da situação deles eu sei que é de suma importância que o trikafta seja incorporado ao SUS imediatamente,vejo a saúde dos meus filhos declinar a cada dia , são anos de tratamentos e internações intermináveis,sem essa medicação a qualidade de vida deles é muito limitada e nossas vidas giram em torno de tratamento 24 horas por dia , isso impacta na vida da família toda ,a dinâmica familiar sempre fica sobrecarregada, tanto física, emocional e financeira ,pois raramente se consegue trabalho formal por todos os cuidados,demandas e terapias que precisam ser feitas para que meus filhos consigam o mínimo. Esse medicamento pode mudar a vida deles e a minha ... quando se está provado a eficácia do medicamento,por inúmeros pacientes que fazem uso e que mudaram de vida ..... precisamos que o SUS dê a chance de uma nova vida pra esse pacientes. Havendo uma tecnologia tão avançada e comprovada e ser negada o acesso a todos ,que de fato tem direito,gera uma certa angústia pra quem luta diariamente apenas para respirar,eu enquanto mãe me sinto frustrada sabendo que,sim,esse medicamento pode salvar sim a vida dos meus filhos ... então sim preciso que a aprovação dessa tecnologia seja o mais rápido possível pois meu filho atingiu 28% de função pulmonar, única esperança no momento é poder ter acesso a medicação de forma continua ,pois ficou internado teve acesso a medicação e seu estado de saúde melhorou significativamente em apenas 5 dias do uso ,ele estava dependendo de O2 pelo avançado Estado da doença e foi inserido trikafta de forma urgente e o resultado foi comprovado .	2ª - Sim, Qual: Com o Trikafta,meu filho teve o avanço da doença ,ficou hospitalizado,sua função pulmonar estava em 28%, dependendo de oxigênio para executar tarefas básicas com uma saturação de 89 e falta de apetite,RX e tomografias totalmente comprometidos, secessão expressa e esverdeada , infecção por várias bactérias ,como comer e poder ir ao banheiro ,foi iniciado o trikafta e em 5 dias o resultado foi maravilhoso, equipe médica sempre soube que faria esse efeito ...o trikafta salvou a vida do meu filho., Positivo e facilidades: Melhoras imediatas, dentro de cinco dias meu filho voltou a comer ,saiu do oxigênio, conseguiu voltar a comer e ac ter esperança de uma condição de vida minimamente saudável mesmo com a doença , Negativo e dificuldades: Aspecto negativo é não ter a medicação disponível a todos os pacientes que podem se beneficiar com o uso e a grande relevância que essa medicação pode causar na vida do paciente e seus familiares	3ª - Sim, Qual: Todas as outras que fazem parte do protocolo de tratamento disponibilizado para a fibrose cística, inclusive inúmeras internações e terapias alternativas que as famílias estão sempre buscando pra o paciente ter o mínimo de atendimento e vidas dignas diante do sofrimento e impotência que essa condição de saúde nos impõe , Positivo: Elas são de suma importância,sim,mas atuam de forma paliativa nis cuidados com a Fibrose cística. Mas o uso dessa nova tecnologia nos dá uma esperança de que possam vir a ter uma vida saudável mesmo com a doença ., Negativo: Muitas medicações que não agem exatamente como de fato o trikafta age ,de certa forma a incorporação do trikafta no SUS pode ainda gerar uma economia com essas outras medicações e ainda a diminuição das internações,pq com o uso do Trikafta os pacientes volta a produzir, trabalhar e diminuem consideravelmente o uso dessas outras tecnologias,pela melhora geral que ocorre na vida do paciente,consequentemente na vida familiar tbm	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 **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pacientes com fibrose cística portadores de variantes CFTR responsivas não F508del, pois a elegibilidade ao tratamento deve ser determinada pela resposta funcional da proteína CFTR e não exclusivamente pela presença da variante F508del. , , Na minha prática em um Centro de Referência para Fibrose Cística do SUS, acompanho pacientes com variantes não F508del que apresentam doença pulmonar progressiva e grave, sem acesso à principal terapia modificadora da doença. A possibilidade de tratamento para pacientes com variantes comprovadamente responsivas representa uma oportunidade de modificar a história natural da doença e reduzir morbidade, hospitalizações e perda de função pulmonar., , Pacientes com variantes não F508del responsivas apresentam a mesma fisiopatologia, desenvolvem graves complicações com grande impacto na qualidade de vida, entretanto, permanecem privados da principal terapia modificadora da doença apenas em razão do genótipo., , Atualmente, há evidências crescentes de que diversas variantes raras apresentam resposta clínica significativa ao ETI. Além dos estudos de registro, dados provenientes de estudos funcionais, evidências de vida real e relatos clínicos demonstram melhora consistente da função pulmonar, redução do cloreto no suor, diminuição das exacerbações pulmonares, menor necessidade de hospitalizações e antibioticoterapia intravenosa, melhora nutricional e importante ganho de qualidade de vida. , , Em doenças raras, nas quais a realização de grandes ensaios clínicos é frequentemente inviável, esse conjunto de evidências é fundamental para subsidiar decisões de incorporação. , , Por esses motivos, considero que a incorporação do ETI para pacientes com variantes CFTR responsivas não F508del representa uma medida baseada em evidências científicas, alinhada aos princípios de equidade, integralidade e universalidade do Sistema Único de Saúde.,	2ª - Sim, Qual: Sou pneumologista pediátrica de um Centro de Referência para Fibrose Cística do SUS e acompanho longitudinalmente aproximadamente 90 crianças e adolescentes com fibrose cística. Atualmente, cerca de 50 pacientes utilizam ETI há pelo menos dois anos, com acompanhamento clínico regular e monitoramento sistemático da função pulmonar, estado nutricional, exacerbações, microbiologia respiratória, testes laboratoriais, cloreto no suor e qualidade de vida., Minha experiência clínica tem demonstrado resultados muito positivos e consistentes com aqueles descritos na literatura científica. De forma geral, observo redução importante das exacerbações pulmonares, menor necessidade de hospitalizações e antibioticoterapia intravenosa, melhora da função pulmonar, ganho ponderoestatural, melhora da qualidade de vida e excelente perfil de segurança., Além da experiência assistencial com essa coorte, participei da elaboração de relatos de casos de pacientes brasileiros com variantes não F508del responsivas ao ETI, nos quais também foram observadas melhoras expressivas em múltiplos desfechos clínicos, laboratoriais, funcionais e radiológicos. , Essa experiência prática reforça minha convicção de que pacientes portadores de variantes não F508del comprovadamente responsivas também podem obter benefícios clínicos significativos com essa terapia e devem ter acesso equitativo ao tratamento., , Positivo e facilidades: Após acompanhar aproximadamente 50 pacientes em uso de ETI por mais de dois anos, posso afirmar que esta terapia modificou de forma significativa a evolução clínica de muitos deles, permitindo observar benefícios sustentados ao longo do seguimento, muito além da melhora inicial descrita nos estudos clínicos. Também pude observar resultados semelhantes nos dois paciente com variantes não F508del responsivas., Negativo e dificuldades: Na minha experiência clínica acompanhando aproximadamente 50 pacientes em uso de ETI há pelo menos dois anos, os efeitos adversos observados foram pouco frequentes e, na grande maioria dos casos, de intensidade leve a moderada. Quando presentes, puderam ser manejados com monitoramento clínico e laboratorial, ajustes terapêuticos ou tratamento sintomático, não havendo necessidade de suspensão definitiva do medicamento., , Um aspecto que merece atenção foi a diminuição da adesão de alguns pacientes às terapias de suporte, especialmente fisioterapia respiratória, nebulizações e outras medidas de rotina. A melhora clínica significativa proporcionada pelo ETI levou alguns pacientes e familiares a terem a percepção equivocada de que essas terapias deixariam de ser necessárias. Essa situação tem sido abordada continuamente durante as consultas por meio de educação em saúde, reforçando que o ETI modifica a	3ª - Sim, Qual: Enzimas pancreáticas, suplementos nutricionais, polivitamínicos, antibióticos inalatórios, mucolíticos inalatórios e fisioterapia respiratória., Positivo: Como pneumologista pediátrica de um Centro de Referência para Fibrose Cística do SUS, acompanho há vários anos pacientes tratados com as terapias atualmente disponibilizadas para controle das manifestações pulmonares e gastrointestinais da doença, incluindo fisioterapia respiratória, alfadornase, solução salina hipertônica, antibióticos inalatórios e sistêmicos, enzimas pancreáticas, suplementação vitamínica e suporte nutricional., , Essas tecnologias proporcionam benefícios importantes, como melhora da depuração das secreções, redução da frequência e gravidade das exacerbações pulmonares, controle das infecções respiratórias, melhora do estado nutricional, correção da má absorção intestinal e aumento da sobrevida. Elas representam a base do tratamento multidisciplinar da fibrose cística e foram responsáveis por avanços importantes na assistência desses pacientes., , Entretanto, na minha experiência clínica, essas terapias atuam predominantemente no tratamento das complicações da doença, sem corrigir o defeito básico da proteína CFTR. Apesar da boa adesão ao tratamento, muitos pacientes continuam apresentando progressão da doença pulmonar, desenvolvimento de bronquiectasias, perda gradual da função pulmonar, necessidade de antibioticoterapia intravenosa e hospitalizações recorrentes., , Essa limitação reforça a importância das terapias moduladoras da CFTR, que atuam diretamente sobre o mecanismo fisiopatológico da doença e complementam, sem substituir, as demais estratégias terapêuticas., Negativo: Antes da disponibilidade do ETI, nosso principal objetivo era retardar a progressão da doença. Com os moduladores da CFTR, especialmente o elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor, passamos a observar pacientes recuperando função pulmonar, reduzindo exacerbações e modificando sua trajetória clínica, algo que não era possível apenas com as terapias sintomáticas	4ª - anexo relatos de casos levado ao congressos e estudo sobre variante não F508del responsiva que está presente em 3 pacientes do meu CR.	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:
		evolução da doença, mas não substitui integralmente o tratamento multidisciplinar, principalmente em pacientes que já apresentam lesões pulmonares estruturais., , Assim, considero que o principal desafio observado na prática clínica não está relacionado à segurança do medicamento, mas à necessidade de manter acompanhamento especializado e estratégias de educação para preservar a adesão ao tratamento global da fibrose cística.			
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou familiar de uma criança com Fibrose Cística e sou totalmente favorável à incorporação do Trikafta para pessoas com 6 anos ou mais portadoras de variantes não-F508del responsivas ao medicamento., , Conviver diariamente com a Fibrose Cística me mostrou que o mais importante é oferecer às pessoas o tratamento que atua na causa da doença sempre que houver indicação científica para isso. Não considero justo que pacientes elegíveis deixem de receber um medicamento eficaz apenas por apresentarem uma variante genética diferente., , Meu filho utiliza o Trikafta e nossa família vivenciou uma transformação importante em sua saúde e em nossa qualidade de vida. Essa experiência nos faz acreditar que outras pessoas que possuem variantes responsivas também merecem a oportunidade de se beneficiar desse tratamento., , A incorporação pelo SUS representa equidade, pois garante que o acesso ao medicamento seja baseado na evidência científica e na indicação clínica, e não na capacidade financeira ou na necessidade de recorrer à Justiça. Espero que a recomendação inicial seja revista para que nenhuma pessoa elegível fique sem acesso a um tratamento capaz de modificar a evolução da Fibrose Cística.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Embora meu filho não faça parte do grupo avaliado nesta consulta pública, nossa experiência familiar demonstra o impacto positivo do Trikafta na vida de uma pessoa com Fibrose Cística., , Após o início do tratamento, observamos melhora importante em sua saúde, incluindo redução expressiva do teste do suor, melhora do estado geral, da absorção dos alimentos, da qualidade das fezes e da disposição para as atividades do dia a dia., , Como familiar, o maior benefício foi recuperar a esperança e a tranquilidade ao perceber que existe um tratamento capaz de modificar a evolução da doença. Essa experiência reforça minha convicção de que todas as pessoas que possuem variantes responsivas ao medicamento também devem ter a oportunidade de receber esse tratamento., Negativo e dificuldades: Não considero que o Trikafta apresente aspectos negativos que superem seus benefícios. O maior problema é a dificuldade de acesso., , É muito angustiante saber que existem pessoas com Fibrose Cística que possuem variantes responsivas ao medicamento, mas continuam sem acesso pelo SUS. O tratamento não deveria depender de ações judiciais ou da condição financeira das famílias., , Na Fibrose Cística, o tempo é um fator decisivo. Quanto mais cedo o tratamento é iniciado, maiores são as chances de preservar a função dos órgãos e evitar danos irreversíveis. Por isso, considero que a demora na ampliação do acesso é o principal aspecto negativo dessa situação.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todas as pessoas com fibrose cística têm o direto de se tratar com trikafta que lhes proporcionará uma vida digna.	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA , Positivo e facilidades: Trikafta é uma revolução na ciência e deve ser usada por todos que têm fibrose cística., Negativo e dificuldades: Não há aspectos negativos a considerar.	3ª - Sim, Qual: Antibióticos, Positivo: Apenas paliativos., Negativo: São apenas paliativos.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Percebi a melhora da saúde da pessoa com o uso da medicação.	2ª - Sim, Qual: Minha irmã utilizou o medicamento Trikafta., Positivo e facilidades: Minha irmã apresentou quadro de melhoras depois que começou a utilizar o medicamento. , Antes sentia muita canseira e passava muitas vezes pelos médicos., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para salvar vidas pois o medicamento e muito	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Vai melhorar a qualidade de vida de muitas pessoas, junto com isso diminuirá as internações e a gravidade da doença. A longo prazo gera uma economia na rede de saúde pública ja que os agravantes que a FC causa são extremamente custosos.	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Mudança total na qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Não percebi	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque todas as vidas importam.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho uma filha que tem mutação rara, e estamos confiantes que algum dia esse medicamento ela vai poder ter acesso, pois sabemos do bem que ele faz as pessoas com fibrose. Esperamos que logo todos pacientes tenham esse acesso.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhora a condição do paciente e da Família como um todo	2ª - Sim, Qual: Sim com trikafta , Positivo e facilidades: O medicamento permitiu que minha filha continue a viver com dignidade e com qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Não tenho pontos negativos, somente positivos.	3ª - Sim, Qual: Medicamento paliativo , Positivo: Trata somente os sintomas e não o problema , Negativo: Serviu para o momento e não tratou a causa.	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 **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou nutricionista clínica do Hospital Infantil Nossa Senhora da Glória (HINSG), centro de referência em fibrose cística no Espírito Santo, e integrante da Equipe Multiprofissional de Terapia Nutricional (EMTN). Atualmente acompanho pacientes pediátricos internados com fibrose cística durante toda a internação, sendo responsável pelo manejo nutricional. Também atuei anteriormente no ambulatório multidisciplinar de fibrose cística, o que me permite comparar a evolução dos pacientes antes e após a incorporação do Trikafta® no SUS para os grupos atualmente elegíveis., , Na prática assistencial, observamos melhora da função pulmonar, redução expressiva das internações, melhor recuperação e manutenção do estado nutricional, menor necessidade de suplementação nutricional e ausência da necessidade de gastrostomia para recuperação ponderal nos pacientes em uso da medicação. Muitos iniciaram o tratamento já com danos pulmonares irreversíveis, reforçando a importância do acesso precoce para evitar a progressão da doença e prevenir sequelas permanentes., , Atualmente, a maioria das internações ocorre em crianças menores de 6 anos e pacientes com mutações ainda não contempladas, que frequentemente necessitam de antibioticoterapia intravenosa, internações recorrentes e suporte nutricional intensivo., Nossa experiência é compatível com a literatura científica e com dados de vida real de centros de referência no Brasil e no exterior. Avaliar apenas o custo do medicamento representa uma falsa economia, pois desconsidera os custos com internações, antibióticos, suplementos, procedimentos e sequelas da doença. Ampliar o acesso ao Trikafta® significa preservar função pulmonar, estado nutricional, qualidade de vida e reduzir custos assistenciais futuros. Por isso, sou favorável à sua incorporação para todos os pacientes elegíveis.	2ª - Sim, Qual: Sou nutricionista clínica do Hospital Infantil Nossa Senhora da Glória (HINSG), centro de referência em fibrose cística no Espírito Santo, e integrante da Equipe Multiprofissional de Terapia Nutricional (EMTN). Atuei anteriormente no ambulatório multidisciplinar de fibrose cística e, atualmente, acompanho pacientes internados, sendo responsável pelo manejo nutricional durante a hospitalização., , Minha experiência inclui o acompanhamento de pacientes antes e após a incorporação do Trikafta® no SUS. Na prática assistencial, observamos que os pacientes elegíveis em uso da medicação apresentam melhor evolução clínica e nutricional, com melhora da função pulmonar, maior facilidade para atingir e manter adequado estado nutricional, menor necessidade de suplementação nutricional e redução importante das internações por exacerbações pulmonares., , Também observamos redução da necessidade de intervenções nutricionais mais complexas para recuperação ponderal, enquanto os pacientes que ainda não têm acesso à medicação permanecem internando com maior frequência, necessitando de antibioticoterapia intravenosa, suporte nutricional intensivo e acompanhamento multiprofissional contínuo., Essa experiência é consistente com os resultados descritos na literatura científica e em dados de vida real de outros centros de referência, reforçando que o tratamento modifica a evolução da doença quando iniciado precocemente. Como nutricionista, considero que preservar o estado nutricional é fundamental para a evolução clínica e que ampliar o acesso ao Trikafta® representa um benefício direto para os pacientes e também para o sistema de saúde, pela redução de complicações e internações., Positivo e facilidades: Em minha experiência como nutricionista de um centro de referência em fibrose cística, observei melhora significativa da evolução clínica e nutricional dos pacientes elegíveis em uso do Trikafta®. Os principais benefícios percebidos foram redução expressiva das internações por exacerbações pulmonares, melhora da função pulmonar, maior facilidade para recuperação e manutenção do estado nutricional e menor necessidade de suplementação nutricional para atingir as metas de crescimento. Também observamos menor necessidade de intervenções nutricionais mais complexas, como gastrostomia para recuperação ponderal. Os pacientes apresentam maior estabilidade clínica e melhor qualidade de vida, refletindo também em menor necessidade de antibioticoterapia intravenosa e menor utilização de recursos hospitalares. Essas observações são compatíveis com os resultados descritos na literatura científica e com a experiência de outros centros de referência no Brasil e no exterior., Negativo e dificuldades: Não observei aspectos negativos relevantes relacionados ao uso da	3ª - Sim, Qual: Tenho experiência com as terapias convencionalmente utilizadas no manejo da fibrose cística, incluindo reposição de enzimas pancreáticas, suplementação nutricional, terapia nutricional enteral, suplementação de vitaminas lipossolúveis, antibioticoterapia, mucolíticos, soluções inalatórias e fisioterapia respiratória. Essas tecnologias são essenciais para o controle dos sintomas, prevenção e tratamento das complicações e redução dos danos decorrentes da doença, porém não corrigem a alteração genética subjacente nem atuam diretamente na disfunção da proteína CFTR. Em minha experiência profissional, o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor representa uma abordagem diferente, por atuar na causa básica da doença nos pacientes elegíveis, com repercussões clínicas e nutricionais importantes., Positivo: As terapias convencionais são essenciais para o manejo da fibrose cística e contribuem para reduzir a progressão das manifestações clínicas, prevenir e tratar infecções respiratórias, melhorar a absorção de nutrientes, manter o estado nutricional e promover melhor qualidade de vida. No entanto, sua atuação é voltada principalmente para minimizar as consequências da doença e retardar sua progressão, sem corrigir a disfunção da proteína CFTR que está na origem da fibrose cística, sendo indispensáveis no cuidado desses pacientes., Negativo: Embora sejam fundamentais e indispensáveis no tratamento da fibrose cística, as terapias convencionais atuam principalmente no manejo dos sintomas e das complicações da doença, sem corrigir a disfunção da proteína CFTR. Na prática clínica, observamos que muitos pacientes, mesmo recebendo tratamento otimizado, continuam apresentando progressão da doença, exacerbações pulmonares recorrentes, necessidade de antibioticoterapia intravenosa, internações frequentes e maior risco de comprometimento nutricional e pulmonar ao longo da vida.	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:
		tecnologia em minha prática profissional.			
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Concordo com a incorporação do medicamento ao SUS, pois ele pode melhorar a qualidade de vida dos pacientes e garantir acesso ao tratamento para quem realmente precisa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **05/07/2026**	1ª - Não tenho opinião formada, Não tenho opinião sobre	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 **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou totalmente favorável à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) para pacientes com fibrose cística, com idade igual ou superior a seis anos, portadores de pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR responsiva ao medicamento., , Como nutricionista de um centro de referência do SUS para fibrose cística, acompanho diariamente pacientes com diferentes variantes genéticas e observo que a evolução clínica está diretamente relacionada ao acesso às terapias moduladoras da CFTR. Na prática assistencial, pacientes que utilizam o ETI apresentam melhora expressiva do estado nutricional, redução dos sintomas gastrointestinais, menor frequência de exacerbações pulmonares e internações, além de importante ganho na qualidade de vida. Em contrapartida, pacientes com variantes responsivas que permanecem sem acesso ao tratamento continuam evoluindo com progressão da doença, apesar de receberem todas as terapias convencionais disponíveis., , Do ponto de vista nutricional, o ETI representa uma mudança de paradigma. Ao atuar na causa da doença, melhora a função da proteína CFTR, favorecendo melhor absorção de nutrientes, recuperação do estado nutricional, crescimento adequado e redução das complicações associadas à desnutrição. Esses benefícios repercutem positivamente na função pulmonar, na capacidade funcional e na perspectiva de vida dos pacientes., , Na minha avaliação, não há justificativa clínica para que pessoas com variantes comprovadamente responsivas permaneçam excluídas de uma terapia capaz de modificar a história natural da fibrose cística apenas por não apresentarem a mutação F508del. A incorporação dessa indicação representa um importante avanço para promover maior equidade no SUS, ampliando o acesso a uma terapia altamente eficaz para pacientes que possuem potencial comprovado de benefício, com impacto positivo na saúde, na qualidade de vida e na redução da carga assistencial da fibrose cística.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (ETI) Trikafta., Positivo e facilidades: Como nutricionista de um centro de referência para fibrose cística, percebo que os benefícios do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) vão muito além da melhora da função pulmonar. Na prática clínica, observamos melhora significativa do estado nutricional, com ganho de peso, aumento da massa muscular, redução dos sintomas gastrointestinais, como esteatorreia e dor abdominal, e maior facilidade para atingir as metas nutricionais, refletindo melhor absorção de nutrientes e maior estabilidade clínica., , Também verificamos redução importante da frequência e da gravidade das exacerbações pulmonares, menor necessidade de internações e de antibioticoterapia intravenosa, além de melhora da capacidade para realizar atividades físicas e das atividades do cotidiano. Crianças e adolescentes passam a frequentar a escola com maior regularidade, enquanto adultos apresentam maior capacidade para trabalhar e participar da vida social., , Outro aspecto muito relevante é a redução da sobrecarga para as famílias. Com menor necessidade de hospitalizações e menor frequência de complicações, os cuidadores conseguem reorganizar sua rotina, reduzindo o impacto da doença sobre a vida familiar. Esses benefícios decorrem da correção parcial do defeito básico da fibrose cística, motivo pelo qual considero fundamental que pacientes com variantes do gene CFTR comprovadamente responsivas ao ETI também tenham acesso a essa tecnologia. , Negativo e dificuldades: Como qualquer medicamento, o ETI pode estar associado a eventos adversos e requer acompanhamento clínico e laboratorial periódico. Além disso, a melhora da absorção de nutrientes e do estado nutricional exige monitoramento contínuo pela equipe multiprofissional, com ajustes individualizados na terapia de reposição enzimática pancreática, na suplementação nutricional e nas recomendações alimentares, especialmente para prevenir ganho excessivo de peso e outras alterações metabólicas. Na prática clínica, esses desafios são manejáveis e fazem parte do acompanhamento rotineiro dos pacientes. Em contrapartida, a ausência de acesso ao ETI está associada à continuidade da progressão da doença, com comprometimento pulmonar, piora do estado nutricional, exacerbações recorrentes e internações frequentes. Dessa forma, considero que os benefícios do ETI superam amplamente os potenciais riscos, desde que o tratamento seja realizado com acompanhamento especializado. O maior desafio observado atualmente não é a tecnologia em si, mas garantir que todos os pacientes com variantes do gene CFTR comprovadamente responsivas tenham acesso a essa terapia.	3ª - Sim, Qual: Pancreatina (Creon), Positivo: A Terapia de Reposição Enzimática (TRE) com Creon é uma tecnologia essencial para pacientes com insuficiência pancreática exócrina. Seu uso adequado melhora a digestão e a absorção de gorduras, proteínas e vitaminas lipossolúveis, contribuindo para o ganho e a manutenção do estado nutricional, além de reduzir sintomas gastrointestinais como esteatorreia, dor abdominal, distensão abdominal e flatulência. Associada ao acompanhamento nutricional especializado, à suplementação vitamínica e à orientação alimentar, a TRE favorece o crescimento e o desenvolvimento de crianças e adolescentes, melhora o conforto gastrointestinal e contribui para melhores desfechos clínicos, incluindo melhor resposta imunológica e melhor função pulmonar decorrentes da manutenção de um estado nutricional adequado., Negativo: Embora indispensável, a TRE atua apenas no controle das manifestações decorrentes da insuficiência pancreática e não corrige o defeito básico da fibrose cística. Por esse motivo, muitos pacientes continuam apresentando progressão da doença pulmonar, exacerbações recorrentes e outras complicações, mesmo com uso adequado da terapia. Assim, considero que a TRE permanece como um componente fundamental do tratamento da fibrose cística, mas seus benefícios são potencializados quando associada a terapias que atuam diretamente na proteína CFTR, como o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, proporcionando uma abordagem mais completa da doença.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pelo beneficio importantíssimo que minha filha obteve., Sem o Trikafta ela não teria sobrevivido	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Até 2019, minha filha lutou bravamente pela própria sobrevivência. Foram inúmeras internações por pneumonias, além de cirurgias importantes, incluindo a retirada de parte do intestino e de um segmento do pulmão., Com o início do tratamento com Trikafta, medicamento que atua corrigindo a proteína defeituosa responsável pela doença (F508del e G542X), houve uma melhora muito significativa em seu estado de saúde. Atualmente, Catarina não apresenta mais pneumonias, não sofre com obstruções intestinais e tem raras exacerbações. Como sequela, desenvolveu diabetes., Negativo e dificuldades: Não tenho nenhum para informar	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O relatório médico do Hospital de Clínicas da Unicamp, emitido em 2023, descreve o histórico clínico da paciente com diagnóstico confirmado de fibrose cística (CID-10 E84.0 e E84.1), identificado pelas variantes genéticas F508del e G542X do gene CFTR, associado a teste do suor persistentemente elevado. , , A paciente apresenta insuficiência pancreática, pancreatopatia crônica, hepatopatia crônica com hipertensão portal, varizes de esôfago submetidas à ligadura elástica e histórico de obstrução intestinal com ressecção intestinal em 2019. Também realiza acompanhamento em endocrinologia devido ao diabetes relacionado à fibrose cística e osteopenia. , , No âmbito respiratório, desenvolveu doença pulmonar obstrutiva grave, com bronquiectasias extensas, redução progressiva da função pulmonar. Em razão da gravidade do quadro, foi encaminhada para avaliação de transplante pulmonar no INCOR em dezembro de 2020. , , Em fevereiro de 2021 iniciou tratamento com o modulador de CFTR elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta®), apresentando melhora clínica, redução das exacerbações, da tosse, da produção de escarro e da dispneia, além de melhora do estado nutricional e estabilidade laboratorial, sem efeitos adversos relevantes. Exames de imagem demonstraram regressão da gravidade estrutural pulmonar, com redução do escore de Bhalla de 28 para 20. , Não teve nenhuma internação desde o início do uso da medicação	2ª - Sim, Qual: Com o medicamento “Trikafta”, Positivo e facilidades: Melhora em todos os aspectos da minha vida. Consegui desempenhar atividades cotidianas sem nenhuma dificuldade respiratória, sem intercorrências médicas, exacerbações e ausências em momentos importantes de familiares e amigos., Sou uma pessoa nova, com uma oportunidade de viver outra vida., Consegui ganhar peso e mante-lo, antes da medicação eu pesava 41kg e após consegui manter na faixa dos 50kg, Negativo e dificuldades: Eu não tive nenhuma experiência negativa com as tecnologias em avaliação	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **05/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todas as pessoas portadoras de fibrose cística devem poder usar esse medicamento para melhorarem sua condição de saúde.	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Minha filha ressuscitou depois que começou a usar essa tecnologia. , Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, Qual: Medicamentos comuns. , Positivo: Apenas paliativos. , Negativo: Apenas paliativos.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação salva vidas e, sabidamente, ela funciona em muitos outros contextos além dos definidos na bula brasileira, tanto em idades diferentes como em diversas mutações raras.,	2ª - Sim, Qual: Medicamento elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor., , Positivo e facilidades: As minhas filhas utilizam a medicação e isso transformou totalmente a vida delas. Hoje elas conseguem dormir, frequentar escola, ganhar peso e estatura, tiveram ganho na função pulmonar e muitas outras mudanças positivas. Essa medicação PRECISA estar disponível no SUS., , Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo, somente positivos.,	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A melhora na saúde com o uso desse medicamento é absurda.,	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Melhora em todos os sentidos, ganho de peso, redução de sintomas, de medicamentos de internacoes., , Negativo e dificuldades: Nenhum	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou fisioterapeuta de um Centro de Referência para Adultos com Fibrose Cística há cinco anos, acompanhando aproximadamente 150 pacientes. Nesse período, a introdução da terapia com ETI (elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor) transformou significativamente o manejo da doença, com benefícios consistentes observados na prática clínica., Os pacientes em uso de ETI apresentam redução ou desaparecimento da tosse e da produção de secreções, melhora da função pulmonar, desmame da oxigenoterapia em pacientes previamente dependentes, diminuição das exacerbações pulmonares e redução das internações hospitalares. Também observamos melhora do estado funcional, com redução da dispneia, maior tolerância aos esforços, ganho de peso e de massa muscular e melhora significativa da qualidade de vida., Em nosso centro, 13 pacientes com variantes não F508del iniciaram tratamento com ETI. Todos apresentaram redução importante ou ausência de secreções pulmonares e tosse, permitindo, em muitos casos, a redução ou suspensão de medicações inalatórias. A maioria apresentava histórico de duas a quatro internações anuais por exacerbações pulmonares e, após o início da terapia, houve redução expressiva das hospitalizações., Destaco o caso de uma paciente com doença pulmonar avançada e variante não F508del, internada em estado crítico, com necessidade de ventilação mecânica. O ETI foi iniciado durante a internação e possibilitou a reversão do quadro grave e a alta hospitalar. Além disso, duas pacientes com variantes não F508del conseguiram engravidar após o início da terapia, demonstrando benefícios que vão além da função pulmonar., Tudo isso mostra o impacto que a medicação tem na vida destas pessoas.	2ª - Sim, Qual: O uso da terapia tripla Elexacaftor, Tezacaftor, Ivacaftor., Positivo e facilidades: Esta tecnologia tem o potencial de mudar significativamente a vida da pessoa com Fibrose Cística. Os pacientes em uso de ETI apresentam redução ou desaparecimento da tosse e da produção de secreções, melhora da função pulmonar, desmame da oxigenoterapia em pacientes previamente dependentes, diminuição das exacerbações pulmonares e redução das internações hospitalares. Também observamos melhora do estado funcional, com redução da dispneia, maior tolerância aos esforços, ganho de peso e de massa muscular e melhora significativa da qualidade de vida., Destaco o caso de uma paciente com doença pulmonar avançada e variante não F508del, que estava internada em estado muito crítico, com risco de vida, com necessidade de ventilação mecânica. O ETI foi iniciado durante a internação e possibilitou a reversão do quadro grave e a alta hospitalar. Além disso, duas pacientes com variantes não F508del conseguiram engravidar após o início da terapia, demonstrando benefícios que vão além da função pulmonar., Negativo e dificuldades: Os aspectos negativos são os pacientes que não são elegíveis para este medicamento, que não tem a possibilidade da melhora que o medicamento traz. , Além disso, pacientes que precisam judicializar para conseguir a medicação que poderia estar disponível pelo SUS.	3ª - Sim, Qual: Ivacaftor, Positivo: Pacientes elegíveis apresentam melhora clínica, mas nada se compara ao efeito da terapia tripla. Como fisioterapeuta observo que os pacientes que fizeram a transição do Ivacaftor para a terapia tripla (Elexacaftor, Tezacaftor e Ivacaftor) apresentaram melhora superior em relação a redução ou desaparecimento da tosse e da produção de secreções, melhora da função pulmonar, desmame da oxigenoterapia em pacientes previamente dependentes, diminuição das exacerbações pulmonares e redução das internações hospitalares. Também observamos melhora do estado funcional, com redução da dispneia, maior tolerância aos esforços, ganho de peso e de massa muscular e melhora significativa da qualidade de vida., Negativo: Um número reduzido de pacientes são elegíveis para esta tecnologia.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sim, deve ser incorporada mediante todos os sinais de eficacia e segurança da droga no grupo De mutação delta F 508 assim como nas mutações raras nao delta F508,	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Pacientes tanto crianças como adultos, tiveram uma virada de chave, na vida deles. Não mais tiveram tosse, secreção, exacerbações pulmonares, hospitalizações e passaram a diminuir a demanda pelo o uso das medicações sintomáticas utilizadas anteriormente e que impactava a rotina familiar e o serviço público., Negativo e dificuldades: Que os pacientes não delta F 508, adquiriram mais o sofrimento de não ser elegível para o tratamento aos delta F 508	3ª - Sim, Qual: Tratamentos sintomaticos disponibilizados pelo SUS para FC, como enzima pancreatica, o mucolítico Dornase-alfa, antibiótico inalatorio(tobramicina), Positivo: Controla as exacerbações, diminui de forma individual a progressão,, Negativo: Não impede a progressão dos danos ao pulmão, principal orgão acometido r espondavel pela letalidade nacdoença	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pai de uma criança de 3 anos com fibrose cística e acompanho diariamente os desafios que essa doença impõe à vida de toda a família. Meu filho possui a mutação F508del e, embora ele não faça parte do grupo de pacientes com mutações raras, acredito que todos que têm indicação para o uso do Trikafta merecem ter acesso ao tratamento., Quem convive com a fibrose cística sabe que ela não espera. A cada dia sem o tratamento adequado, a doença pode evoluir, trazendo infecções, internações, perda da função pulmonar e outras complicações que muitas vezes não podem ser revertidas., Penso especialmente nas famílias dos pacientes com mutações raras, que aguardam há tanto tempo por essa oportunidade. Enquanto a incorporação não acontece, essas pessoas continuam vendo a doença avançar e comprometendo sua saúde e seus sonhos, mesmo existindo um medicamento capaz de agir na causa da fibrose cística., Por isso, apoio a incorporação do Trikafta no SUS para todos os pacientes com 6 anos ou mais que tenham variantes responsivas previstas em bula. Garantir esse acesso é oferecer mais qualidade de vida, mais dignidade e mais esperança para pessoas que enfrentam diariamente uma doença grave e progressiva. Nenhum paciente deve ficar sem tratamento por causa da raridade da sua mutação.	2ª - Sim, Qual: Minha experiência é como pai de uma criança com fibrose cística que faz uso do Trikafta por meio de decisão judicial. Apesar de meu filho não ter uma mutação rara, acompanho de perto a realidade de muitas famílias da comunidade da fibrose cística e conheço os benefícios que o medicamento proporciona aos pacientes elegíveis. Essa vivência me faz compreender a importância de ampliar o acesso ao tratamento também para aqueles que possuem variantes raras contempladas pela bula aprovada pela ANVISA., Positivo e facilidades: Como pai de uma criança que utiliza o Trikafta, vejo o quanto um tratamento que atua na causa da doença pode transformar vidas. Além da minha experiência pessoal, acompanho relatos de diversos pacientes e famílias que conseguiram acesso ao medicamento e observaram melhora na qualidade de vida, redução das infecções, menos internações, maior disposição e maior estabilidade da doença., Também acompanho a realidade daqueles que ainda aguardam pelo tratamento e percebo uma diferença muito grande. Enquanto alguns conseguem planejar o futuro com mais esperança, outros continuam enfrentando o avanço da fibrose cística e todas as limitações que ela impõe., Na minha opinião, o maior benefício do Trikafta é permitir que os pacientes tenham a oportunidade de viver com mais saúde, autonomia e perspectivas, podendo estudar, trabalhar, construir uma família, realizar sonhos e viver com mais qualidade., Negativo e dificuldades: Como pai e integrante da comunidade da fibrose cística, não observo aspectos negativos relevantes em relação ao Trikafta que superem seus benefícios para os pacientes elegíveis. O maior problema, na minha visão, é que muitas famílias ainda precisam recorrer à Justiça para conseguir um tratamento que pode mudar o curso da doença., Essa desigualdade faz com que alguns pacientes tenham acesso ao medicamento enquanto outros continuam aguardando, vendo sua condição se agravar. A ampliação do acesso pelo SUS é fundamental para que todos os pacientes elegíveis tenham a mesma oportunidade de receber um tratamento capaz de preservar sua saúde e sua qualidade de vida.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos precisam ter acesso	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à ampliação do acesso ao elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) no SUS para pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos e pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR responsiva ao medicamento. A fibrose cística é uma doença genética rara, multissistêmica, progressiva e incurável. O tratamento convencional é fundamental, mas atua principalmente no controle de sintomas, infecções e complicações, enquanto o ETI atua sobre a proteína CFTR defeituosa, com potencial de modificar a trajetória clínica da doença., A restrição atual ao genótipo F508del exclui uma parcela relevante de pacientes brasileiros, especialmente considerando a maior diversidade genética da nossa população. Em pacientes com variantes não-F508del responsivas, estudos clínicos, dados in vitro e evidências de vida real demonstram benefício clínico consistente, com melhora de função pulmonar, redução do cloreto no suor, melhora da qualidade de vida respiratória, ganho ponderal/IMC e redução de exacerbações., Destaco ainda os dados brasileiros de vida real, que demonstraram melhora em pelo menos um desfecho clínico relevante em 100% dos pacientes avaliados, com redução expressiva de exacerbações ambulatoriais e hospitalizações. Esses efeitos têm impacto direto na vida dos pacientes e também no sistema de saúde, por reduzirem necessidade de antibióticos intravenosos, oxigenoterapia, internações prolongadas e sobrecarga dos centros de referência., O perfil de segurança é comparável ao já observado em pacientes com F508del, sendo os eventos adversos geralmente manejáveis com acompanhamento clínico e laboratorial adequado. Assim, a discussão não deve ser centrada apenas na presença ou ausência da mutação F508del, mas na responsividade da variante ao ETI, associada a critérios objetivos de monitoramento de resposta e segurança. , A incorporação representa um avanço necessário em equidade no cuidado da fibrose cística no Brasil.	2ª - Sim, Qual: Medicamento elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Melhora dos sintomas respiratórios, especialmente tosse e escarro, melhora da função pulmonar, melhora de qualidade de vida, melhora do estado nutricional. , Negativo e dificuldades: A preocupação maior é efeito adverso hepático. Mas na minha experiência, os aspectos negativos observados com o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor são, em geral, manejáveis e não superam os benefícios clínicos da tecnologia.	3ª - Sim, Qual: Tenho experiência com as principais tecnologias utilizadas no tratamento convencional da fibrose cística, incluindo terapias inalatórias, como solução salina hipertônica e dornase alfa, antibioticoterapia oral, inalatória e intravenosa para tratamento de exacerbações e infecção crônica, uso de azitromicina, broncodilatadores, reposição de enzimas pancreáticas, suplementação de vitaminas lipossolúveis, oxigenoterapia..., , , Positivo: Essas estratégias são fundamentais e melhoraram muito o cuidado das pessoas com fibrose cística, mas atuam principalmente no controle de sintomas, secreção, infecções, inflamação e complicações nutricionais ou respiratórias. Elas não corrigem a disfunção básica da proteína CFTR., Negativo: Essas tecnologias geralmente não são suficientes para impedir a progressão da doença pulmonar. Muitos pacientes continuam apresentando tosse crônica, produção de secreção, exacerbações recorrentes, necessidade de antibióticos intravenosos, internações, perda funcional progressiva, desnutrição e, em casos avançados, necessidade de oxigenoterapia, ventilação não invasiva ou avaliação para transplante pulmonar.,	4ª - Em pacientes com variantes não-F508del responsivas ao medicamento, os dados de Castellani et al. reforçam a plausibilidade biológica e clínica do uso do ETI. No estudo, 620 variantes raras não-F508del foram avaliadas em modelo celular FRT, das quais 518 (84%) apresentaram resposta in vitro ao elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor. Esses achados foram traduzidos para um ensaio clínico fase 3, randomizado, duplo-cego e controlado por placebo, envolvendo pacientes com pelo menos uma das 18 variantes raras não-F508del avaliadas. Após 24 semanas, o ETI demonstrou melhora significativa do VEF1 percentual do previsto, com ganho médio de 9,2 pontos percentuais em relação ao placebo, redução do cloreto no suor de 28,3 mmol/L e melhora de 19,5 pontos no domínio respiratório do CFQ-R, além de melhora de peso, IMC e redução da taxa de exacerbações pulmonares, com razão de taxa de 0,28. Esses resultados demonstram melhora objetiva da função pulmonar, da qualidade de vida respiratória, do estado nutricional, da frequência de exacerbações e de biomarcadores de função da proteína CFTR em pacientes sem F508del, mas com variantes responsivas ao ETI., O estudo brasileiro recentemente publicado por Canan et al., que avaliou uma série de casos em sete centros de referência nacionais, fornece evidências consistentes de mundo real ao demonstrar que 100% dos	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:
				pacientes portadores de variantes não-F508del apresentaram melhora em pelo menos um desfecho clínico relevante, com 79,4% atingindo um ganho de função pulmonar superior a 5 ppVEF1 e 88% apresentando aumento significativo de IMC. Destaco aqui a redução expressiva de 72,1% nas exacerbações pulmonares ambulatoriais e de 89,7% nas hospitalizações. Esse dado é extremamente relevante, pois repercute em redução drástica no uso de antibióticos intravenosos, na necessidade de oxigenoterapia e na ocorrência de internações prolongadas, reduzindo, assim, a sobrecarga do sistema de saúde.,	

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou profissional de saúde, Médico, coordenei um centro de referencia na assistência de pacientes com Fibrose cística (FC) por mais de 40 anos, em um hospital universitário, (hoje com mais de 200 pacientes em seguimento), desenvolvemos pesquisas clinicas e laboratoriais na área da Fibrose Cística e participamos de congressos nacionais e internacionais e pudemos acompanhar, nesse tempo, toda a evolução do conhecimento técnico cientifico, que possibilitou o diagnóstico precoce da FC (através do Programa de Triagem Neonatal), evolução na qualidade do teste do suor, maior acessibilidade aos medicamentos específicos (Enzimas pancreáticas, antibióticos inalatórios, Dornase alfa, Vitaminas lipossolúveis, mais recentemente (2003) o Modulador da Proteína CFTR - (associação Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor) ETI garantido por PCDTs e incorporado pelo SUS. Esse conjunto de fatores associados a criação de Centros profissionais especializados na assistência do Pacientes com FC em vários estados do Brasil, a Criação do Grupo Brasileiro de Estudos da Fibrose Cística (GBEFC -2003) e a criação e manutenção de um Registro Brasileiro de Pacientes com FC (REBRAFC) desde 2009. Tudo isto nos permite não só nos fundamentarmos na literatura internacional sobre o tratamento precoce dos pacientes com FC, mas também acumulamos uma experiencia de vida Real para embasar políticas públicas para o tratamento dos nossos pacientes com FC e garantir a eles o melhor e mais efetivo tratamento.	2ª - Sim, Qual: Ivacaftor , , Elexacaftor + Tezacaftor + Elexacaftor, Positivo e facilidades: Melhora importante das manifestações respiratórias, mais evidente nos casos com maior acometimento (doença grave), inclusive com saída da lista de transplante pulmonar., Diminuição das exacerbações respiratórias, diminuição de internações, melhora da função pulmonar (espirometrias, melhora do dano estrutural (tomografia), Ganho significativo de peso, Diminuição das queixas gastrointestinais, Redução dos medicamentos de uso continuo prévios, Melhora referida da qualidade de vida, Baixa taxa de efeitos adversos , , Negativo e dificuldades: Nos pacientes em nosso seguimento, não tivemos caso de impedimento definitivo para o uso do medicamento. Raros casos tiveram interrupções, ou reduções transitórias no tratamento.	3ª - Não	4ª - Após aprovação por agencias reguladores internacionais e da ANVISA, com as recomendações em BULAS. Estudos experimentais e clínicos realizados em diferentes centros demonstraram respostas adequadas para outras variantes do gene CFTR que não foram contempladas anteriormente. Com isto houve extensão de bula em vários países aumentando com sucesso a acessibilidade para uma população maior de paciente permitindo uma cobertura em alguns centros de mais de 80 % dos pacientes,, Eu anexo 2 referencias uma nacional e uma internacional para ratificação.	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:
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu sempre tive uma vida complicada por causa da fibrose cística. Descobri apenas aos 14 anos porque, naquela época, o teste do pezinho não cobrir essa doença. Isso quer dizer que não pude fazer o tratamento mais adequado para ela, deixando meu pulmão debilitado por estar desassistido. Isso refletiu na minha qualidade de vida. Vivi a maior parte da minha vida em hospitais para tentar minimizar os estragos dessa deficiência. Mesmo com o tratamento mais adequado fornecido pela AAMPR (atual tratamento mais indicado para minha variante e para todos com fibrose cística no Brasil), sinto que não avanço para uma vitória definitiva. Só nesses anos mais recentes que a expectativa de vida para minha doença aumentou para pouco mais de 50 anos mas, sem esse tratamento recente, não sei se chego lá. A pneumologista mesmo que me acompanha desde sempre disse que as melhoras no meu tratamento são visíveis e que não posso ficar sem o Trikafta, que o tratamento tem surtido efeito. Eu mesma tenho notado que fico menos doente em relação a quando fazia apenas o tratamento atual oficial, sendo a combinação de ambos como uma nova vida para mim. Sei que tenho muito mais disposição no meu dia a dia, me canso menos e levo uma vida quase normal com o Trikafta. Consigo fazer espirometria muito mais fácil agora, minha saturação aumentou, minha tosse e meu muco diminuíram muito ao ponto de quase desaparecer. Então acho que o medicamento deve ser incorporado ao SUS ao tratamento de quem já tem garantidamente resultados positivos e para testes daqueles que ainda não tiveram acesso mas que podem ser beneficiados.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Menos muco, menos tosse, menos episódios de resfriados e gripes, aumento da saturação, maior facilidade em fazer espirometria, maior disposição para as tarefas do dia a dia, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Azitromicina, Pulmozyme, brometo de ipatrópio, fisioterapia pulmonar com colete, bombinhas, Positivo: Esses tratamentos retardam levemente os incômodos da fibrose cística, Negativo: Os retardos sempre foram leves e, com o passado do tempo, diminuem bastante. Também tem vários medicamentos que não fazem mais efeito para o tratamento. E, para manter a rotina de tratamentos, é necessário muito tempo empenhado. É comum ter que fazer de duas a cinco inalações ao longo do dia, todos os dias da semana. Além dos efeitos colaterais dos remédios.	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Participo desta consulta pública como avó de uma criança de 3 anos com fibrose cística e mutação F508del. Embora minha família não faça parte do grupo de pacientes com variantes raras, acompanho diariamente os desafios impostos por essa doença e conheço o impacto que ela causa na vida de quem convive com ela. Por isso, acredito que todos os pacientes elegíveis, conforme a bula aprovada pela ANVISA, devem ter acesso ao Trikafta pelo SUS., A fibrose cística é uma doença genética grave, progressiva e multissistêmica. Ela afeta principalmente os pulmões e o pâncreas, prejudica o estado nutricional, aumenta o risco de infecções recorrentes e exige uma rotina intensa de tratamentos. Além do paciente, toda a família é afetada física e emocionalmente. Na fibrose cística, o tempo é um fator decisivo, pois a cada mês sem um tratamento que atue na causa da doença podem ocorrer perdas irreversíveis da função pulmonar, mais internações e piora da qualidade de vida., Ao acompanhar a comunidade da fibrose cística, vejo a angústia de muitas famílias cujos filhos ou familiares possuem variantes raras responsivas e aguardam há anos pelo acesso ao Trikafta. Enquanto a incorporação não acontece, a doença continua evoluindo, causando limitações, agravando sintomas e reduzindo as perspectivas de um futuro mais saudável., Por esse motivo, apoio a incorporação do Trikafta no SUS para pacientes com 6 anos ou mais que tenham variantes raras responsivas previstas em bula. Esses pacientes enfrentam a mesma doença, sofrem com as mesmas complicações e merecem as mesmas oportunidades de tratamento. A raridade da mutação não pode ser motivo para impedir o acesso a uma terapia capaz de modificar o curso da doença., Garantir esse tratamento é uma questão de equidade, justiça e respeito ao direito à saúde. Cada novo atraso representa mais perda de função pulmonar, mais internações e maior risco de que esses pacientes precisem de um transplante pulmonar no futuro. Quando existe uma terapia eficaz.	2ª - Sim, Qual: Como familiar de uma criança de 2 a 5 anos com a mutação F508del que faz uso do Trikafta por via judicial, pude testemunhar de perto a transformação que esse tratamento proporciona. Ainda que minha experiência direta não seja com pacientes portadores de variantes raras não-F508del, acompanho suas dificuldades e acredito que todos os pacientes elegíveis, de acordo com a bula aprovada pela ANVISA, merecem ter acesso ao Trikafta pelo SUS, sem distinção., Positivo e facilidades: Como avó de uma criança com fibrose cística e mutação F508del que faz uso do Trikafta por via judicial, acompanho de perto a realidade de outras famílias da comunidade. Vejo que o medicamento tem proporcionado mais estabilidade clínica, menos infecções e internações, além de uma melhor qualidade de vida. Por isso, acredito que ampliar o acesso ao Trikafta pelo SUS para todos os pacientes elegíveis, inclusive aqueles com variantes raras responsivas, é fundamental para oferecer mais saúde, autonomia e esperança de um futuro com mais oportunidades., Negativo e dificuldades: Como interessada no tema e avó de uma criança de 2 anos com fibrose cística que utiliza o Trikafta por via judicial, não observei aspectos negativos relevantes relacionados ao medicamento. O maior problema, na minha opinião, é que muitas famílias ainda precisam recorrer à Justiça para ter acesso ao tratamento, enquanto outras continuam sem essa oportunidade pelo SUS. Isso gera desigualdade e prolonga o sofrimento de quem aguarda o medicamento.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, CONTRIBUIÇÃO CONSULTA PÚBLICA 48 MUTAÇÕES RARAS RESPONSIVAS PELA BULA DA ANVISA A PARTIR DOS 6 ANOS, , SUGESTÃO Luciana Mendes/tia ATIÊ, , Sabe o que é ver uma criança de 4 anos fazer fisioterapia todo santo dia, tomar dezenas de comprimidos, passar por procedimentos que nem adulto aguenta, e ainda assim sorrir como se nada estivesse acontecendo? Pois é. Essa menina é minha sobrinha. Ela tem fibrose cística, com as variantes G85E e 875+1G>A. E a pior parte não é nem a rotina pesada – é saber que existe um remédio que pode mudar o jogo, mas ele não chega pra ela., , Por quê? Porque a análise atual só inclui a variante G85E para pacientes com 6 anos ou mais. Minha sobrinha tem 4. Então, mesmo que o resultado seja positivo (espero), ela ainda vai ter que esperar até os 6 pra ter acesso pelo SUS. Isso significa dois anos a mais de pulmão sendo agredido, dois anos de inflamação silenciosa, dois anos de oportunidades perdidas em que o medicamento poderia estar protegendo o futuro dela. E olha que a FDA e a EMA já aprovaram pra essa idade. Não é falta de evidência – é falta de extensão do pedido., , Eu sei que a CONITEC não pode ampliar o que não foi submetido. Também sei que a empresa é quem tem que dar o próximo passo. Mas tempo não é um luxo nessa doença. Tempo é vida. Cada ano sem o modificador é um ano a mais de danos acumulados, que muitas vezes não têm volta. Danos no pulmão, na digestão, no crescimento, no fôlego de brincar, de correr, de ser cria	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os moduladores são capazes de mudar a história natural de uma doença, já em uso em diversos países a partir de 2 anos de idade.	2ª - Sim, Qual: ETI - Elexacaftor / Tezacaftor / Ivacaftor, Positivo e facilidades: Mudança das lesões pulmonares, ganho de peso, redução do número de internações. , Negativo e dificuldades: Risco de efeito adverso.	3ª - Sim, Qual: Dornase alfa , Positivo: Redução de secreção das vias aéreas , Negativo: Pacientes sem uso de modulador, em uso de muco líricos, com evolução grave ainda nos primeiros anos de vida.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitaa peessoas de baixa renda ou de condição financeira nao privilegiada possuem fibrose cística e nao podem parar a vida e sacrificar gastoa da vida familiar pra aquisição do medicamento de forma contínua., ,	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Estabilidade do paciente, , , Negativo e dificuldades: Nao se aplica	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Quanto mais cedo se inicia o tratamento, menos sequelas se acarreta. É de suma importância que os tecidos e sistemas se desenvolvam sabendo como funcionar adequadamente, por meio da correção pelo modulador.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Em uma semana reduziram o efeito de tosse e bronco-espasmos, e após um ano, regressão de lesões pulmonares e e ganho de capacidade pulmonar monitorada doe FIV. , Negativo e dificuldades: Os pacientes ficam extremamente dependentes da tecnologia, uma vez que a sua falta implica em mal estares e grande impacto na saúde.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trabalho com uma professora que está fazendo o uso da medicação. Antes de seu uso a professora ficou muito debilitada, ficou internada na U.T.I., tinha muitam febre, infecção, tinha necessidade de ficar afasstada do trabalho constantemente, tossia demais, e mal conseguia andar. Após o uso do TRIKAFTA, sua saude estabilizou, não tendo mais internações, infecções, febres, e canseira demasiada, conseguiu voltar ao trabalho, com limitações. Se não fosse essa medicação, ela não estaria mais viva. Ela depende muito dessa medicação para continuar viva, para esta presente com sua família.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento extremamente oneroso para um CPF e de difícil diagnóstico	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, São medicamentos muito caros ..	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Minha filha assim que começou a usar o medicamento , Teve uma melhora muito grande, Na parte respiratória , No ganho de peso..	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação dessa tecnologia no Sistema Único de Saúde irá ajudar bastante brasileiros que sofrem com doenças que necessitam dessa tecnologia, e não somente as pessoas doentes, mas ajudar também os cidadãos que convivem com essas pessoas.	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa tecnologia deve ser incorporado ao SUS para para o tratamento de pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos, com pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR que seja responsiva ao medicamento, porque trata a causa da fibrose cística. Está comprovado que a tecnologia melhora a função pulmonar, reduz infecções em geral, diminui as internações e aumenta a qualidade e a expectativa de vida dos pacientes. É muito importante que o tratamento seja iniciado o mais cedo possível, para preservar a função dos pulmões dos pacientes e de outros órgãos antes que ocorram danos permanentes. Quanto mais cedo a terapia é iniciada, maiores são as chances do paciente manter sua saúde, menos complicações e uma qualidade de vida muito superior ao longo da vida. Nos Estados Unidos e em vários países da União Europeia a terapia com o modulador é aprovado para crianças de 2 anos de idade ou mais e vemos um avanço na qualidade e expectativa de vida.	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA , Positivo e facilidades: Os pacientes que usaram tiveram: Aumento da função pulmonar, diminuição das infeções, diminuição da tosse, aumento da qualidade do estado nutricional, maior qualidade de vida, diminuição do uso de antibióticos, preservação da integridade dos órgãos afetados como pulmão, pâncreas, intestino, vesícula, fígado. , Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, UMA COLEGA DE TRABALHO, CHAMADA CLAUDIA, FAZ USO DO TRIKAFTA, E A MEDICAÇÃO MUDOU E MELHOROU MUITO A QUALIDADE DE VIDA DELA, ANTES FICAVA INTERNADA, FEBRE E DIVERSAS ENFERMIDADES, HOJE VOLTOU AO TRABALH0 E SEGUE SUA VIDA MUITO MELHOR, ENTAO ACHO QUE A MEDICAÇÃO VAI AJUDAR MUITO MAIS GENTE E SE TORNAR MAIS ACESSIVEL.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, concordo com a ampliação do acesso ao Trikafta para pessoas com mutações raras responsivas	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como amigo e cuidador do Bento, bebê de 2 anos que sofre com a gravidade da fibrose cística, discordo da recomendação preliminar. O Bento já enfrenta uma rotina dolorosa de idas ao pronto-socorro e privações sociais severas para proteger seus pulmões sensíveis. Queremos que ele tenha uma infância normal, na escola, brincando com outras crianças. Não é justo que pacientes com mutações raras ou diferentes sejam excluídos de um medicamento que comprovadamente funciona para eles. Todos os pacientes têm o mesmo direito à vida e a um futuro sem traumas hospitalares. O SUS não pode fechar as portas para as crianças que dependem da ciência e da ampliação de critérios de mutações para respirar e viver com dignidade. Por isso, peço a incorporação total da medicação ao SUS.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Ele ganhou peso e crescimento mais compatíveis com a idade, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como o valor é muito alto, fica impossível para uma família normal brasileira arcar com esses tratamentos,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todas as pessoas tem direito a saúde	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Melhora na saturação, dando mais disposição para a criança fazer tarefas simples do dia a dia, como tomar banho e lavar o cabelo sem precisar de oxigênio nem parar para descansar, andar de bicicleta, ir para a escola sem oxigênio, não usar oxigênio durante a noite, mais disposição até para conversar., Negativo e dificuldades: somente o alto custo da medicação e a dificuldade de recursos para manter o tratamento	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação é de fundamental importância para o tratamento da Fibroce Cística e seu uso trás melhora significativa para a saúde e qualidade de vida para o paciente	2ª - Sim, Qual: Elaxacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor, Positivo e facilidades: Melhora significativa na saúde e qualidade de vida do paciente , Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas pessoas nascem com essa condição genética rara, o medicamento é muito caro, mas ele traz uma ótima qualidade de vida para o paciente, o SUS tem condições de arcar com os custos, então nada mais justo do que liberar o medicamento para a população que precisa.	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É um tratamento com excelentes resultados e que seria importante estender a uma parcela maior dos portadores de fibrose cística.	2ª - Sim, Qual: Com o Trikafta® (elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor) para os indivíduos portadores de fibrose cística que têm indicação de uso, Positivo e facilidades: Ganho de peso e manutenção, melhora do estado nutricional, controle de sintomas, diminuição de exacerbações da doença., Negativo e dificuldades: Possivelmente a longo prazo risco aumentado para obesidade, se não houver adequado aconselhamento nutricional	3ª - Não	4ª - "Numa breve revisão encontrou-se que em pacientes com FC acompanhados durante 24 meses, houve melhora significativa do estado nutricional, mas ainda com a necessidade de suplementação de vitaminas lipossolúveis e monitoraramento do ganho excessivo de peso e a qualidade da alimentação (ALICANDRO et al., 2026). O ganho de peso ocorreu independentemente do aumento da ingestão energética, ao mesmo tempo em que houve melhora de alguns indicadores, tais como a diminuição da quantidade de enzima pancreática lipase utilizada e diminuição da calprotectina fecal (ENAUD et al., 2025)., com o uso do Trikafta® houve mudança de paradigma, os pacientes saíram da condição de desnutrição para eutrofia e até mesmo excesso de peso, mudando o enfoque do cuidado para a necessidade prevenção das doenças relacionadas à obesidade e adoção de estilo de vida saudável, com atendimento individualizado (KHEMKA et al., 2025). A terapia influencia no ganho de adiposidade corporal, com ganho de massa muscular menos significativo (WESTHÖLTER et al., 2024). , , , ALICANDRO, G. et al. Nutritional outcomes in people with cystic fibrosis receiving elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor: A 24-mo real-world study. Nutrition. 2026 Feb, 142:112984. doi: 10.1016/j.nut.2025.112984. Epub 2025 Oct 4. PMID: 41166914., , ENAUD, R., et al.	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:
				Dietary intake remains unchanged while nutritional status improves in children and adults with cystic fibrosis on Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor. Clin Nutr. 2025 Jul, 50:76-82. doi: 10.1016/j.clnu.2025.04.027. Epub 2025 Apr 30. PMID: 40378731., , KHEMKA, S., et al. The State of Weight in Cystic Fibrosis: Understanding Nutritional Status and Individualizing Nutritional Care in the Modulator Era. Nutrients. 2025 Jul 31, 17(15):2533. doi: 10.3390/nu17152533. PMID: 40806116, PMCID: PMC12348482., , WESTHÖLER, D., et al. Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor influences body composition in adults with cystic fibrosis: a fully automated CT-based analysis. Sci Rep. 2024 Apr 24, 14(1):9465. "	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicacao deve ser incorporado ao SUS para salvar vidas. Para que pessoas com fibrose cistica tenham a oportunidade de sobreviver e viver independente da mutação .	2ª - Sim, Qual: , Minha de 10ano Usa o TRIKAFTA a 3 anos, e graças a Deus ela teve uma grande melhora nas suas condições de saúde., Positivo e facilidades: Daniella é uma criança que hoje em dia , Consegue correr, brincar ., Ela ganhou peso e cresceu bastante, sua função pulmonar, está ótima, já não sofre com as pneumonias . O TRIKAFTA só trouxe benefícios para vida e saúde da minha filha, e tenho a esperança que chegue para todos, Negativo e dificuldades: Não há aspecto negativo.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É extremamente importante e necessário pra o tratamento	2ª - Sim, Qual: Com o trikafta , Positivo e facilidades: Tudo certo , Negativo e dificuldades: Nada	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação importante, paciente com vida normal com a medicação	2ª - Sim, Qual: Medicação devolve a vida do paciente, Positivo e facilidades: Meu filho antes de tomar o Trikfta usava 2 antibióticos continuo, 2 inalações por dia e sempre combatendo bactérias, hoje só está tomando o Trikfta e enzima, a vida dele mudo completamente, faz 3 anos que não tem nada. Graças a Deus , Negativo e dificuldades: Nenhum, meu filho vive normal hoje , Cresceu, engordou, leva uma vida normal	3ª - Não	4ª - Meu filho antes de tomar o Trikfta usava 2 antibióticos continuo, 2 inalações por dia e sempre combatendo bactérias, hoje só está tomando o Trikfta e enzima, a vida dele mudo completamente, faz 3 anos que não tem nada. Graças a Deus	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pai de uma criança com fibrose cística uma doença extremamente agressiva e limitante onde precisa de todos os cuidados e tecnologias em medicamentos disponíveis	2ª - Sim, Qual: Minha filha toma o medicamente adquirido de forma judicial e sua saúde melhorou 100%, Positivo e facilidades: Melhora plena da parte pulmonar e gástrica , Negativo e dificuldades: Sem efeito colateral	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou médica, mas aqui falo como mãe de uma criança de 7 anos diagnosticada com Fibrose cística pelo teste do pezinho. Desde o primeiro mês de vida convivemos com a ameaça constante à sobrevivência da minha filha. Desde o primeiro mês de vida convivemos com o fato de que, se ela chegasse aos 6 anos, poderia se tratar. Não que ela não tomasse uma série extensa de remédios, e não tivesse uma rotina de inalações, fisioterapia e tantas outras excepcionalidades para alguém tão pequeno! Foram noites e noites sem poder dar o peito para simplesmente acalmá-la porque ela não poderia tomar enzimas pancreáticas com tanta frequência. Foram noites em um quarto compartilhado do hospital de referência em que eu pensei “se ela parar de respirar, consigo reanimá-la”. O conhecimento da medicina me conforta e me destrói, na mesma proporção. Minha pequena hoje está com 7 anos, inteligentíssima, linda, feliz. Ela é portadora de duas mutações raras, elegível apenas para a bula ampliada do Trikafta. Seis anos se passaram, depois mais um… quantos mais passarão? Por quanto tempo ela estará aqui, linda, feliz, saudável? Nenhuma mãe, nenhum pai, nenhum profissional de saúde, nenhuma pessoa com uma doença crônica tratável deveria passar pela situação de saber que há remédio, mas não ter acesso a ele. O que nos diferencia, como humanos, se não a capacidade de solidarizarmos com a dor do outro? Nenhum valor material deveria ser maior que a vida de alguém. Precisamos de maiores descontos para a disponibilização deste medicamento para todos que dele puderem se beneficiar! Somos um país pobre! Somos poucos e raros (menos de 400 pessoas, estimamos), mas merecemos viver, respirar, realizar nossos sonhos, conquistar coisas, descobrir coisas que, quem sabe, ajudem a toda a humanidade. Minha menina é inteligentíssima, ninguém sabe o que ela pode fazer! Espero que possamos saber. Espero que ela tenha vida longa, feliz, saudável, plena de realizações. Ela precisa de uma chance. Ela tem direito a uma chance.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Atualmente minha filha faz uso do Kalideco com melhora do ganho de peso e internações., Positivo: Melhoras do ganho de peso e internações., Negativo: Nenhum	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A melhora da condição de saúde com o uso dessa medicação de forma contínua é real .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

06/07/2026

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como pneumologista atuando em centro especializado em fibrose cística, acompanho pacientes com ampla diversidade de variantes genéticas., Na prática clínica, observa-se que a gravidade da doença não depende exclusivamente da presença da mutação F508del. Muitos pacientes portadores de outras variantes apresentam evolução clínica semelhante ou até pior, com exacerbações recorrentes, comprometimento pulmonar progressivo e impacto significativo na qualidade de vida., A evolução da medicina de precisão e do conhecimento genético modificou a abordagem terapêutica da fibrose cística. Atualmente, sabe-se que a resposta clínica depende da responsividade funcional da mutação ao modulador da CFTR, e não apenas da presença da F508del., Diversos estudos clínicos cuidadosos demonstraram benefício em mutações consideradas responsivas, fundamento que motivou ampliações sucessivas das indicações regulatórias em diversos países., Do ponto de vista assistencial, dois pacientes podem apresentar a mesma gravidade clínica, a mesma perda funcional e a mesma necessidade terapêutica. Entretanto, se apenas um deles possuir a variante F508del, somente este terá acesso ao tratamento. Essa situação cria uma desigualdade que não encontra respaldo nos princípios de equidade do SUS, além de deixar de refletir o conhecimento científico atualmente disponível., Sob o ponto de vista clínico, restringir o acesso apenas aos pacientes com F508del permite que indivíduos com mutações responsivas permaneçam privados de uma terapia potencialmente modificadora da doença apesar de apresentarem fisiopatologia semelhante. A incorporação nessa população traz a chance de para reduzir custos futuros relacionados a internações, uso de antibióticos de alto custo, suporte ventilatório, oxigenioterapia, exames de alta complexidade, complicações respiratórias e transplante pulmonar. Na fibrose cística, prevenir é significativamente mais eficiente do que tratar sequelas irreversíveis.,	2ª - Sim, Qual: Uso de Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística, Positivo e facilidades: No nosso hospital, já temos bastante experiência com uso de Trikafta em pacientes acima de 6 anos de vida, observando melhora clínica expressiva, menor frequência de exacerbações pulmonares, menor necessidade de hospitalizações, melhor evolução nutricional, maior ganho ponderoestatural, , Negativo e dificuldades: menos faltas à escola, maior participação em atividades físicas e incremento substancial na qualidade de vida	3ª - Nenhuma	4ª - Sim	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como médica pneumologista atuante em pacientes com fibrose cística, tenho convicção de que é importante ampliar o acesso a esta terapia para outros perfis genéticos respondedores., Já existe evidência científica em outros países (exemplo da França), mostrando ganho de função pulmonar e redução de exacerbações em pacientes não F5085Del. Portanto, oferecer este tratamento torna-se fundamental no cuidados dos pacientes.	2ª - Sim, Qual: Modulador de CFTR (tezacaftor + elexacaftor + ivacaftor) em pacientes com fibrose c´´istica., Positivo e facilidades: Importante ganho de função pulmonar (avaliado principalmente pelo aumento de VEF1), redução de exacerbações, melhora dos sintomas respiratórios (marcadamente com redução da secreção ´pulmonar), ganho de peso, redução da medida de cloro no suor. Ademais, pacientes com maior qualidade de vida, menor número de hospitalizações e novas perspectivas pessoais e profissionais, sendo uma terapia revolucionária e que vem mudando a história natural dos pacientes portadores de fibrose cística. , Importante também frisar o benefício em redução de custos públicos, uma vez que com menor número de exacerbações e internações, gastos com antimicrobianos endovenosos, dia´ria de terapia intensiva, suporte de oxigênio são reduzidos exponencialmente., Outro aspecto importante é a melhora a ponto de reduzir indicações ao transplante pulmonar. No meu serviço, já retiramos paciente da fila de transplante devido excelente melhora clinica e funcional, contribuindo ainda mais para redução de custos em saúde relacionados com fibrose cística., , Negativo e dificuldades: Em quantidade muito pequena de pacientes (apenas 1 na minha prática clínica), houve toxicidade hepática relacionada ao medicamento. -	3ª - Sim, Qual: Alfadornase - agente mucolítico, mas que é terapia de suporte, não corretora da disfunção da síntese da proteína CFTR. , Positivo: Melhora da secreção pulmonar e exacerbações, porém sem outros benefícios como ganho de peso e aumento de VEF1., Negativo: Necessidade de inalador específico, tempo prolongado dedicado a nebulizalção.	4ª - O estudo francês de compaixão que ofereceu terapia moduladora de CFTR a pacientes com mutações não aprovadas pelo FDA, evidenciou ganho de VEF1 médio de 13% e queda de 20 mmol/L do cloro no suor. , Mostrando, assim, o benefício em pacientes sem mudação F508Del e ampliando a indicação e benefício do uso de modulador por maior número de pacientes. , , , Referências: , 1. Burgel P, Sermet-Gaudelus I, Girodon E et al., The expanded French compassionate programme for elexacaftor–tezacaftor–ivacaftor use in people with cystic fibrosis without a F508del CFTR variant: a real-world study, The Lancet Respiratory Medicine, 2024, 12, 888-900	5ª - Estudo europeu de custo-efetividade mostrou redução de custo em aproximadamente €75.493 em comparação do uso do modulador com a terapia padrão. Evidenciando a redução significativa de custos associados ao tratamento de pacientes com fibrose cística., , Referência, Beresniak A, Daruich A, Robert M ..., Economic evaluation of CFTR modulator therapies in cystic fibrosis: a cost-benefit and cost-effectiveness perspective from the REMEDIA European commission project, Journal of Cystic Fibrosis, 2026, 0

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A fibrose cística é uma doença genética, multissistêmica e progressiva. Embora as terapias de suporte tenham aumentado a sobrevida, elas atuam principalmente sobre as manifestações da doença, sem corrigir o defeito básico da proteína CFTR., , O desenvolvimento dos moduladores da CFTR representou uma mudança de paradigma ao tratar diretamente a causa da doença. A combinação de elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor (ETI) demonstrou benefícios consistentes, incluindo melhora da função pulmonar, redução das exacerbações, melhora do estado nutricional, da qualidade de vida e da função da CFTR., , Embora os estudos iniciais tenham incluído principalmente pacientes com a variante F508del, evidências *in vitro*, *ex vivo* e de vida real demonstraram benefício também em diversas variantes responsivas não-F508del, fundamentando sua aprovação pela ANVISA para centenas de variantes genéticas., , Como centro de referência em fibrose cística pediátrica, entendemos que esses pacientes também devem ter acesso ao ETI. Diante da robustez das evidências científicas, sua incorporação para pacientes com variantes responsivas não-F508del é uma medida tecnicamente fundamentada e alinhada às melhores práticas atuais.,	2ª - Sim, Qual: elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor (ETI) - Trikafta, Positivo e facilidades: Sim. Em nosso serviço, acompanhamos pacientes com variantes responsivas não-F508del que tiveram acesso ao elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) por doação ou por via judicial. Observamos benefícios clínicos e laboratoriais semelhantes aos descritos em pacientes com a variante F508del, especialmente nos casos de doença pulmonar moderada e grave, com redução da progressão clínica e melhora da estabilidade dos pacientes., Essa experiência reforça que indivíduos com variantes responsivas não-F508del também se beneficiam de um tratamento capaz de modificar a evolução natural da fibrose cística., Negativo e dificuldades: Na experiência da Pneumologia Pediátrica do Instituto da Criança e do Adolescente do HCFMUSP, o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) apresentou um perfil de segurança favorável. Observamos apenas eventos adversos leves em alguns pacientes, todos já descritos na literatura e na bula do medicamento, sem identificação de novos sinais de segurança. Na maioria dos casos, esses eventos foram manejados de forma conservadora, sem necessidade de suspensão definitiva do tratamento.,	3ª - Sim, Qual: As terapias convencionais disponíveis para a fibrose cística, como reposição de enzimas pancreáticas, fisioterapia respiratória, mucolíticos e antibióticos que fazem parte da rotina assistencial do nosso serviço., Positivo: São fundamentais para o controle das manifestações da doença. Entretanto, nenhuma delas atua diretamente sobre o defeito básico da proteína CFTR., Negativo: Nenhuma delas atua diretamente sobre o defeito básico da proteína CFTR., Comparativamente, o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) proporcionou impacto clínico significativamente superior, com redução das exacerbações e hospitalizações, melhora da função pulmonar, do estado nutricional e da qualidade de vida, além de diminuir a carga diária de tratamento., Por isso, entendemos que a ampliação do acesso ao ETI para pacientes com variantes responsivas não-F508del é tecnicamente justificada e representa uma oportunidade de oferecer um tratamento modificador da doença a um grupo que ainda dispõe de poucas alternativas terapêuticas.	4ª - Além das evidências que embasaram a aprovação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) pela ANVISA para variantes patogênicas responsivas não-F508del, a experiência da Pneumologia Pediátrica do Instituto da Criança e do Adolescente do HCFMUSP reforça o benefício dessa terapia nessa população., , Acompanhamos uma paciente sem a variante F508del, mas portadora de uma variante contemplada pela bula aprovada pela ANVISA, que obteve acesso ao ETI por via excepcional. Após o início do tratamento, observamos melhora importante dos sintomas respiratórios, melhora radiológica, ganho ponderal adequado, ausência de necessidade de antibioticoterapia para exacerbações pulmonares e melhora significativa da qualidade de vida., , Esses achados são compatíveis com os estudos de Burgel et al. (*European Respiratory Journal*, 2024, *The Lancet Respiratory Medicine*, 2024), que demonstraram a efetividade do ETI em pacientes com variantes responsivas não-F508del, com o trabalho de Castellani et al. (*American Journal of Respiratory and Critical Care Medicine*, 2026), que reforçou o uso de evidências funcionais para identificação de variantes responsivas, e com a série brasileira publicada por Canan et al., que também demonstrou benefícios clínicos nessa população., , Embora se trate da experiência de um único caso, sua evolução reproduz os resultados descritos na	5ª - A incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) para pacientes portadores de variantes patogênicas responsivas não-F508del representa um investimento importante para o SUS, cuja avaliação deve considerar não apenas o custo da medicação, mas também seu potencial para reduzir a utilização de recursos em saúde., , Na prática da Pneumologia Pediátrica do Instituto da Criança e do Adolescente do HCFMUSP, observamos menor necessidade de hospitalizações, de tratamento das exacerbações pulmonares e de outras terapias de alto custo, como antibióticos inalatórios e dornase alfa., , Também deve ser considerado o impacto sobre os pacientes e suas famílias. A redução da carga diária de tratamento e das internações favorece a participação em atividades escolares e profissionais e diminui o afastamento de pais e cuidadores do trabalho, reduzindo custos indiretos frequentemente não contemplados nas avaliações econômicas., , Esses aspectos reforçam que a análise econômica do ETI deve considerar não apenas seu custo de aquisição, mas também os benefícios decorrentes da redução da utilização de recursos em saúde e da carga da doença para os pacientes e suas famílias.

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:
				literatura e reforça que pacientes portadores de variantes patogênicas responsivas contempladas pela bula da ANVISA também podem se beneficiar de um tratamento modificador da doença. Esses achados fortalecem a ampliação do acesso ao ETI para todos os pacientes elegíveis.	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu tenho uma filha com Fibrose Cística, e pelo o testemunho de que já fez o uso do medicamento os resultados são incontestáveis, se vivemos em um país, onde a constituição diz que a saúde é para todos, que prioriza tantos outros gatos porque não priorizar a coisa mais importante que temos, a Vida.	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:
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com essa doença desde a infância, enfrentando infecções respiratórias frequentes, inúmeras internações, uso contínuo de antibióticos, fisioterapia respiratória diária e uma grande quantidade de medicamentos. A fibrose cística sempre exigiu dedicação constante, tanto minha quanto da minha família., , Desde que iniciei o tratamento com TRIKAFTA, em maio de 2022, minha qualidade de vida mudou significativamente. Passei a respirar melhor, tive um ganho de peso de 12kgs, tive redução importante das exacerbações pulmonares, diminuição das internações e consegui manter uma rotina muito mais próxima da normalidade. O medicamento também trouxe mais disposição para trabalhar e conviver com minha família e planejar o meu futuro., , Mesmo continuando com acompanhamento médico, fisioterapia respiratória, enzimas pancreáticas e outros medicamentos, o Trikafta tornou-se a base do meu tratamento. Os benefícios observados ao longo desses anos demonstram que essa terapia modifica a evolução da doença e proporciona mais qualidade e expectativa de vida., , Por isso, peço que o SUS incorpore o Trikafta para todas as pessoas com fibrose cística que possam se beneficiar do tratamento, incluindo os paceintes com variantes responsivas raras. Nenhum paciente deve ser privado de uma terapia que pode transformar sua vida apenas por causa da sua mutação genética., , Espero que minha experiência contribua para que mais brasileiros tenham a oportunidade de viver melhor, com menos internações, menos complicações e mais esperança.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Desde que iniciei o tratamento com TRIKAFTA, em maio de 2022, minha qualidade de vida mudou significativamente. Passei a respirar melhor, tive um ganho de peso de 12kgs, tive redução importante das exacerbações pulmonares, diminuição das internações e consegui manter uma rotina muito mais próxima da normalidade. O medicamento também trouxe mais disposição para trabalhar e conviver com minha família e planejar o meu futuro., Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Não	4ª - * Theratyping de variantes raras da CFTR, que fundamenta a ampliação de indicações para moduladores., * FDA – Aprovações de expansões de indicação baseadas em dados laboratoriais de responsividade para variantes raras., * EMA – Ampliação das indicações do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para variantes responsivas., * European Cystic Fibrosis Society (ECFS) – Recomendações sobre o uso de moduladores de CFTR e medicina de precisão., * Cystic Fibrosis Foundation (CFF) – Diretrizes clínicas para moduladores da CFTR e uso de dados funcionais na elegibilidade terapêutica.	5ª - Referências:, , 1. Conitec. Relatório de Recomendação – Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor para fibrose cística. Ministério da Saúde, Brasil., 2. CADTH – Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (Trikafta): Reimbursement Review Report., 3. NICE – National Institute for Health and Care Excellence (Reino Unido). Guidance on elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor for treating cystic fibrosis., 4. Middleton PG, Mall MA, D?evínek P, et al. Elexacaftor–Tezacaftor–Ivacaftor for Cystic Fibrosis with a Single Phe508del Allele. New England Journal of Medicine. 2019, 381:1809–1819., 5. Heijerman HGM, McKone EF, Downey DG, et al. Efficacy and Safety of the Elexacaftor plus Tezacaftor plus Ivacaftor Combination Regimen in People with Cystic Fibrosis Homozygous for F508del. The Lancet. 2019, 394:1940–1948., 6. Cystic Fibrosis Foundation. Clinical Practice Guidelines for CFTR Modulator Therapy.

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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de uma criança de 1 ano e 7 meses com fibrose cística, diagnosticada pelo teste do pezinho e acompanhada pelo Centro de Referência da Unicamp. Embora meu filho ainda não tenha idade para receber essa tecnologia, convivemos diariamente com os desafios impostos pela doença e acompanhamos de perto a importância dos medicamentos moduladores da CFTR. Sabemos que essas terapias tratam a causa da fibrose cística e podem retardar sua progressão, preservando a função pulmonar e melhorando a qualidade de vida dos pacientes. A incorporação para todas as pessoas elegíveis representa mais esperança, menos complicações, menos internações e maior expectativa de vida. Como familiar, apoio a ampliação do acesso para que nenhum paciente que possa se beneficiar fique sem tratamento por limitações de acesso ao SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, sou a favor da incorporação porque trata a causa da Fibrose Cistica e pode mudar completamente a vida das pessoas com mutações raras.	2ª - Sim, Qual: meu filho usa Trikafta desde 2022 e teve sua vida mudada depois do uso do medicamento. Teve melhora do peso, da função pulmonar, da secreção. Hoje ele tem muito menas internações e usa muito pouco antibioticos orais. Participa ativamente da sociedade, voltou a estudar, a trabalha, tem vida normal., Positivo e facilidades: tudo. melhora nos aspectos clinicos, laboratoriais, melhora metal, melhora ate da vida familiar., Negativo e dificuldades: não percebi nenhum aspecto negativo	3ª - Não	4ª - Estudos clínicos e dados de laboratório (testes in vitro) mostram que diversas variantes raras responsivas apresentam resposta ao medicamento, justificando seu uso nesses pacientes, Referências:, * Middleton PG et al. N Engl J Med. 2019, 381:1809-1819., * Heijerman HGM et al. Lancet. 2019, 394:1940-1948., * FDA. Trikafta Prescribing Information (inclui variantes responsivas com base em dados clínicos e funcionais)., * Cystic Fibrosis Foundation. CFTR Modulator Therapy Guidelines.	5ª - Embora o investimento inicial na incorporação do Trikafta seja elevado, diversos estudos demonstram que a terapia pode reduzir custos relacionados à progressão da fibrose cística. A melhora clínica está associada à redução de exacerbações pulmonares, internações, uso de antibióticos intravenosos, consultas de urgência e necessidade de transplante pulmonar., Referências:, 1. Conitec. Relatório de Recomendação – Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor para fibrose cística. Ministério da Saúde, Brasil., 2. CADTH – Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (Trikafta): Reimbursement Review Report., 3. NICE – National Institute for Health and Care Excellence (Reino Unido). Guidance on elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor for treating cystic fibrosis., 4. Middleton PG, Mall MA, D?evínek P, et al. Elexacaftor–Tezacaftor–Ivacaftor for Cystic Fibrosis with a Single Phe508del Allele. New England Journal of Medicine. 2019, 381:1809–1819., 5. Heijerman HGM, McKone EF, Downey DG, et al. Efficacy and Safety of the Elexacaftor plus Tezacaftor plus Ivacaftor Combination Regimen in People with Cystic Fibrosis

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:
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho fibrose cística e a mudança na minha qualidade de vida é inacreditável. Desde que comecei o uso consigo ter uma vida normal, sem tossir o dia todo., Pode parecer algo banal mas, não é. Acordar sem ter que correr para o banheiro cuspir secreção é algo gratificante., , Além disso, a redução do consumo de antibióticos reduziu drasticamente. Há aproximadamente 3 anos não sou internada.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor , Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida, Melhora na função pulmonar, Melhora na tomografia de tórax, Redução das exacerbações, Negativo e dificuldades: Nenhuma experiência negativa	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu sou portador de Fibrose Cística e sei bem o que essa doença faz com nosso pulmão. Ele nos impede de ter uma vida, de está em sociedade e com a incorporação dessa medicação no sus vai transformar as vidas das crianças, vai fazer com que elas possam ter uma vida normal sem depender de ninguém. Apesar de não ter a mutação que se enquadra no medicamento, sei que isso não se trata de mim mais das pessoas e pais que lutam todos os dias pra darem uma vida digna aos seus filhos e um futuro onde eles possam poder realizar seus sonhos. Infelizmente eu não tive essa oportunidade de ter uma vida normal e com isso perdi oportunidades de emprego, devido ter essa doença, hoje estou transplantado bilateral de pulmão e com isso não tive a oportunidade de realizar meus sonhos de ter uma carreira profissional, meus sonhos foram encerrados devido a falta dessas tecnologias e precisamos que isso não aconteça com essas pessoas, elas precisam conquistar seus sonhos e objetos e só vão conseguir se tiver acesso a essas tecnologias.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Já useis outros medicamentos porém eles não são tão eficazes quanto esses. Esses são na verdade praticamente a cura da doença. Ele age da causa e não é um paliativo. O que eu usava, pois atualmente tive que fazer um transplante devido ao agravo da minha doença era, Pulmozyme e Colomicina., Positivo: Como eu disse anteriormente essa medicações que usei nem chegar perto das que tem hoje pois elas não trata a causa e sim alivia nas infecções e na diminuição do muco, porém as de hoje trata a causa em si e transforma as vidas das pessoas que estão usando. Infelizmente como eu não sou legível para essas medicações tive que optar pelo transplante de pulmão, mais se eu tivesse essa oportunidade não precisaria passar por isso. Os medicamentos que tive acesso a muito tempo atrás só serve para tratar infecções porém deixa danos nos pulmões cada uso deles, ou seja apesar de ajudar, acaba de alguma forma prejudicando. Além de deixar perdas de capacidade pulmonar em cada tratamento com esses antibióticos acaba criando resistências as bactérias, Negativo: Como eu disse anteriormente essa medicações que usei nem chegar perto das que tem hoje pois elas não trata a causa e sim alivia nas infecções e na diminuição do muco, porém as de hoje trata a causa em si e transforma as vidas das pessoas que estão usando. Infelizmente como eu não sou legível para essas medicações tive que optar pelo transplante de pulmão, mais se eu tivesse essa oportunidade não precisaria passar por isso. Os medicamentos que tive acesso a muito tempo atrás só serve para tratar infecções porém deixa danos nos pulmões cada uso deles, ou seja apesar de ajudar, acaba de alguma forma prejudicando. Além de deixar perdas de capacidade pulmonar em cada tratamento com esses antibióticos acaba criando resistências as bactérias	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:
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Quero viver, não quero morrer agora. O remédio é minha última esperança de ficar viva e bem. Tenho muito pra viver	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Uso o alfa dornase que é para a Fibrose cistica, uso gentamicina para tentar evitar infecções, mas não tem resultado muito satisfatório. O trikafta seria uma revolução para o meu tratamento , Positivo: Não estão sendo muito eficazes, pois minha internações continuam colocando em risco minha vida , Negativo: Não estão fazendo o efeito necessário	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Apesar de meu filho ter a FDel 508, vejo em muitos casos que passamos a conviver ao buscar os remédios dele, bem como no dia das consultas no centro de referencia pacientes que tem outras mutações que tiveram a vida transformada, onde claramente o remédio atuou de forma satisfatória na proteína, Por isso acredito que outras mutações já comprovada em bula possam ter acesso para que mais vidas possam ser transformada e que essas pessoas possam dizer que deixaram de ter uma doença terminal para uma doença crônica.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou avó de um menino de 1 ano e 7 meses com fibrose cística, diagnosticado pelo teste do pezinho e acompanhado pelo Centro de Referência da Unicamp. Desde o diagnóstico, acompanho de perto a luta diária da nossa família para garantir todos os cuidados que essa doença exige. É muito difícil ver um neto tão pequeno passar por consultas frequentes, exames, fisioterapia respiratória, uso de medicamentos, antibióticos e internações, enquanto convivemos com o medo constante de que a doença cause danos permanentes aos seus pulmões e a outros órgãos., , Como avó, meu maior desejo é vê-lo crescer com saúde, brincar, estudar e realizar seus sonhos como qualquer outra criança. Saber que existem medicamentos capazes de tratar a causa da fibrose cística renova nossa esperança. Acredito que todos os pacientes elegíveis devem ter acesso a esse tratamento pelo SUS, pois ele pode retardar a progressão da doença, melhorar a qualidade de vida e oferecer um futuro mais digno às pessoas com fibrose cística e às suas famílias. Nenhuma família deveria depender de recursos financeiros para ter acesso a um tratamento que pode mudar o curso dessa doença.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de uma adolescente portadora de fibrose cística, hoje com 17 anos, e há 2 anos usuária do medicamento Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor disponibilizado pelo SUS. Aos 15 anos de idade da minha filha, 4 meses antes de iníciar o uso do medicamento, a progressão da doença estava ocorrendo de forma acelerada, a função pulmonar já estava em 64% e as respostas à outros medicamentos já não ocorria como esperado, Já não estava sendo possível a execução de tarefas cotidianas, não conseguia, por exemplo, subir a rampa de escola para chegar na sala de aula ou carregar seu material escolar. Então, o início do uso Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor deu início à transformação na vida da minha filha, que já nos primeiros meses recuperou sua função pulmonar para 100% e vem mantendo até então, todo cansaço físico e respiratório já não existe mais, a agudização proveninete de infecções bacterianas tem sido cada vez mais rara. Hoje minha filha matém sua rotina de atividades plenamente. Aos 10 anos de idade ela desenvolveu de maneira precoce, a diabetes relacionada à fibrose cística (DRFC), que é uma comorbidade importante que contribui para a piora pulmonar. Minha filha vem sendo acompanhada até a data de hoje e seguindo o tratamento para tal, com a glicemia controlada. Há relatos na literatuar sobre a influência do Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor no controle da glicemia com ajuste de dose de insulina e diminuição da hemoglobina glicada, então apesar da necessidade de maior compreensão, os dados sugerem que o início precoce do Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor poderá reduzir a incidência futura da DRFC, por isso a importância da incorporação no SUS do medicamento para crianças a partir de 2 anos de idade.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Recuperação da função pulmonar, com retorno da rotina da vida cotidiana da idade., Negativo e dificuldades: Medo de faltar a medicação.	3ª - Sim, Qual: lumacaftor/ivacaftor, Positivo: Interrupção da progressão da doença., Negativo: O organismo da minha filha parou de responder ao medicamento.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha neta de 4 anos, foi diagnosticada com fibrose cística e portadora de mutações não-F508. Vivencio de perto a realidade que essa doença afeta à nossa família. A rotina é marcada por consultas frequentes, exames, tratamentos diários e pela preocupação constante com infecções e possíveis internações. Cada etapa reforça o quanto é fundamental que essas crianças tenham acesso, o mais cedo possível, às melhores opções terapêuticas disponíveis.A fibrose cística é uma doença que evolui ao longo do tempo e pode causar danos irreversíveis. Por isso, iniciar um tratamento eficaz na primeira infância pode fazer toda a diferença no futuro dessas crianças. Mais do que oferecer um medicamento, estamos falando da oportunidade de preservar a saúde, minimizar complicações, reduzir hospitalizações e proporcionar uma infância com mais qualidade de vida, autonomia e bem-estar.A ampliação do acesso ao Trikafta pelo SUS para crianças de 2 a 5 anos elegíveis, incluindo aquelas com mutações não-F508 que possuam evidências de resposta ao tratamento, representa um importante avanço na promoção da equidade. Cada paciente apresenta características próprias, e as decisões terapêuticas devem estar fundamentadas nas evidências científicas e nas necessidades clínicas de cada criança.Como familiar, é muito doloroso saber que existe uma alternativa capaz de modificar a evolução da doença e, ainda assim, ela não está disponível para todos que podem se beneficiar. Essa situação gera angústia, insegurança e o receio constante de que a doença avance enquanto aguardamos uma decisão.Tenho esperança de que o SUS continue fortalecendo seu compromisso com um atendimento baseado na ciência, na justiça e no cuidado com as pessoas. Garantir o acesso a tratamentos inovadores também significa prevenir complicações futuras, reduzir procedimentos invasivos, diminuir internações e oferecer melhores perspectivas para as crianças e suas famílias.Trikafta no SUS: mais esperança para crianças com fibrose cística.,	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha filha é portadora de fibrose cística de mutação deltaf508. Com o uso desta medicação ela está tendo uma melhora na sua saúde considerável. Não fica internada mais com infecção pulmonares repetitivas. Está tendo uma outra perspectiva de vida. É importante que os outros pacientes também tenham acesso a está medicação.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Melhoras em tudo: Peso, frequência respiratória, menos infecções respiratórias e etc , Negativo e dificuldades: Nehum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tem que ser incorporado por questões tanto financeiramente, por ser um medicamento muito muito caro., Quanto em aspectos na saúde do paciente, porque esse medicamento é a salvação na vida de alguns pacientes que tem a fibrose cística, e todos que usam tem a extrema melhora na saúde.	2ª - Sim, Qual: Uso da medicação específica para a fibrose cística., Positivo e facilidades: Tive muita melhora tanto no quadro clínico quanto fisicamente, me ajudou a não ter mais infecções e não pegar mais bactéria com tanta frequência igual eu pegava antes da medicação, a melhora foi absurda, tanto é que engordei e tive melhora até respiração, Menas tosse e tudo melhorou, até as dores que tinha frequente nas articulações melhorou., Negativo e dificuldades: Nenhuma	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação deve ser incorporada no SUS para beneficiar os pacientes variantes raras não-F508del. Os estudos nessa população de indivíduos com variantes raras são difíceis de serem executados, especialmente os estudos tipo ensaios clínicos randomizamos e controlados. Dessa forma, os estudos de vida real conseguiram demonstrar a melhora em desfechos como função pulmonar, teste do suor e qualidade de vida. O mais importante aspecto é que a própria Anvisa aprovou a recente atualização da bula do medicamento Trikafta® no Brasil , com a inclusão de mais de uma centena de outras variantes não-F responsivas ao tratamento, com base em dados clínicos ou experimentos com células, ampliando o acesso a esse tratamento. Vale ressaltar que o estudo foi realizado no Brasil, com os seguintes resultados: demonstram benefício clínico consistente do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor em pacientes com fibrose cística portadores de variantes raras não F508del, incluindo variantes sem evidência prévia de responsividade in vitro. Todos os 34 pacientes apresentaram melhora em pelo menos um desfecho clínico, com redução dos sintomas respiratórios em 100% dos casos, aumento do IMC em 88%, melhora do VEF1 ?5% em 79,4% e redução do cloro no suor ?20 mmol/L em 94% dos pacientes, sem ocorrência de eventos adversos graves. Além disso, observou-se redução de 72,1% nas exacerbações tratadas ambulatorialmente, diminuição de 89,7% nas hospitalizações por exacerbação pulmonar, redução de 55,6% na necessidade de oxigenoterapia domiciliar e suspensão da ventilação não invasiva em todos os pacientes que a utilizavam. O estudo também documentou resposta clínica favorável em variantes raras não previamente aprovadas pela FDA (R334W, A561E, R1066C e 875+1G>A), reforçando a importância da avaliação clínica in vivo para ampliar o acesso à terapia moduladora em populações com elevada heterogeneidade genética, como a brasileira. Disponível em: Respir. Res. Clin. Pract. 2026, 52(1):e20250384.	2ª - Sim, Qual: Tenho experiência com a terapia tripla Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para os pacientes com 6 anos ou mais. Sou médica de um centro de referência para pacientes com Fibrose Cística no Nordeste do Brasil. Desde 2024 tratamos os pacientes elegíveis a essa terapia tripla com resultados muito satisfatórios, melhora da sobrevida, da qualidade de vida, da melhora da função pulmonar, melhora do estado nutricional, redução das exacerbações pulmonares e redução da dosagem do cloreto no suor, indicando o restabelecimento da função da CFTR., Positivo e facilidades: Sou médica de um centro de referência em Fibrose Cística que acompanha pacientes com Fibrose Cística (FC) há cerca de 34 anos. Iniciamos o tratamento com a medicação para os pacientes elegíveis com 6 anos ou mais desde 2024. As respostas clínicas foram todas exuberantes e citarei as mais impactantes: 1- evitamos o óbito de 1 jovem de 19 anos, dependente de oxigênio, dependente de alimentação por gastrostomia, evitamos o sexto internamento consecutivo em cerca de 6 meses, 2- melhoramos o estado nutricional de todos os pacientes, com danos de peso médio de 3 a 5 Kg em 1 mês, suspendemos gastrostomias e reduzimos as doses das enzimas pancreáticas, 3- melhoramos a qualidade de vida de todos os pacientes (votaram a trabalhar, estudar, ter sonhos de constituir família). 4- reduzimos as internações pelas exacerbações pulmonares, muitos pacientes não são mais considerados colonizados crônicos pela Pseudomonas aeruginosa. Dessa forma, não há como negar o acesso aos pacientes elegíveis com variantes não F508del diante de todas as significativas evidências de mundo real e com base em dados clínicos ou experimentos com células que a medicação traz, modificando totalmente o curso da doença., Negativo e dificuldades: Quando a interrupção do fornecimento da medicação ocorre por motivo alheio à nossa vontade, os aspectos negativos são o retorno da piora clínica de forma rápida.	3ª - Não	4ª - "Gostaria de apoiar as informações técnico-científicas utilizando a nota técnica conjunta emitida pelo Grupo Brasileiro de Estudos de Fibrose Cística - GBEFC (a qual faço parte), da Sociedade Brasileira de Pediatria - SBP (a qual faço parte) e da Sociedade Brasileira de Pneumologia e Tisiologia - SBPT. O documento tem título: PARECER TÉCNICO-CIENTÍFICO, Uso de Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (Trikafta®) em Crianças de 2–5 anos e em Pessoas com Variantes Raras do Gene CFTR no Brasil. Em busca da equidade no acesso a terapias transformadoras no SUS., Gostaria de anexar também artigo nacional de título: ""Effectiveness of elexacaftor-tezacaftor- ivacaftor in people with cystic fibrosis carrying non-F508del variants in Brazil"" que informa: Os resultados demonstram benefício clínico consistente do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor em pacientes com fibrose cística portadores de variantes raras não F508del, incluindo variantes sem evidência prévia de responsividade in vitro. Todos os 34 pacientes apresentaram melhora em pelo menos um desfecho clínico, com redução dos sintomas respiratórios em 100% dos casos, aumento do IMC em 88%, melhora do VEF1 ?5% em 79,4% e redução do cloro no suor ?20 mmol/L em 94% dos pacientes, sem ocorrência de eventos adversos graves. Além disso, observou-se redução de 72,1% nas exacerbações tratadas	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:
				ambulatorialmente, diminuição de 89,7% nas hospitalizações por exacerbação pulmonar, redução de 55,6% na necessidade de oxigenoterapia domiciliar e suspensão da ventilação não invasiva em todos os pacientes que a utilizavam. O estudo também documentou resposta clínica favorável em variantes raras não previamente aprovadas pela FDA (R334W, A561E, R1066C e 875+1G>A), reforçando a importância da avaliação clínica in vivo para ampliar o acesso à terapia moduladora em populações com elevada heterogeneidade genética, como a brasileira. Disponível em: Respir. Res. Clin. Pract. 2026, 52(1):e20250384, https://dx.doi.org/10.36416/1806-3756/e20250384"	
Profissional de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trabalho como médica em Centro de Referência em Fibrose Cística e vejo a importância do uso dessa medicação na melhora dos sintomas, funcionalidade respiratória e ganho nutricional, melhora na qualidade de vida, menor morbidade dos pacientes. , Os trabalhos cientificos mostram a eficácia tanto para os pacientes F508del como os não F508del, em mutações que foram testadas em pacientes em países como EUA, Canadá e França., Por isso sou a favor da incorporação da medicação na lista de fornecimento via SUS., ,	2ª - Sim, Qual: Uso da terapia combinada Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor em pacientes F508del em pelo menos um alelo e uma paciente não F508del que vem apresentando melhora significativa dos sintomas e qualidade de vida, sem internações no período de uso., Positivo e facilidades: Melhora dos sintomas, melhora significativa da funcionalidade respiratória, confirmada em espirometria e exames de imagem, ganho nutricional, normalizando escores de IMC, melhora na qualidade de vida, menor morbidade com redução e até ausência de internações, diminuição no uso de outros medicamentos de alto custo (Alfadornase e tratamentos antibacterianos como Tobramicina inalável e Colistimetato de sódio), menor necessidade de fisioterapia respiratória, menor absenteísmo escolar e laboral. , Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo em nossa experiência, sabendo do potencial hepatotóxico, sendo que, em nossa experiência, os pacientes normalizaram as enzimas hepáticas a partir do tratamento., , Os pacientes tem sido alertados sob a melhora potencial da capacidade reprodutora feminina e risco de gravidez não planejada.	3ª - Sim, Qual: Uso de Tratamentos sintomáticos como uso de enzimas pancreáticas, Alfa dornase, Tobramicina e Colistimetato inalatórios, suplementos nutricionais., Positivo: As outras tecnologias traziam tratamentos de sintomas com pouca repercussão na progressão da doença. Diferente da tecnologia proposta que levou a uma melhora expressiva nos sintomas e progressão da doença com impacto positivo na longevidade., Negativo: Não oferecem tratamento da patologia, apenas tratamento parcial dos sintomas.	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:
Organização da Sociedade Civil **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A SPPT manifesta-se favoravelmente à incorporação do (ELX/TEZ/IVA) para pacientes com FC e pelo menos uma variante não-F508del responsiva ao medicamento. A recomendação preliminar desfavorável da Conitec fundamenta-se predominantemente em aspectos econômicos, uma vez que o próprio relatório reconhece benefícios clínicos relevantes. É importante reconhecer as particularidades das doenças raras. A extrema heterogeneidade genética da fibrose cística torna inviável a realização de ensaios clínicos randomizados de grande porte para cada variante individual. Por esse motivo, agências regulatórias internacionais passaram a aceitar uma abordagem baseada na integração de evidências clínicas, dados funcionais in vitro e plausibilidade biológica para ampliar as indicações dos moduladores da CFTR. A própria Anvisa aprovou a ampliação da indicação para variantes responsivas com base nesses critérios científicos, em consonância com FDA e outras agências regulatórias. Negar acesso ao tratamento para pacientes portadores de variantes não-F508del responsivas significa manter uma inequidade injustificável entre indivíduos com a mesma doença, semelhante gravidade e potencial de resposta ao tratamento, diferenciados apenas pelo tipo de variante genética. Esses pacientes continuam expostos à progressão irreversível da doença pulmonar, hospitalizações recorrentes, necessidade de transplante pulmonar e redução da expectativa de vida, apesar da existência de uma terapia capaz de modificar a história natural da doença., Embora seja fundamental considerar a sustentabilidade do SUS, o elevado impacto orçamentário não deve constituir obstáculo definitivo para uma tecnologia que modifica o curso de uma doença grave, progressiva e rara. Alternativas como negociação de preços, acordos de compartilhamento de risco e monitoramento continuado de efetividade podem conciliar o acesso dos pacientes com a sustentabilidade do sistema.	2ª - Sim, Qual: Recentemente um grupo de pesquisadores brasileiros corroborou os achados de benefícios da terapia tripla (elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor) em pacientes com mutações não F508del. Sete centros de referências brasileiros avaliaram seus casos com essa terapia mostrando mesmos benefícios clínicos já encontrados na literatura e em magnitude semelhante aos já apresentados para pacientes com mutações F508del. Desta forma, comprovamos o benefício clínico desse tratamento inclusive no cenário de pacientes brasileiros. , Effectiveness of elexacaftor-tezacaftor- ivacaftor in people with cystic fibrosis carrying non-F508del variants in Brazil, Mariane Gonçalves Martynychen Canan, Caroline Souza Sokoloski, Paulo de Tarso Roth Dalcin, Raphael Freitas Jaber de Oliveira, Bruna Ziegler, Samia Zahi Rached, Débora Carla Chong e Silva, Luiz Vicente Ribeiro Ferreira da Silva Filho, Leonardo Araújo Pinto, Rodrigo Abensur Athanazio, Respiratory Research & Clinical Practice. 2026, 52(1):e20250384, DOI: 10.36416/1806-3756/e20250384, Positivo e facilidades: Este estudo multicêntrico brasileiro de vida real avaliou 34 pacientes com fibrose cística portadores de variantes não-F508del tratados com elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ELX/TEZ/IVA) em sete centros de referência. Os resultados demonstraram benefício clínico consistente, mesmo em pacientes com variantes raras e, em alguns casos, previamente consideradas não responsivas com base em testes in vitro. Todos os pacientes apresentaram melhora em pelo menos um desfecho clínico. Houve redução dos sintomas respiratórios em 100% dos indivíduos, aumento do índice de massa corporal em 88% dos pacientes (ganho ?0,5 kg/m²), melhora da função pulmonar (incremento ?5% no VEF1 previsto) em 79,4% e redução ?20 mmol/L na concentração de cloreto no suor em 94% dos casos avaliados, indicando restauração da função da proteína CFTR. Aproximadamente metade dos pacientes alcançou valores de cloreto no suor inferiores ao limiar diagnóstico da fibrose cística, e cinco atingiram níveis normais. Além disso, observou-se importante redução da gravidade da doença. As exacerbações pulmonares tratadas ambulatorialmente diminuíram 72,1%, enquanto as hospitalizações por exacerbações foram reduzidas em 89,7%. Também houve redução de 55,6% na necessidade de oxigenoterapia domiciliar de longa duração, e todos os pacientes que utilizavam ventilação não invasiva puderam suspendê-la após o tratamento. Esses benefícios foram observados após apenas 12 a 16 semanas de terapia e foram comparáveis aos descritos em pacientes com a mutação F508del. O estudo também demonstrou resposta clínica em variantes frequentes na população brasileira, como R334W, R1066C e A561E, além de benefício em uma variante rara de função mínima (875+1G>A), reforçando que pacientes com variantes não-	3ª - Sim, Qual: Como sociedade científica que reúne especialistas no cuidado de pacientes com fibrose cística, temos ampla experiência com as terapias atualmente disponibilizadas pelo SUS, incluindo fisioterapia respiratória, alfadornase, solução salina hipertônica, broncodilatadores, antibióticos inalatórios e sistêmicos, reposição de enzimas pancreáticas, suporte nutricional, além dos moduladores da CFTR já incorporados para indicações específicas, como o ivacaftor e o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pacientes com pelo menos uma variante F508del., , Positivo: Essas estratégias são fundamentais e permanecem indispensáveis no manejo da doença. Entretanto, a maioria delas atua predominantemente no controle das manifestações e complicações da fibrose cística, reduzindo infecções, facilitando a depuração de secreções, melhorando o estado nutricional e tratando insuficiências orgânicas já estabelecidas, sem modificar a causa subjacente da doença. Em contraste, o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor atua diretamente sobre o defeito básico da fibrose cística, restaurando parcial ou significativamente a função da proteína CFTR em pacientes com variantes responsivas. Essa ação resulta em melhora da função pulmonar, redução do cloreto no suor, diminuição das exacerbações, melhora da qualidade de vida e potencial desaceleração da progressão da doença. Trata-se, portanto, de uma terapia modificadora da história natural da fibrose cística, representando um avanço substancial em relação aos tratamentos exclusivamente sintomáticos., Negativo: Essas estratégias são fundamentais e permanecem indispensáveis no manejo da doença. Entretanto, a maioria delas atua predominantemente no controle das manifestações e complicações da fibrose cística, reduzindo infecções, facilitando a depuração de secreções, melhorando o estado nutricional e tratando insuficiências orgânicas já estabelecidas, sem modificar a causa subjacente da doença. Em contraste, o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor atua diretamente sobre o defeito básico da fibrose cística, restaurando parcial ou significativamente a função da proteína CFTR em pacientes com variantes responsivas. Essa ação resulta em melhora da função pulmonar, redução do cloreto no suor, diminuição das	4ª - Recentemente um grupo de pesquisadores brasileiros corroborou os achados de benefícios da terapia tripla (elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor) em pacientes com mutações não F508del. Sete centros de referências brasileiros avaliaram seus casos com essa terapia mostrando mesmos benefícios clínicos já encontrados na literatura e em magnitude semelhante aos já apresentados para pacientes com mutações F508del. Desta forma, comprovamos o benefício clínico desse tratamento inclusive no cenário de pacientes brasileiros. , Effectiveness of elexacaftor-tezacaftor- ivacaftor in people with cystic fibrosis carrying non-F508del variants in Brazil, Mariane Gonçalves Martynychen Canan, Caroline Souza Sokoloski, Paulo de Tarso Roth Dalcin, Raphael Freitas Jaber de Oliveira, Bruna Ziegler, Samia Zahi Rached, Débora Carla Chong e Silva, Luiz Vicente Ribeiro Ferreira da Silva Filho, Leonardo Araújo Pinto, Rodrigo Abensur Athanazio, Respiratory Research & Clinical Practice. 2026, 52(1):e20250384, DOI: 10.36416/1806-3756/e20250384	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:
		F508del podem apresentar melhora clínica significativa mesmo quando a responsividade in vitro é limitada. Os eventos adversos foram leves e não houve problemas de segurança relevantes. , Negativo e dificuldades: O principal aspecto negativo relacionado ao elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor é o seu elevado custo, que representa um desafio para a sustentabilidade do SUS e reforça a necessidade de negociação de preços entre o Ministério da Saúde e o fabricante. Estratégias como descontos adicionais, acordos de compartilhamento de risco e monitoramento de resultados podem contribuir para viabilizar o acesso de forma sustentável, sem privar pacientes de uma terapia modificadora da doença., Do ponto de vista clínico, entretanto, as evidências atualmente disponíveis, incluindo estudos de vida real em pacientes com variantes não-F508del, não identificaram preocupações relevantes de segurança. Os eventos adversos observados foram, em sua maioria, leves e manejáveis, como alterações transitórias de enzimas hepáticas, rash cutâneo e manifestações inespecíficas, raramente levando à interrupção do tratamento. Além disso, o perfil de segurança mostrou-se semelhante ao já conhecido para pacientes com variantes F508del e amplamente consistente com a experiência acumulada em registros internacionais., Dessa forma, entendemos que o elevado custo constitui o principal obstáculo à incorporação da tecnologia, e não questões relacionadas à sua segurança ou efetividade clínica. O desafio deve ser enfrentado por meio de mecanismos que permitam conciliar o acesso dos pacientes com a sustentabilidade do sistema de saúde.	exacerbações, melhora da qualidade de vida e potencial desaceleração da progressão da doença. Trata-se, portanto, de uma terapia modificadora da história natural da fibrose cística, representando um avanço substancial em relação aos tratamentos exclusivamente sintomáticos.		
Interessado no tema **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas famílias não têm condições financeiras para arcar com os custos dos medicamentos. Pagamentos tantos impostos para que nesse momento o governo possa apoiar ainda mais essas famílias.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Será de extrema importância para a melhora da qualidade de vida do meu filho.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, porque eu tenho um neto de 19 meses que tem fibrose cística que convive com desafios exigentes para poder estar bem e tenho conhecimento de outras crianças que com o uso do medicamento levam uma vida normal e saudável, acreditando que meu neto também possa ter melhor qualidade de vida com o uso a partir dos dois anos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os sinais da doença Diarreia, falta de ganho ponderal e pneumonia podem iniciar já nos 1 °s dias de vida. Quanto mais se prolonga mais leva a lesões, tanto nos pulmões como no trato digestorio, e consequentemente prejuízo no desenvolvimento da criança.,	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA, Positivo e facilidades: No nosso centro de referencia, com mais de 20 pacientes entre crianças e adultos em uso do esquema triplice com moduladores de CFTR, há mais de 2 anos, todos tiveram diminuição drástica de exacerbações pulmonares, recuperação do peso e diminuição de quadros de depressão e ansiedade no paciente e em familiares., Negativo e dificuldades: De negativo, apenas a idade de 6 anos ser um fator limitante para inicio da terapia	3ª - Sim, Qual: Tratamentos para diminuir os danos, ou seja, sintomáticos como, Inaloterapia com mucolítico (a dornase alfa), antibiotico inalatorio, repozição enzimática, Positivo: Contribuiram para diminuir a progressão da doença, em diferentes graus entre os pacientes., Negativo: Não permite o controle da doença	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conheço essa família há algum tempo e acompanho de perto a rotina da irmã mais nova, que tem apenas cinco anos e convive com a fibrose cística. Mesmo sendo tão pequena, ela enfrenta desafios diários que nenhuma criança deveria enfrentar. Enquanto outras crianças brincam, frequentam a escola e participam de festas, ela precisa seguir uma rotina intensa de tratamentos e cuidados para preservar sua saúde., , Também vejo o quanto essa realidade impacta toda a família. A mãe dedica grande parte do seu tempo aos cuidados da filha, conciliando consultas, fisioterapia e medicamentos, além de enfrentar os altos custos do tratamento. É uma rotina difícil, mas marcada por muito amor e dedicação., , A chegada desse novo medicamento representa uma esperança para todos que acompanham essa história. A possibilidade de ela ter mais qualidade de vida, menos limitações e uma infância mais próxima do normal é emocionante. Torço para que esse tratamento possa transformar a vida dessa menina e proporcionar à família dias mais leves e cheios de esperança.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de paciente com FC, que é elegível ao ETI (Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), por possuir dois alelos F508Del. Meu filho teve excelente aceitação a medicação, e principalmente resultados, como melhora no escarro, menos infecções, melhora no peso, agora faz menos fisioterapia, usa menos medicamentos, tem mais tempo para estudar, praticar atividades físicas, melhor produtividade e qualidade de vida, consequente melhora no psicológico. Os pais também tiveram mais tempo para trabalhar e serem mais produtivos, e melhora na harmonia da família e no psicológico. Participo da Associação de Fibrose Cística do RS (AMUCORS) e acompanho os relatos de outros pacientes e famílias que descobriram que os seus filhos, apesar de não serem F508Del, tinham mutações de classes que eram elegíveis ao ETI, que viram resultados impressionantes, saindo de fila de transplante e melhorando a qualidade de vida. No entanto é um esforço sem medida conseguir a medicação, que depende de doações de outros pacientes ou de ação judicial. POr conta disso, e do real benefício do medicamento, que tem ação comprovada para as demais mutações não-F508Del, assim como os que já recebem, minha é opinião é de que o medicamento deve sim ser submetido ao fornecimento pelo SUS. Eles também tem o direito de viver.	2ª - Sim, Qual: ETI - meu filho de 11 anos F508del utiliza., Positivo e facilidades: Todos. nenhum negativo. Melhora na secreção, em tudo, exame de eletrólitos no suor, que é diagnóstico de FC normal. Isso significa que enquanto se usa a medicação, e com regularidade, é como se não tivesse FC. Pacientes não-F508Del também precisam ter o direito de receber essa medicação, se elegíveis., Negativo e dificuldades: Nenhum. Apenas o problema de não conseguir ir comprar diretamente na famácia da esquina.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A melhora depois do uso do trikafta e muito significativa	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Melhoras na função pulmonar, do fígado, menos atrofiamento muscular com diminuição de perda de sal no suor e melhora na auto estima., Negativo e dificuldades: Nada	3ª - Sim, Qual: Inalação, fisioterapia pulmonar, antibióticos., Positivo: Agregava pouco em relação a nova tecnologia., Negativo: As outras pouca eficiência, porém era o que tinha na época ajudou postergar mas doença continuava progredindo, nova tecnologia bem mais eficiente, porém custo exorbitante e acesso ainda ainda requer empenhos grandes.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivendo hoje com um familiar portador de fibrose. Deve se ter todas as medicações no sus sim. Ainda mais com a quantidade de impostos que pagamos.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A melhora resposta que esses pacientes tiverem, nenhum outro farmaco foi tão eficaz	2ª - Sim, Qual: Como esse em questão , Positivo e facilidades: As melhores, menos pneumonia, menos internação, ganho de peso. Nova vida, Negativo e dificuldades: Nenhum da nossa	3ª - Sim, Qual: Orkambi , Positivo: Boas., Negativo: Duas composição modulador e condutor, menos eficaz	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu tenho 8 anos, minhas duas mutações são raras de tipo 1. Sou capoeirista e depois de uma internação no final do ano, comecei a me sentir muito cansado, sem conseguir nem gingar na Capoeira. Depois que tomei o TRIKAFTA não me sinto mais cansado e me sinto muito feliz em poder voltar a fazer o que amo porque voltei a ficar feliz. De 0 a 10 eu me sinto 10. Desde que comecei a usar este remédio, não precisei ir na emergência e agora até aula de futebol eu tô fazendo, até me chamaram de Pelé!, A CONITEC tem que dar o TRIKAFTA para TODAS as crianças com Fibrose Cística. Todas precisam testar porque pode funcionar, como funcionou pra mim. , O ECA nos garante o direito a saúde, lazer.... então o uso do TRIKAFTA nos ajuda garantir este nosso direito.,	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA, Positivo e facilidades: Me sinto disposto e voltei a fazer atividade física. Acabou meu cansaço., Negativo e dificuldades: Nada.	3ª - Sim, Qual: Alfadornase, tobramicina, Colistim, antibióticos orais (Ciprofloxacino, Moxifloxacino, Azitromicina, Bactrim...), Amicacina, Meropenem, Linezolida, salina hipertônica, Vitamina DEKAS, Pancreatina CREON 25.000, Pantoprazol, Munvilax e sabultamol , , Acesso profundo e PIC em hospitalização. , Positivo: Minimizam as exacerbacoes pulmonares, ajudam para a manutenção do meu peso e diminuem as crises de tosse., Negativo: Não melhoraram o meu cansaço.	4ª - Não	5ª - Acabei de iniciar o tratamento/maio 2026.
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho familiar com fibrose cística que necessita urgente da medicação, pois ainda não temos condições pelo sistema de saúde um atendimento digno a todos com a doença existente, sendo que a mesma tem custo muito alto para tentarmos por via particulares sendo que o tratamento e longo,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O uso do trikafta poderá melhorar a qualidade de vida do meu filho.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que a incorporação dessa tecnologia ao SUS é importante para ampliar o acesso ao diagnóstico e ao tratamento de pessoas que dependem desse recurso.	2ª - Sim, Qual: Medicamentos como o trikafta que trouxe uma melhor qualidade de vida aos pacientes. , Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida. Menos intercorrências e internações. , Negativo e dificuldades: Não vi pontos negativos, uma medicação que só traz benefícios a saúde tanto dos pacientes quanto das famílias.	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Já temos conhecimento de literatura médica que pacientes não F508del com classes de mutação II ou mais, têm utilizado com segurança e ótima resposta clínica ao uso da tecnologia proposta nos mesmos níveis do observado para pacientes com F508del., Temos a oportunidade de acompanhar paciente que usa o medicamento por medida judicial que vem demonstrando resposta clínica e segurança no mesmo nível do observado para os pacientes F508del.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Melhora dos sintomas, melhora significativa da função respiratória confirmada por espirometria e exames de imagem, ganho nutricional, normalizando escores de IMC, melhora na qualidade de vida, menor morbidade com redução e até ausência de internações, diminuição no uso de outros medicamentos de alto custo (alfadornase e tratamentos antibacterianos como Tobramicina e Colistimetato de sódio inbalatórios), menor necessidade de fisioterapia respiratória, menor absenteísmo escolar e laboral., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo em nossa experiência, sabendo do potencial hepatotóxico, nenhum paciente teve efeitos colaterais persistentes, inclusive normalizando as enzimas hepáticas alteradas anteriormente ao uso.	3ª - Sim, Qual: Enzimas pancreáticas, Tobramicina e Colistimetato inalatórios, alfadornase, suplementos nutricionais., Positivo: A tecnologia proposta difere das anteriores por oferecer tratamento na base da doença, corrigindo o defeito celular e oferecendo a melhora funcional celular e, por consequência, melhora da função respiratória e digestória sendo que, as tecnologias anteriores, apenas reduzem os sintomas., Negativo: Os tratamentos anteriores tem menor impacto na progressão da doença.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Mais pacientes precisam ter acesso a essa nova tecnologia.	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Mudou a vida de minha filha ! Ela usa o medicamento em questão a 2 anos. Ela antes não tinha expectativa de vida devido a condição de saúde debilitada, com o uso do remédio, essa realidade mudou, agora ela faz planos para o futuro, inclusive ela agora está realizando um grande sonho, pois ela agora é passista de escola de samba, antes do medicamento era um sonho importante de ser realizado, devido ao comprometimento pulmonar grave., Negativo e dificuldades: Como todo medicamento, tem efeitos colaterais, porém a eficácia é muito maior.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu filho melhorou muito na questão de gripes e resfriado depois do uso do medicamento	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Melhora significativa em geralne, Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Kalideko, Positivo: Ajudou bastante tbm no tratamento em questão para não agravar muito os resfriado , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Este medicamento é extremamente importante para a sobrevivência dos pacientes com fibrose cística, é um medicamento revolucionário onde só escutamos e vemos ótimos resultados nos pacientes, é outra vida sem tosse sem secreção absurda.	2ª - Sim, Qual: Trikfita , Positivo e facilidades: Percebi só benefícios na vida do meu filho, respira bem melhor, ganhou peso, tem mais disposição para brincar, mais energia para gastar, foi tirada outras medicações que usava ou seja esse medicamento, é revolucionário um verdadeiro milagre., Negativo e dificuldades: Não houve só nos primeiros dois meses de uso, que notei ele um pouco mais agitado, mais depois ele voltou ao normal.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha irmã tem apenas cinco anos e convive com a fibrose cística, uma doença que exige cuidados constantes e muda completamente a rotina da nossa família. Enquanto outras crianças podem brincar, frequentar a escola todos os dias e participar de festas em família, ela precisa evitar muitas dessas atividades por causa dos riscos que a doença traz., , Minha mãe dedica praticamente todo o seu tempo aos cuidados dela, acompanhando consultas, fisioterapia e a administração de medicamentos. Com isso, acaba não conseguindo dar a mesma atenção para mim e para minha outra irmã. Além disso, os custos com o tratamento são muito altos e representam um grande desafio para nossa família., , A chegada desse novo medicamento representa uma esperança enorme. Ele pode proporcionar mais qualidade de vida, reduzir as limitações da doença e permitir que minha irmã tenha uma infância mais próxima do normal. Para nós, esse remédio significa muito mais do que um tratamento: é a oportunidade de oferecer a ela um futuro com mais saúde, liberdade e felicidade.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, ACREDITO QUE COM A INCORPORAÇÃO E ACESSO A ESSA TECNOLOGIAS TRARA UMA MELHORA A VIDA DOS PACIENTES	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ALFADORNASE, Positivo: MELHORIA NO TRATAMENTO DO PACIENTE, Negativo: NENHUM	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento é extremamente importante para que as pessoas portadores da doença tenham uma vida de fato digna e ativa.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acredito que o TRIKAFTA deve ser incorporado ao SUS porque, para nós, ele representa vida. Existe uma diferença imensa entre o antes e o depois do tratamento. , Meu marido tem a mutação rara G85E. Antes do TRIKAFTA, vivia em um ciclo constante de consultas, exames frequentes e internações recorrentes, muitas vezes com permanência mínima de 10 dias para tratamento intravenoso com antibióticos. Havia inclusive a possibilidade de transplante pulmonar. Tudo isso impactava profundamente sua vida profissional, nossa rotina familiar e principalmente sua qualidade de vida., Ele tinha tosse intensa e secreção constante. Atividades simples, como tomar banho, exigiam um esforço enorme. Após iniciar o tratamento, a mudança aconteceu em poucos dias: a tosse desapareceu, a secreção deixou de existir e ele voltou a realizar atividades que antes pareciam impossíveis., Além dos sintomas físicos, havia um sofrimento emocional importante. As crises de tosse desencadeavam crises severas de ansiedade, levando inclusive ao uso de escitalopram e a três atendimentos de emergência. Com o controle dos sintomas respiratórios, as crises de ansiedade também deixaram de acontecer., Ele apresentava colonização persistente por Pseudomonas aeruginosa resistente e utilizava antibióticos continuamente. Depois do TRIKAFTA, deixou de precisar desses tratamentos. Sua rotina de fisioterapia respiratória e inalações reduziu drasticamente. No teste do suor, o cloro passou de 123 mEq/l em 2012 para 73 mEq/l em 2025., Antes, as consultas eram mensais e as crises constantes. Hoje, o acompanhamento ocorre a cada seis meses. Desde o início do uso do TRIKAFTA, ele não internou mais, não teve novas crises e a possibilidade de transplante foi descartada., O TRIKAFTA pode não ser uma cura definitiva, mas oferece algo que antes não existia: estabilidade, dignidade e perspectiva de futuro. Nós nos casamos no ano passado — algo que antes parecia incerto. Hoje temos planos, esperança e qualidade de vida.	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:
Organização da Sociedade Civil **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considerada uma doença fatal na infância por ocasião de suas descrições iniciais, a fibrose cística teve avanços na sobrevida com o emprego de uma alta carga de tratamento para mitigar suas consequências. No entanto, esse tratamento “reativo” não é suficiente para impedir a piora da doença pulmonar na maioria dos casos, e a realidade é uma expectativa de vida reduzida dos indivíduos, a despeito da alta carga terapêutica. , Felizmente, o surgimento de tratamento direcionado para o defeito básico da proteína tem transformado esse cenário em todo o mundo. Esse tratamento é baseado em pequenas moléculas que, de forma combinada, interagem com a proteína durante sua síntese, permitindo sua expressão na superfície da célula (corretores) e ativam o funcionamento dessa proteína no transporte de cloreto e bicarbonato (potencializadores). Composto de dois corretores (Elexacaftor e Tezacaftor) e um potencializador (Ivacaftor), o medicamento ETI tem efeitos totalmente disruptivos no tratamento da fibrose cística. , Os efeitos incluem queda dos valores de dosagem do cloreto no suor, melhora nutricional, redução do acúmulo de secreções nos pulmões e redução de exacerbações infecciosas, ganho de peso, melhora dos valores de testes de função pulmonar e de qualidade de vida, melhora em desfechos de sinusite crônica e nas alterações de tomografias, entre outros. , Os estudos iniciais com ETI foram em indivíduos com a variante genética F508del, a mais comum em todo o mundo. No entanto, diversos estudos in vitro (células FRT), ex vivo (células de epitélio nasal ou retal) e de vida real (ensaios clínicos não randomizados) indicaram sua eficácia para variantes genéticas distintas, chamadas ‘não-F’, e a bula do medicamento foi aprovada na Anvisa para centenas de outras variantes genéticas. A magnitude dos efeitos clínicos foi muito semelhante em termos de sintomas, função pulmonar e qualidade de vida, mas algumas variantes mostraram respostas diferentes no teste do suor, como a N1303K.	2ª - Sim, Qual: Medicamento Elexacaftor, Tezacaftor, Ivacaftor (Trikafta), Positivo e facilidades: Tivemos casos de pacientes que tiveram acesso ao medicamento por doação ou via judicial. Os efeitos clínicos e laboratoriais foram muito semelhantes aos observados entre indivíduos com a variante F508del., Os efeitos foram particularmente transformadores nos indivíduos com doença moderada e grave, e diversos pacientes que estavam com prognostico reservado e em fila de transplante pulmonar puderam manter-se vivos e deixaram a perspectiva de transplante pulmonar para o momento. , , Esses dados reforçam a importância de expandir o acesso a esse medicamento para todos os indivíduos com variantes elegíveis, e inclusive avaliar individualmente a resposta naqueles portadores de pelo menos uma variante diferente de classe I (as variantes de classe I em sua enorme maioria não respondem ao ETI)., , Negativo e dificuldades: Os efeitos colaterais são infrequentes e de pouca relevancia na enorme maioria dos casos.	3ª - Sim, Qual: Trabalhando com fibrose cística há mais de 30 anos, tive experiência com todas as principais terapias disponíveis no SUS para o tratamento da fibrose cística, incluindo reposição de enzimas pancreáticas, suporte nutricional, fisioterapia respiratória, mucolíticos e antibióticos. , Positivo: São medicamentos importantes e tratam as consequencias da doemnça, mas não conseguem mudar a progressão da doença de forma consistente. Em nossa prática clínica, nenhuma outra tecnologia apresentou impacto comparável ao elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI). A redução das internações e das exacerbações pulmonares, associada à melhora da função pulmonar, do estado nutricional, da qualidade de vida e à diminuição da carga diária de tratamento, modificou de forma significativa a evolução clínica dos indivíduos que anteriormente apresentavam hospitalizações frequentes e hoje conseguem levar uma rotina muito mais próxima da normalidade., Negativo: Agregam uma alta carga de tratamento diario, impactando na qualidade de vida e no trabalho de pacientes e familiares.	4ª - No Relatório Anual do Registro Brasileiro de Fibrose Cística de 2023 já existiam 9 indivíduos sem a variante F508del em uso do medicamento, e esse numero de 2024 já é de 43 indivíduos. Ainda que não tenhamos realizado nenhuma analise especifica sobre a resposta desses indivíduos ao tratamento, há dados oriundos dos estudos clínicos de Burgel et al (Eur Respir J 2024 e Lancet Respir Med 2024), e Castellani et al (Am J Respir Crit Care Med 2026) que foram levados em consideração nas analises da Conitec. Importante frisar que ha também uma publicação brasileira com dados de uma série de 34 casos de indivíduos com variantes não-F, demonstrando efeitos muito semelhantes e transformadores para os pacientes (Canan et al, Respir Res Clin Pract 2026). Uma nota técnica redigida pelos profissionais do GBEFC sobre a importância do acesso das pessoas com variantes genéticas raras ao medicamento ETI foi publicada no inicio desse ano no site da Instituição, de acesso livre (https://www.gbefc.org.br/ckfinder/userfiles/files/ETI%20em%20nonF%20manifestacao%20GBEFC_port.pdf)., Dados do Relatório Anual de 2024, que será disponibilizado ate o final do mês de julho, mostram efeitos inequívocos em desfechos críticos na população como um todo (não especificamente apenas aqueles em uso de moduladores), como transplantes pulmonares	5ª - O GBEFC está a par do elevado impacto orçamentário que o tratamento desses indivíduos representa, mas acredita que é momento de um debate técnico com o fabricante (Vertex Farmacêutica), visando melhorar o desconto oferecido para um valor viável para o sistema de saúde pública. , , Dados atuais do Registro Brasileiro de Fibrose Cística apontam que há cerca de 383 indivíduos com idade de 6 anos ou mais, sem a variante F508del e com pelo menos uma das variantes genéticas descritas na bula aprovada do medicamento Trikafta, ., O impacto econômico potencial com a suspensão / redução de tratamentos habituais e de custo elevado, como dornase alfa, antibióticos inalados e mesmo enzimas pancreáticas (maior chance de recuperação da função pancreática nessa faixa etária) é um ponto importante a levar em conta, bem como o impacto derivado da redução de admissões hospitalares e necessidade de transplante pulmonar mais adiante na vida., , Por fim, os pacientes e as famílias de crianças e adolescentes acometidos que tenham acesso a esse tratamento podem ter sua rotina diária normalizada com a redução da necessidade

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:
				(redução de cerca de 50% desde 2022) e óbitos (redução de 50%, com 22 ocorrências em 2023 contra 49 em 2023 e 55 em 2022). Em termos de função pulmonar, a análise de toda a população revela um ganho de 4% no VEF1, um efeito de magnitude jamais documentado na série histórica., Estudos controlados por placebo, prolongados e com grande número de participantes tornam-se progressivamente inviáveis, diante do benefício já demonstrado dos moduladores e da raridade de casos com variantes não-F. Essa realidade levou agências regulatórias como FDA, EMA e Anvisa a reconhecerem modelos alternativos de análise de eficácia e segurança.	de tratamentos diários, permitindo uma vida produtiva de estudo e trabalho, além de permitir que seus pais e familiares possam trabalhar e ter uma vida produtiva.,

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, 12. Sou mãe de uma menina de 3 anos e 11 meses, ela faz uso do Trikafta via judicial. A mutação dela é a F508del e conhecendo a gravidade da doença, o Trikafta precisa ser aprovado para todos os pacientes elegíveis na bula. O Trikafta altera o curso natural da doença, proporcionando uma rotina muito mais livre e estendendo significativamente a expectativa e a qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: 14. Apesar que a minha experiência é com uma criança de 3 anos e 11 meses com a mutação F508del por via judicial, eu também acompanho as melhoras significativas dos pacientes com mutação rara elegíveis da bula., Positivo e facilidades: 15. Através da minha experiência sendo mãe de uma criança de 3 anos e 11 meses F508del, eu também vejo muitos aspectos positivos nesses pacientes com variantes raras que fazem uso do Trikafta. Melhorando a função pulmonar, melhora nutricional, reduz o cloreto no suor e a qualidade de vida geral. E eu concordo com a ampliação do Trikafta no SUS para pacientes com variantes genéticas raras elegíveis, porque sofrem com a mesma gravidade de sintomas e progressão da doença que aqueles com a mutação F508del. Negar o medicamento baseado apenas no tipo de mutação cria uma exclusão injusta para uma parcela de pacientes que não tem outra alternativa terapêutica eficaz. Estudos científicos mostram que o medicamento funciona perfeitamente para mais de 270 outras mutações raras e muitas famílias desses pacientes precisam recorrer à Justiça para que o Estado forneça o Trikafta, um processo desgastante para o paciente e financeiramente ineficiente para o governo. A incorporação formal no SUS permite que o Ministério da Saúde negocie o medicamento em larga escala diretamente com a farmacêutica, reduzindo custos por unidade e garantindo um monitoramento clínico centralizado e seguro. a falta de equidade gera um cenário doloroso: dois pacientes com o mesmo pulmão comprometido, a mesma tosse crônica e o mesmo risco de vida recebem tratamentos totalmente diferentes apenas por causa de uma linha em seus exames de DNA. A fibrose cística se manifesta de forma avassaladora e o pulmão não quer saber o nome da mutação: o muco acumula, as infecções destroem o tecido respiratório e a desnutrição avança da mesma forma., Negativo e dificuldades: 16. Com a minha experiência sendo mãe de uma criança de 3 anos e 11 meses F508del que faz uso do Trikafta via judicial, eu não percebi aspectos negativos, pelo contrário trouxe somente benefícios. O único aspecto negativo é a desigualdade e o sofrimento desses pacientes que precisam desse medicamento tão importante para a qualidade de vida deles.	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Na condição de profissional de saúde atuante na assistência a pacientes com Fibrose Cística, fisioterapeuta respiratório, manifesto minha discordância em relação à recomendação preliminar desfavorável à ampliação da incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pacientes com idade igual ou superior a 6 anos portadores de variantes raras responsivas a terapia tripla moduladora. Para crianças e adolescentes com Fibrose Cística, cada mês sem acesso ao tratamento significa perda irreversível de função pulmonar, agravamento nutricional, hospitalizações frequentes e uma redução progressiva da expectativa e da qualidade de vida. , Fundamento essa manifestação nos seguintes aspectos: Evidências científicas consistentes demonstram benefício clínico para variantes raras responsivas: As agências regulatórias internacionais, incluindo FDA e EMA, reconheceram que o Trikafta promove restauração significativa da função da proteína CFTR em mais de 170 variantes raras responsivas, com aumento superior a 10% da atividade de transporte de cloreto em estudos funcionais. Essas evidências demonstram que o mecanismo de ação do medicamento é igualmente eficaz nessas mutações, produzindo benefícios comparáveis aos observados em pacientes com a mutação F508del, como melhora da função pulmonar, redução das exacerbações respiratórias, melhora do estado nutricional e desaceleração da progressão da doença. , Também é importante salientar que o princípio da equidade exige que pacientes com mutações raras tenham acesso às mesmas oportunidades terapêuticas: O SUS foi construído sobre os pilares da universalidade, integralidade e equidade. Atualmente, pacientes elegíveis com a mutação F508del já recebem o Trikafta pelo SUS. Entretanto, negar o mesmo tratamento aos portadores de variantes raras responsivas, unicamente por representarem um grupo numericamente menor, cria uma desigualdade incompatível com os princípios constitucionais que norteiam a saúde pública brasileira.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, o trikafta salvou a vida da minha filha, ela nasceu com ileo meconial, operou no segundo dia de vida, ao longo da vida foram 6 cirurgias para reestabelecer o transito intestinal, os médicos já nao sabiam mais o que fazer, diziam que o muco dela era tão grosso que parecia um asfalto grudado na parede do intestino. Antes da ultima cirurgia recebemos uma doação de algumas cartelas do medicamento e a sua vida foi transformada, não teve mais ruido no pulmao, o muco do intestino normalizou, o pancreas que não funcionava se regenerou, conforme os exames anexados, ela parou de perder cloro no suor, nao desidratou mais, em resumo, conseguiu ser uma criança normal, graças ao trikafta conseguimos fazer a ultima cirurgia e o primeiro cocô da vida veio! Outra coisa que mudou com o trikafta foi a inflamação no corpo dela, o exame de PCR sempre vinha mais que 10, sem motivo algum.. durante as cirurgias ela entrava em inflamação altissima, sendo necessarios diversos antibioticos. A fibrose cistica não impacta somente os pulmões, são todos os orgaos impactados, pudemos ver a doença quase levando nossa filha embora. Você que está lendo isso, por favor, veja que este medicamento está salvando a vida dessas crianças, salvou a vida da minha filha, salvou a minha saude mental, está dando a oportunidade de vivermos longe do hospital. Desde o nascimento foram longas internações, o custo de manter tudo era muito alto, os curativos, as fisioterapias que também tinhamos que fazer mais do que permitia, diariamente, as 3 inalaçoes por dia. Eu não conseguia trabalhar, com o trikafta consigo, sem ter que correr em casa várias vezes ao dia para ver o que estava acontecendo entre prolapsos intestinais, exacerbações e tantas outras complicações que viviamos. hoje minha filha vive de doaçao de comprimidos que sobram de pacientes adultos, um mundo incerto, vivendo sem saber se amanhã teremos o trikafta para tomar, quando nao toma, os sintomas voltam, mostrando o quanto é necessario. Nos ajude!	2ª - Sim, Qual: trikafta, Positivo e facilidades: o trikafta salvou a vida da minha filha, ela nasceu com ileo meconial, operou no segundo dia de vida, ao longo da vida foram 6 cirurgias para reestabelecer o transito intestinal, os médicos já nao sabiam mais o que fazer, diziam que o muco dela era tão grosso que parecia um asfalto grudado na parede do intestino. Antes da ultima cirurgia recebemos uma doação de algumas cartelas do medicamento e a sua vida foi transformada, não teve mais ruido no pulmao, o muco do intestino normalizou, o pancreas que não funcionava se regenerou, conforme os exames anexados, ela parou de perder cloro no suor, nao desidratou mais, em resumo, conseguiu ser uma criança normal, graças ao trikafta conseguimos fazer a ultima cirurgia e o primeiro cocô da vida veio! Outra coisa que mudou com o trikafta foi a inflamação no corpo dela, o exame de PCR sempre vinha mais que 10, sem motivo algum.. durante as cirurgias ela entrava em inflamação altissima, sendo necessarios diversos antibioticos. A fibrose cistica não impacta somente os pulmões, são todos os orgaos impactados, pudemos ver a doença quase levando nossa filha embora. Você que está lendo isso, por favor, veja que este medicamento está salvando a vida dessas crianças, salvou a vida da minha filha, salvou a minha saude mental, está dando a oportunidade de vivermos longe do hospital. Desde o nascimento foram longas internações, o custo de manter tudo era muito alto, os curativos, as fisioterapias que também tinhamos que fazer mais do que permitia, diariamente, as 3 inalaçoes por dia. Eu não conseguia trabalhar, com o trikafta consigo, sem ter que correr em casa várias vezes ao dia para ver o que estava acontecendo entre prolapsos intestinais, exacerbações e tantas outras complicações que viviamos. hoje minha filha vive de doaçao de comprimidos que sobram de pacientes adultos, um mundo incerto, vivendo sem saber se amanhã teremos o trikafta para tomar, quando nao toma, os sintomas voltam, mostrando o quanto é necessario. Nos ajude!, Negativo e dificuldades: nao houve nenhum ponto negativo	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Facilitar o acesso aos medicamentos, produtos e procedimentos que atualmente são caros demais...	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou portadora da mutação rara e faço uso do medicamento judicialmente, estive em coma por progressão da doença e graças ao uso do medicamento sai do coma e melhorei significativamente. Incorporar a medicação no sus ajudaria muito todos com a mutação rara que não conseguiu comprovar o uso judicialmente.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Todos os medicamentos indicados para o tratamento para Fibrose Cística: inalatorio: pulmozyme, salina hipertonica, tobramicina, colistimetato de sodio, broncodilatadores. via oral: azitromicina, creon, vitaminas, suplementos alimentares, omeprazol. Corticoide nasal... Entre outras medicações indicados para internação, Positivo: Melhora significativa em infecções pulmonares, internações, uso de antibioticos via oral, em ganho de peso, apetite, disposição, tosse, secreção, dores, frio, etc..., Negativo: nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Trikafta no SUS representa mais do que um medicamento: representa a oportunidade de uma vida mais longa, com mais saúde, dignidade e esperança para pessoas com fibrose cística e suas famílias.”	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, o trikafta salvou a vida da minha filha, ela nasceu com ileo meconial, operou no segundo dia de vida, ao longo da vida foram 6 cirurgias para reestabelecer o transito intestinal, os médicos já nao sabiam mais o que fazer, diziam que o muco dela era tão grosso que parecia um asfalto grudado na parede do intestino. Antes da ultima cirurgia recebemos uma doação de algumas cartelas do medicamento e a sua vida foi transformada, não teve mais ruido no pulmao, o muco do intestino normalizou, o pancreas que não funcionava se regenerou, conforme os exames anexados, ela parou de perder cloro no suor, nao desidratou mais, em resumo, conseguiu ser uma criança normal, graças ao trikafta conseguimos fazer a ultima cirurgia e o primeiro cocô da vida veio! Outra coisa que mudou com o trikafta foi a inflamação no corpo dela, o exame de PCR sempre vinha mais que 10, sem motivo algum.. durante as cirurgias ela entrava em inflamação altissima, sendo necessarios diversos antibioticos. A fibrose cistica não impacta somente os pulmões, são todos os orgaos impactados, pudemos ver a doença quase levando nossa filha embora. Você que está lendo isso, por favor, veja que este medicamento está salvando a vida dessas crianças, salvou a vida da minha filha, salvou a minha saude mental, está dando a oportunidade de vivermos longe do hospital. Desde o nascimento foram longas internações, o custo de manter tudo era muito alto, os curativos, as fisioterapias que também tinhamos que fazer mais do que permitia, diariamente, as 3 inalaçoes por dia. Eu não conseguia trabalhar, com o trikafta consigo, sem ter que correr em casa várias vezes ao dia para ver o que estava acontecendo entre prolapsos intestinais, exacerbações e tantas outras complicações que viviamos. hoje minha filha vive de doaçao de comprimidos que sobram de pacientes adultos, um mundo incerto, vivendo sem saber se amanhã teremos o trikafta para tomar, quando nao toma, os sintomas voltam, mostrando o quanto é necessario. Nos ajude!	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA, Positivo e facilidades: , Melhora do trânsito intestinal, maior hidratação do muco do corpo, tanto intestinal quanto pulmonar, melhor absorção de sódio e vitaminas, recuperação do pâncreas, com melhora da elastase fecal de 2,0 para 197, melhora do fôlego, melhora do ânimo, diminuição da inflamação do corpo. Em resumo, uma nova criança, uma nova vida., Negativo e dificuldades: Nenhum,	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de um adulto com fibrose Cística que passou a usar a medicação em 2022. Acompanhamos aqui em casa a vida mudar, de um tratamento que privava três horas do dia do nosso filho e de certa forma, nosso também, para um tratamento mais flexível onde cabem as outras coisas que a vida demanda como estudar, trabalhar, fazer atividade física, sair com os amigos alem de projetar um futuro além de manter os cuidados básicos de saúde. No caso do nosso filho o maior impacto foi ficar livre de colonizações por bactérias desafiadoras, de difícil manejo, que já comprometiam o prognóstico do seu tratamento. Mesmo tendo três diferentes bacterias (Staphyloccocus aureus, Burkholderia cepácea, Pseudomonas aeruginosa) Pedro desde que passou a fazer uso da medicaçao em questão, nunca mais apresentou nenhuma dessas colonizações, mantendo-se saudável desde então. Se ele pudesse ter tido acesso mais cedo ao tratamento com essa tecnologia provavelmente ele nunca teria sido colonizado, o que teria mantido seus pulmões intactos e impedido ele de sofrer desde cedo o impacto dessas infecções e suas sequelas. Esse é o maior potencial do tratamento com Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, ele é efetivo na interrupção de uma cascata de sintomas e efeitos, uma vez que ele conserta a proteína CFTR, permitindo um funcionamento adequado ás células. Assim, ele é um tratamento que quanto antes iniciado, mais benefícios ele oferece. permitindo que crianças possas frequentar de forma regular a escola, nao precisando interromper o fluxo normal de sua aprendizagem devido ás longas internações de correntes do tratmento com antibiótico intra-venoso para tentar combater essas bacterias, tratamento esse que vai se tornando cada vez menos efetivo ao longo do tempo e cada vez mais custoso para pacientes e familiares e para o próprio SUS, como longas internações e baixa eficácia. O acesso ainda na infância a essa nova tecnologia pode mudar a história das pessoas com FC e de seus familiares.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Como relato do anteriormente a partir da utilização da medicação nao aconteceram mais internações hospitalares, nem foi detectada nenhuma colonização. O tempo investido no tratamento pode ser reorganizado e reinvestido em outras áreas da vida que demandavam atenção como estudo e trabalho. A família toda pode também passar a viver melhor e a retomar projetos antes abandonados em função do cuidado intenso e da fragilidade do estado de saúde que demandavam muita atencao, tempo, dinheiro investidos., Negativo e dificuldades: incialmente uma certa alteração no sono mas que foi logo contornada.	3ª - Sim, Qual: solução salina, pulmozyme, enzimas pancreáticas, Azytromicina, Tobramicina, Colistimetato, Positivo: Foram importantes, para a manutenção da saúde , mas apenas combatiam os sintomas que logo retornavam. não atingindo o defeito base da doença e , dessa forma, não impedindo a progressão da mesma. E como sabemos o uso frequente do mesmo tratamento, dos mesmos antibióticos, desde a primeira infância, acarretava numa falta de opções de tratamento eficazes a medida que as crianças iam crescendo. Aspecto muito cruel dessa doença., Negativo: Essas tecnologias apenas abrandavam os sintomas momentaneamente, não atingindo o defeito base da doença e , dessa forma, não impedindo a sua progressão. E como sabemos o uso frequente do mesmo tratamento, dos mesmos antibióticos, desde a primeira infância, acarreta numa falta de opções de tratamento eficazes a medida que as crianças com. a mesma condição vão crescendo. Aspecto muito cruel dessa doença.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Trikafta representa uma verdadeira revolução na qualidade de vida e na sobrevivência de quem convive com a fibrose cística. Como pai, vejo que esse medicamento não deve ser encarado apenas como um remédio de alto custo, mas sim como a única oportunidade real de dar um futuro digno a jovens que enfrentam mutações raras. Limitar a incorporação no SUS a apenas uma mutação é punir pacientes que já sofrem com a raridade da doença. , A ampliação do acesso ao Trikafta para pacientes com mutações raras vai além do cumprimento do direito constitucional à saúde, trata-se de uma decisão economicamente inteligente para o SUS. O custo nominal do medicamento é compensado pela desoneração imediata do sistema de alta complexidade. Ao estabilizar a função pulmonar e reverter o quadro de desnutrição, o Trikafta reduz drasticamente a necessidade de internações prolongadas em UTIs, o uso de antibióticos de alto custo e, de forma definitiva, evita a indicação de transplantes pulmonares — procedimentos cirúrgicos e pós-operatórios com custos astronômicos para o Estado. Ademais, a incorporação centralizada pela CONITEC confere ao Ministério da Saúde previsibilidade pois evita compras judiciais de urgência e amplia o poder de negociar descontos expressivos por volume com o fabricante. , Estender esse tratamento é substituir o gasto paliativo e ineficaz de sequelas pela restauração da capacidade funcional do indivíduo. Isso garante um retorno socioeconômico real, permitindo que jovens estudem, trabalhem e que seus cuidadores retornem ao mercado de trabalho. Investir na causa raiz da doença é o caminho mais sustentável para a saúde pública. Incorporá-lo de forma ampla é cumprir o papel humano e constitucional do SUS., O SUS deve estender a incorporação para mutações raras responsivas conforme a bula da ANVISA. Limitar o acesso pune quem já sofre com a raridade da doença. Negar o remédio é negar o direito à vida.,	2ª - Sim, Qual: Trikafta (Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor) associada ao uso de Pulmozyme (Alfadornase)., Positivo e facilidades: Minha filha adolescente é portadora das mutações raras 2052delA e V232D. Basicamente a rotina dela era lidar com os tratamentos paliativos incluindo fisioterapia, nebulizações, consultas médicas, faltas à escola e uso recorrente de antibióticos para combater colonização por pseudomonas aeruginosas que provocam extenso dano no pulmão. No final de 2025 ela iniciou o tratamento com uso do Trikafta e a melhora foi imediata. Cessou o uso de antibióticos, normalizou os parâmetros de cloro/L, a tomografia do pulmão apresentou uma melhora significativa, houve aumento de fôlego, uma melhora visível na disposição para atividades do dia a dia e ela obteve ganho de peso de forma saudável. Como o Trikfata atua na raiz do problema eliminando as complicações primárias e secundárias isto proporciona uma qualidade de vida impensável antes do uso do medicamento. , Negativo e dificuldades: Até o momento nenhum que seja relevante.	3ª - Sim, Qual: Uso de Pulmozyme (Alfadornase), fisioterapia e acompanhamento médico., Positivo: São necessárias mas extremamente limitadas. Agem somente nas consequências. O Trikafta age diretamente na causa do problema freando a progressão da fibrose cística. Este é grande ponto positivo pois elimina o problema. Os outros tratamentos são paliativos e ficam cada vez mais complicados, complexos e caros conforme a doença avança., Negativo: Sem o Trikafta para corrigir as células, o paciente tratado apenas com Pulmozyme continua vulnerável a infecções bacterianas graves e internações frequentes. , O Pulmozyme é ineficaz contra os sintomas extra pulmonares não trazendo benefícios para os problemas digestivos, pancreáticos e nutricionais causados pela fibrose cística., Em contra partida, há uma excelente sinergia no uso combinado, pois o Pulmozyme limpa as vias aéreas de forma paliativa, enquanto o Trikafta impede que o muco se acumule de forma espessa. Juntos, eles quebram o ciclo de danos progressivos ao pulmão, gerando economia a longo prazo para o próprio SUS com gastos hospitalares ou cirúrgicos (transplantes). ,	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trata-se de um medicamento que salvou a minha vida e a de milhares de pessoas com fibrose cística, pessoas essas que tem direito a saúde publica.	2ª - Sim, Qual: Tive experiencia com o trikafta, Positivo e facilidades: Minha função pulmonar melhorou muito, assim como a minha saúde em geral, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Pulmozime, fisioterapia, solução salina, fisioterapia, Positivo: Melhora da condição fisica e pulmonar, Negativo: Nenhum	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse remédio salva vidas, minha neta Helena é um exemplo disso, ela é outra crianca, ganha peso, não pega mais infecções por bactérias e nem tem quadro grave de diarreia mais	2ª - Sim, Qual: Pessoa em uso do trikafta, Positivo e facilidades: Ganho de peso, diminuição de internações e infecções por bactérias , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu sou portadora da doença fibrose cistica temho 43 anos e estou viva graças a esse medicamento que mudou toda minha vida pra melhor , me possibilitando de fazer minhas coisas de ter de respirar de ter fôlego ora viver	2ª - Sim, Qual: Tricafta , Positivo e facilidades: Partir do momento que comecei a usar o medicamento tricafta tive uma melhora na minha função pulmonar , nas minhas crises de asma e o tosse que eu tinha nao temho mais ,melhorou muito o meu pulmão e swm exacerbação, hoje nao coloco mais sangue pela boca ,a minha vida melhorou muito , Negativo e dificuldades: Nenhum ponto negativo, so melhoria	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que essa medicação deve ser incorporada no sus, pois ele trouxe esperança para minha neta, que toma há 1 ano, ela é outra criança, tem vida normal e todos deveriam ter acesso a ele	2ª - Sim, Qual: Medicamento trikafta, Positivo e facilidades: Ganho de peso, diminuição de internações e infecções por bactérias , Negativo e dificuldades: Nenhum	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:
Organização da Sociedade Civil **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Casa Hunter manifesta-se favoravelmente à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pessoas com fibrose cística com idade igual ou superior a seis anos e pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR responsiva ao medicamento., , A fibrose cística é uma doença genética rara, progressiva e multissistêmica, associada a elevada morbidade, perda progressiva da função pulmonar, exacerbações respiratórias recorrentes, hospitalizações e redução da expectativa de vida. Os pacientes contemplados nesta consulta representam um grupo que permaneceu, em grande medida, à margem das incorporações anteriores de moduladores de CFTR no SUS, apesar de conviver com uma condição grave e potencialmente modificável por terapias direcionadas ao defeito molecular da doença., , As evidências avaliadas indicam benefícios clínicos relevantes, como melhora da função pulmonar, redução do cloreto no suor, melhora da qualidade de vida, redução de exacerbações pulmonares e perfil de segurança aceitável. Ainda que existam limitações metodológicas decorrentes do pequeno número de pacientes e da heterogeneidade genética, tais limitações são inerentes às doenças raras e não devem ser interpretadas como ausência de benefício clínico., , A raridade de uma variante genética não deve ser barreira para o acesso a terapias modificadoras da doença quando há evidências de benefício, reconhecimento científico e necessidade clínica não atendida. Assim, a incorporação representa medida de equidade, integralidade e justiça no SUS, ampliando o acesso a uma população historicamente pouco contemplada pelas políticas públicas de tratamento da fibrose cística.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma pessoa com essa doença e foi nítida a sua melhora com o uso desta medicação. Cláudia ficava muito internada , inclusive no cti. Tinha muita febre e infecções. Após o uso do Trikafta nunca mais precisou ficar internada.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação dessa medicação ao SUS para crianças com fibrose cística que possuem variantes responsivas ao medicamento é de extrema importância. Esse tratamento representa uma oportunidade de melhorar significativamente a qualidade de vida dessas crianças, reduzindo complicações, internações e a progressão da doença., , Além de beneficiar diretamente os pacientes e suas famílias, a disponibilização desse medicamento pelo SUS também contribui para a saúde pública, pois favorece um melhor controle da doença e pode reduzir os custos relacionados a hospitalizações e tratamentos de complicações., , Por isso, acredito que essa medicação deve, sim, ser incorporada ao SUS, garantindo que todas as crianças e pacientes elegíveis tenham acesso a um tratamento que pode transformar suas vidas, proporcionando mais saúde, bem-estar e esperança para o futuro	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Salva vidas, contribui para uma qualidade de vida melhor, reduz custos de medicações e internações (sendo vantagem para o estado), dá oportunidade de pessoas com fibrose cística VIVEVREM! Nossos filhos não podem ficar sem essa medicação. Impedir o acesso a medicação é ser contra a vida. Impedir que pessoas com fibrose cística não tenham acesso a uma tecnologia revolucionária é ceifar a vida dos nossos filhos.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Descolonização de bactérias, menos internações e intercorrências, menos problemas gástricos e pulmonares. Melhor digestão, mais fôlego… , Negativo e dificuldades: Nenhum	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporado pois a proprio parecer da CONITEC fala que o medicamento é efetivo e o parecer desfavoravel foi por questões economicas. Espero que a Industria farmaceutica (VERTEX) reveja a questão do preço do medicamento, com a redução do mesmo e que os membros do CONITEC modifiquem o parecer para favoravel, mesmo que não ocorra um redução muito significativa, pois é um medicamento que prolonga a expectativa de vida, reduzindo a mortalidade precoce das pessoas com Fibrose Cística.	2ª - Sim, Qual: Trikafta (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), Positivo e facilidades: Acompanho crianças e adolescentes e tenho 23 pacientes de 6 anos ou mais de idade com a variante F508del, em uso do Trikafta, sendo que 3 deles antes de ser incorporado no SUS por ação judicial. . Em todos os pacientes houve redução ou desaparecimento dos sintomas como tosse, secreção, a maioria com ganho de peso importante com recuperação nutricional. em uma paciente, que foi a minha primeira paciente a usar o medicamento por ação judicial, fazia uso de oxigenio continuo , estava internada na UTI com exacerbação e após iniciar o medicamento não precisou mais do medicamento. Só um paciente não teve redução dos niveis do Teste do Suor, mas teve interrupção no uso do Trikafta. Por esta evolução tão efetiva com uso do medicamento interferindo na evolução natural da doença, que outros pacientes que não sejam F508del , mas são responsivas ao medicamento devem ser beneficiads com disponibilização pelo SUS. Atualmente tenho 6 pacientes de 6 anos ou mais que possui variante rara elegivel, sendo que uma delas tem quadro grave que pela evolução natural da doença, deve ter morte precoce e caso ja iniciasse o Trikafta não teria esta evolução. Apesar de ja com relatório para judicializar, por ser de condição econômica baixa ainda não conseguiu dar entrada, e não é justo que não tenha acesso a um medicamento tão efetivo., Tenho 1 paciente de 3 anos de idade que iniciou o uso por ação judicial em janeiro/26 quando estava internada em UTI com uma exacerbação grave e após inicio do Trikafta não teve mias nenhuma exacerbação, sendo que em 2025 teve 5 exacerbações, houve desaparecimento da tosse, que era um sintoma frequente , quase diario. Este paciente teve uma redução importante nos niveis do Teste do suor no 3º mes de uso , passando de 95mmol/L quando do diagnostico em 18/3/24 para 11mmol/L em 26/3/26., Medicamento que impacta na qualidade de vida de pessoas com Fibrose Cistica e que prolonga a expectativa de vida não deve ter o seu acesso negado por questões economicas, Negativo e dificuldades: Não vi pontos negativos. , , Alguns paciente com efeitos adversos leves. Sendo que um com efeito importante de elevação de transaminases, com suspensão da medicação , por um periodo, reintrodução com dose reduzida e posterior uso de dose plena , reduziu os niveis das transaminases e não teve mais eleveção.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que deve ser incorporada no SUS porque vai ajudar muitas pessoas que precisam desse tratamento e não tem condições de pagar , e também sou cuidadora de um familiar e acha muito importante que esse tratamento entre no SUS .Assim mais pessoas vão poder ter acesso e ter qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha esposa usa o Trikafta há cerca de dois anos. Antes dele, os outros tratamentos apenas controlavam os sintomas da fibrose cística. Com o Trikafta, vimos uma mudança que nunca tínhamos vivido antes, pela primeira vez, em mais de 35 anos, ela tem qualidade de vida., Ela recebeu o diagnóstico apenas aos 23 anos. Nesse período, teve de 3 a 4 pneumonias por ano, precisou retirar parte do pulmão (lobectomia), desenvolveu insuficiência pancreática com lipossubstituição, retirou a vesícula e chegou a ter indicação para entrar na fila de transplante pulmonar., Em poucos meses de tratamento com o Trikafta, o VEF1 aumentou mais de 20%. A tosse, que fazia parte da nossa rotina, desapareceu. Antes do uso do trikafta, ela tinha pelo menos duas pneumonias por ano. Em mais de 10 anos de casados, passamos por várias internações, muitas pulsoterapias com corticoides e inúmeros momentos de preocupação por causa das infecções respiratórias. Desde o início do Trikafta, ela não precisou mais ser internada e nem teve mais pneumonia., A carga da doença no nosso dia a dia diminuiu muito. Hoje ela tem mais disposição, consegue fazer exercícios físicos e viver com total autonomia. Nossa filha cresceu vendo uma mãe saudável. Ela nem sabe o que é conviver com uma mãe que tossia o dia inteiro, porque essa passou a ser apenas uma lembrança nossa., Como marido, posso dizer que o Trikafta não trouxe apenas melhora nos exames. Ele mudou a nossa rotina, reduziu a carga da nossa família e nos permitiu fazer planos para o futuro com mais tranquilidade e esperança.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: O principal benefício foi a melhora real da qualidade de vida. A tosse, que era constante, desapareceu, não houve mais pneumonias nem necessidade de internações. Houve melhora importante da função pulmonar (VEF1 superior a 20%), mais disposição para as atividades do dia a dia e para a prática de exercícios físicos. Além dos ganhos clínicos, a tecnologia reduziu significativamente a carga da doença para toda a família. Hoje conseguimos fazer planos sem que a fibrose cística esteja no centro de todas as decisões, e nossa filha cresce vendo uma mãe ativa e saudável., Negativo e dificuldades: Não percebi aspectos negativos.	3ª - Sim, Qual: Alfadornase, enzimas pancreáticas, azitromicina e vitaminas., Positivo: Comparado ao Trikafta essas tecnologias não tem aspectos positivos. , Negativo: Apenas ajudavam a controlar alguns sintomas, mas a doenças continuava avançando.	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:
Gestores do SUS **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O COSEMS-BA, representando os 417 municípios baianos, é favorável à incorporação do ETI para pacientes a partir de 6 anos com pelo menos uma variante não-F508del responsiva. Essa posição se fundamenta no Seminário Online sobre Fibrose Cística na Bahia (COSEMS-BA/INAFF, julho de 2026), que reuniu especialistas do HUPES, do HEOM, da APAE Salvador, gestores municipais e representante de pacientes. Trata-se de um grupo elegível ao tratamento conforme bula já aprovada pela ANVISA e também em outros países como EUA e Europa há aproximadamente 6 anos, mas ainda sem acesso pelo SUS. No HEOM, pacientes adultos com doença pulmonar grave ingressaram judicialmente e não obtiveram êxito – não por falta de evidência, mas por ausência de incorporação. Dois pacientes com acesso temporário (a partir de sobras de processo judicial de terceiros) mostraram resposta expressiva em apenas um mês, incluindo saída de oxigenoterapia., Chama atenção também que quase 30% dos pacientes do HUPES são inelegíveis pela incorporação vigente, proporção maior que em outros estados, e que esses pacientes são predominantemente não brancos – levantando a hipótese de um componente étnico-racial na exclusão, especialmente relevante para a Bahia. A incorporação estruturada é mais equânime, eficiente e menos custosa que a judicialização crescente.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI). Dois pacientes acompanhados em centro de referência da Bahia (HEOM) tiveram acesso temporário ao medicamento a partir de sobras de um processo judicial de outro paciente que obteve o fármaco pela incorporação vigente para a variante F508del., Positivo e facilidades: Em apenas um mês de uso, um dos pacientes saiu da dependência de oxigênio suplementar e não voltou a apresentar exacerbações respiratórias. Esse resultado de mundo real, observado na própria rede baiana, é consistente com a literatura internacional (Burgel et al., 2023, Castellani et al., 2026), que descreve resposta clínica relevante mesmo em variantes raras e não previamente aprovadas pelas agências reguladoras internacionais., Negativo e dificuldades: O principal problema identificado não foi relativo à segurança ou eficácia do medicamento, mas ao acesso: o uso foi possível apenas de forma temporária e por acaso (sobras de outro processo judicial), sem previsibilidade de continuidade. Outros pacientes com perfil semelhante ingressaram judicialmente e não conseguiram o medicamento, mesmo com relatórios médicos consubstanciados, evidenciando que a barreira é administrativa/regulatória, e não clínica. Essa descontinuidade e insegurança quanto à manutenção do tratamento geram risco de perda dos ganhos clínicos obtidos e insegurança para pacientes e famílias.	3ª - Sim, Qual: Terapias sintomáticas convencionais para fibrose cística: tobramicina inalatória, colistina, dornase alfa e oxigenoterapia domiciliar, além de antibioticoterapia endovenosa (ATBEV) em internações recorrentes., Positivo: São terapias estabelecidas, com protocolos consolidados no PCDT de Fibrose Cística e disponíveis na rede, oferecendo algum controle de sintomas respiratórios e redução de infecções em pacientes sem acesso a terapia moduladora, entretanto, não impedem a progressão e gravidade da doença. , Negativo: Tratam apenas os sintomas e complicações da doença, sem atuar no defeito funcional da proteína CFTR. Segundo relatado no seminário, a maioria dos pacientes que iniciou ETI conseguiu suspender parte dessas medicações (tobramicina, colistina, dornase alfa, oxigênio), o que indica sua natureza compensatória e não modificadora da doença. Exigem rotina diária extensa de nebulizações e fisioterapia, não impedem a progressão da doença pulmonar, e não evitam internações recorrentes, antibioticoterapia endovenosa prolongada nem, em casos graves, a evolução para fila de transplante.	4ª - Burgel PR et al. (Eur Respir J, 2023) avaliaram, no programa de uso compassivo francês, 84 pacientes com doença pulmonar avançada sem variante F508del, muitos em fila de transplante: 54% responderam ao ETI, incluindo variantes não aprovadas pelo FDA à época — a maior série de casos disponível na literatura até então (doi:10.1183/13993003.02437-2022)., Castellani C et al. (Am J Respir Crit Care Med, fev. 2026) combinaram análise in vitro de 620 variantes raras em células FRT, ensaio clínico fase 3 placebo-controlado (445-124, 18 variantes raras sem F508del) e estudo de mundo real (CFD-016, 82 variantes raras sem F508del): 84% das variantes responderam ao ETI in vitro, com validação clínica subsequente, subsidiando a ampliação da aprovação pelo FDA em 2026 (doi:10.1093/ajrccm/aamaf001)., Goralski JL et al. (J Cyst Fibros, 2026) apresentaram resultados de 96 semanas de extensão aberta de fase 3 em crianças ?2 anos, reforçando segurança e eficácia sustentadas., O FDA ampliou progressivamente a indicação para variantes não-F508del: 2020 (+177 variantes por dados in vitro), 2024 (+94 variantes) e 2026 (indicação abrangente para qualquer variante responsiva). A EMA realizou expansões equivalentes em 2021 e 2023. Assim, a incorporação em discussão no Brasil já está vigente internacionalmente há cerca de 6 anos, com corpo de evidência crescente e consistente., Dado de	5ª - Do ponto de vista da gestão municipal, o custo de não tratar pacientes com variantes não-F508del não pode ser analisado isoladamente do custo federal do medicamento. Esses pacientes acumulam, ao longo dos anos, internações frequentes, antibioticoterapia endovenosa prolongada, deslocamentos para centros de referência e, em casos extremos, fila de transplante — custos distribuídos entre estados e municípios., Impactos específicos identificados para os municípios baianos:, , – Tratamento Fora do Domicílio (TFD) sem repasse federal: deslocamentos a Salvador para internações e consultas são custeados integralmente pelos municípios, a redução de exacerbações com ETI alivia diretamente esse orçamento., , – Pacientes adultos em idade produtiva: a preservação da capacidade laboral impacta a base tributária municipal e reduz a demanda por benefícios assistenciais., , – Simplificação terapêutica: relatos do seminário indicam suspensão de tobramicina, colistina, dornase alfa e oxigênio domiciliar após início do ETI, reduzindo demanda por insumos na rede municipal., , – Redução da judicialização: a não incorporação tende a ampliar ações judiciais, com custos de litigância e aquisições emergenciais

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:
				mundo real da própria Bahia (HEOM) corrobora esses achados: resposta clínica expressiva, incluindo desmame de oxigenoterapia, em uso mesmo que temporário e parcial.	sobre municípios e estados., Custos indiretos não capturados por análises formais de custo-efetividade: perda de força de trabalho por internações recorrentes (incluindo relatos de demissão por faltas), impacto na produtividade de familiares cuidadores, e perda de capital humano quando pacientes não conseguem estudar, trabalhar ou constituir família. O seminário registrou transformações nesse sentido após início do ETI, não refletidas em tabelas tradicionais de custo-efetividade., Recomenda-se, adicionalmente, negociação de redução de preço considerando a ampliação da população elegível.
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha filha possui duas cópias da variante Delta F508 e faz uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor há mais de três anos. Para que ela tivesse acesso a esse tratamento, nossa família precisou se mudar para os Estados Unidos, pois, no Brasil, o medicamento ainda não estava disponível para a faixa etária dela., , Aqui, a bula contempla um número maior de variantes elegíveis, e é muito triste pensar que outras pessoas e crianças no Brasil poderiam se beneficiar desse medicamento revolucionário, mas não conseguem acesso por causa das restrições atuais da bula brasileira., , Na nossa experiência, o tratamento transformou a vida da minha filha. Acredito que ampliar o acesso ao medicamento para mais variantes e faixas etárias no Brasil pode mudar a história de muitos pacientes com fibrose cística, trazendo mais saúde, qualidade de vida e esperança para essas famílias.	2ª - Sim, Qual: Minha filha faz uso do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor há mais de três anos., Positivo e facilidades: O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor trouxe uma melhora muito significativa para a saúde da minha filha. Desde que ela iniciou o uso da medicação, não teve mais exacerbações pulmonares, infecções recorrentes ou necessidade de internações relacionadas à fibrose cística., , A função pulmonar dela se mantém excelente, e hoje ela consegue levar uma vida praticamente normal para uma criança da idade dela. Além disso, ela passou a ganhar peso de forma constante e atualmente está dentro da faixa nutricional adequada., , Na nossa experiência, o medicamento não apenas melhorou os sintomas, mas mudou completamente a evolução da doença, trazendo mais qualidade de vida, estabilidade clínica e esperança de um futuro com menos complicações., Negativo e dificuldades: Nenhum.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação desse tratamento é extremamente importante porque a fibrose cística é uma doença grave, progressiva e que afeta a vida de toda a família, não apenas da pessoa diagnosticada. Como mãe de uma criança com fibrose cística, acompanho diariamente os desafios, o medo das infecções, as internações, a rotina intensa de medicamentos, fisioterapia respiratória e consultas médicas., , Os moduladores da CFTR mudaram a história da fibrose cística em muitos países, proporcionando melhor função pulmonar, ganho de peso, redução das exacerbações, menos internações e mais qualidade e expectativa de vida. No Brasil, esse benefício precisa chegar a todos que podem ser tratados., , Também considero fundamental que o acesso não seja limitado apenas às pessoas com a mutação F508del. Existem centenas de outras mutações no gene CFTR, muitas delas também responsivas aos moduladores. Quem possui uma mutação diferente enfrenta os mesmos desafios da doença e merece a mesma oportunidade de receber um tratamento capaz de modificar sua evolução., , Nenhuma pessoa com fibrose cística deve ser deixada para trás por causa da sua mutação genética. A ciência evoluiu e hoje existem evidências de benefício para diversas mutações além da F508del. O SUS deve acompanhar essa evolução, garantindo um acesso mais amplo, justo e baseado nas melhores evidências disponíveis., , A ampliação do acesso representa menos hospitalizações, menos complicações, mais crianças crescendo com saúde, mais adultos vivendo com autonomia e uma melhor qualidade de vida para pacientes e familiares. Investir nesse tratamento é investir em vidas, dignidade e esperança para toda a comunidade da fibrose cística.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor, Positivo e facilidades: Os pontos positivos do uso desse medicamento são muito significativos. Os moduladores da CFTR atuam na causa da fibrose cística, e não apenas nos sintomas da doença. Isso representa uma mudança de paradigma no tratamento., , Entre os principais benefícios estão a melhora da função pulmonar, a redução das infecções respiratórias e das exacerbações, a diminuição das internações e do uso de antibióticos, além de uma melhora importante no estado nutricional e no ganho de peso. Muitos pacientes também apresentam mais disposição para realizar atividades do dia a dia, melhor qualidade do sono e maior capacidade para estudar, trabalhar e conviver socialmente., , Outro ponto extremamente positivo é a possibilidade de retardar a progressão da doença, preservando a função dos pulmões e de outros órgãos por mais tempo. Isso significa mais qualidade de vida, maior expectativa de vida e menos sofrimento para os pacientes e suas famílias., , Além dos benefícios clínicos, o medicamento também pode reduzir os custos relacionados às complicações da fibrose cística, como internações frequentes, tratamentos prolongados com antibióticos e necessidade de procedimentos mais complexos. Dessa forma, trata-se de um investimento que beneficia tanto os pacientes quanto o próprio sistema de saúde., , Por isso, considero fundamental que esse tratamento esteja disponível para todas as pessoas elegíveis, incluindo aquelas com mutações além da F508del, para que ninguém seja privado da oportunidade de viver com mais saúde, dignidade e esperança., Negativo e dificuldades: Na minha opinião, os aspectos negativos não estão relacionados ao medicamento em si, mas às dificuldades de acesso. Quando pessoas elegíveis não conseguem receber um tratamento que atua na causa da fibrose cística, a doença continua progredindo, levando a infecções recorrentes, perda da função pulmonar, piora do estado nutricional, mais internações, maior necessidade de antibióticos e redução da qualidade e da expectativa de vida., , Outro ponto negativo é restringir o acesso apenas a determinados grupos de mutações, deixando de fora pacientes com outras mutações que também podem se beneficiar do tratamento. Isso gera desigualdade no cuidado e faz com que muitas pessoas continuem enfrentando as consequências de uma doença progressiva, mesmo existindo uma terapia capaz de modificar sua evolução., , Por isso, considero que ampliar o acesso aos moduladores da CFTR é essencial para oferecer um tratamento mais justo, baseado nas evidências científicas e nas necessidades reais das pessoas que vivem com fibrose cística.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha filha faz pouco tempo que iniciou com o medicamento trikafta e já percebemos algumas melhoras, como menos secreção, diminuiu bastante as dores abdominais, tosse menos e sente mais disposição. , O medicamento é um direito de todos, e deve ser incorporado no SUS para todas as mutações. Não nos tiram o direito de ter uma qualidade de vida melhor.	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Melhoras dos sintomas, como dor abdominal, tosse e secreção. Apesar do pouco tempo de uso teve melhoras e isso nos dá uma esperança de uma qualidade de vida melhor., Negativo e dificuldades: Até o momento nenhum aspecto negativo.	3ª - Sim, Qual: Peg, Creon, pulmozayme, azitromicina, polivitaminicos etc , Positivo: Até o momento esses medicamentos só estão tratando os sintomas da doença., Negativo: Esses outros medicamentos não tratam diretamente na doença, não estabiliza a doença.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É fundamental que seja incorporada ao SUS devido a gravidade da doença.	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:
Organização da Sociedade Civil **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Associação Carioca de Assistência à Mucoviscidose (ACAM-RJ) manifesta-se favoravelmente à incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pessoas com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos e com pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR comprovadamente responsiva ao medicamento., A fibrose cística é uma doença genética, progressiva e multissistêmica, cujos danos se acumulam ao longo da vida. Embora existam tratamentos capazes de controlar infecções, melhorar a função respiratória e minimizar complicações, essas terapias não atuam na causa da doença. O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor representa uma mudança de paradigma por atuar diretamente na proteína CFTR, tratando o defeito básico da doença e modificando sua evolução clínica., As variantes genéticas contempladas nesta consulta pública possuem evidências científicas de resposta ao medicamento. Dessa forma, há justificativa para que esses pacientes tenham acesso a uma terapia capaz de reduzir exacerbações pulmonares, internações, necessidade de antibióticos, perda da função pulmonar e complicações nutricionais e gastrointestinais, apenas em razão da variante genética que apresentam., A experiência das famílias acompanhadas pela ACAM-RJ demonstra que a progressão da fibrose cística impacta profundamente a vida dos pacientes e de seus cuidadores, comprometendo a frequência escolar, o trabalho, a vida social, a saúde mental e a qualidade de vida. A possibilidade de acesso ao tratamento modifica essa realidade, proporcionando maior estabilidade clínica, mais autonomia e melhores perspectivas para o futuro.,	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Os principais resultados observados incluem redução das exacerbações pulmonares e das internações, menor necessidade de antibióticos e atendimentos de urgência, melhora da função respiratória, do estado nutricional e da disposição para as atividades diárias. Melhora significativa na qualidade de vida, maior participação em atividades escolares, profissionais e sociais, redução da sobrecarga física e emocional dos cuidadores e pais. Muitos pacientes passam a apresentar maior estabilidade clínica, o que reduz o impacto da doença na rotina familiar e favorece maior autonomia e independência., Na visão como associação de apoio, o maior benefício dessa tecnologia é sua capacidade de atuar na causa da fibrose cística, modificando a evolução da doença e reduzindo a progressão dos danos pulmonares e gastrointestinais. Para pacientes com variantes do gene CFTR comprovadamente responsivas ao medicamento, sua disponibilização representa a oportunidade de viver com mais saúde, menos limitações e melhores perspectivas para o futuro., Negativo e dificuldades: Como toda medicação, podem ocorrer efeitos adversos e há necessidade de acompanhamento clínico regular para monitoramento da resposta ao tratamento. Entretanto, esses eventos são, em sua maioria, manejáveis e não superam os benefícios clínicos proporcionados pela terapia., O principal aspecto negativo identificado em si não está relacionado ao medicamento, mas à dificuldade de acesso. A limitação de elegibilidade por critérios genéticos faz com que pacientes com variantes comprovadamente responsivas permaneçam sem acesso a uma terapia capaz de modificar a evolução da doença. Essa demora permite a progressão de danos pulmonares, gastrointestinais e nutricionais muitas vezes irreversíveis, além de manter pacientes e famílias expostos a internações frequentes, complicações e perda da qualidade de vida que poderiam ser evitadas.	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme, antibioticos diversos, aerolin, clenil, tobramicina, colestimetato de sódio, enzimas pancreáticas, suplementos alimentares variados, vitamina DEKA., Positivo: As terapias atualmente utilizadas no tratamento da fibrose cística, como alfadornase (Pulmozyme), antibióticos, broncodilatadores (Aerolin), corticosteroides inalatórios (Clenil), antibióticos inalatórios (tobramicina e colistimetato de sódio), enzimas pancreáticas, suplementos nutricionais e vitaminas, são fundamentais para o manejo da doença e proporcionam benefícios importantes aos pacientes., Esses tratamentos contribuem para o controle das infecções respiratórias, melhora da função pulmonar, redução do acúmulo de secreções, melhora da digestão e da absorção de nutrientes, manutenção do estado nutricional e prevenção de complicações. Também permitem maior estabilidade clínica, reduzem o risco de agravamentos e contribuem para aumentar a sobrevida e a qualidade de vida das pessoas com fibrose cística., No entanto, embora sejam indispensáveis, essas tecnologias atuam no controle das manifestações da doença, sem corrigir o defeito da proteína CFTR que origina a fibrose cística. Por isso, devem ser compreendidas como terapias complementares, que não substituem a necessidade de tratamentos capazes de atuar diretamente na causa da doença., Negativo: Embora sejam essenciais para o tratamento da fibrose cística, essas terapias atuam apenas no controle dos sintomas e das complicações da doença, sem corrigir a disfunção da proteína CFTR. Assim, mesmo com o uso contínuo desses medicamentos, a doença pode continuar progredindo, com perda da função pulmonar, comprometimento nutricional e outras complicações., , Além disso, a rotina de tratamento é intensa e exige o uso diário de múltiplos medicamentos, nebulizações, fisioterapia respiratória, enzimas pancreáticas, suplementos e vitaminas, gerando grande impacto na qualidade de vida dos pacientes e de suas famílias., , Dessa forma, embora indispensáveis, essas tecnologias não modificam a evolução da fibrose cística, reforçando a necessidade de terapias que atuem diretamente na causa da doença.	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Escrevo esta contribuição não apenas como pneumologista pediátrico, mas como testemunha cotidiana de algo que a literatura descreve em porcentagens e a clínica descreve em rostos: a criança de três anos que chega ao consultório já com bronquiectasias na tomografia, a mãe que aprendeu a contar em mililitros de escarro o que sua filha carrega nos pulmões, o adolescente com uma variante rara do gene CFTR que, por não caber nas quatro letras F508del, segue excluído de uma terapia que já mudou a história natural da fibrose cística em outras crianças, iguais a ele em tudo, exceto no genótipo., A incorporação do Trikafta ao SUS em 2023 foi um marco. Mas marcos são pontos de partida, não de chegada. O protocolo vigente, ao restringir o acesso a pacientes com 6 anos ou mais e portadores de ao menos um alelo F508del, deixou de fora exatamente os grupos em que o dano pulmonar começa mais cedo e onde a janela terapêutica é mais estreita: crianças pequenas e pessoas com variantes raras. Esta contribuição reúne as evidências que, a meu ver, tornam essa lacuna insustentável do ponto de vista clínico, ético e regulatório,	2ª - Sim, Qual: Com o Trikafta em maiores de 6 anos, Positivo e facilidades: A fibrose cística é uma doença autossômica recessiva causada por variantes patogênicas no gene CFTR, que codifica um canal de cloreto e bicarbonato nas superfícies epiteliais. Sua disfunção compromete a hidratação do muco em múltiplos órgãos, com destaque para o eixo pulmonar e pancreático, resultando em secreções espessas, inflamação crônica e dano estrutural progressivo. Mais de 2.000 variantes já foram descritas no gene CFTR, a variante F508del, embora predominante mundialmente, corresponde a 60–70% dos alelos no Brasil — proporção sensivelmente menor do que na América do Norte e na Europa, refletindo a miscigenação genética da população brasileira. Um modelo assistencial ancorado quase exclusivamente nessa variante tende, estruturalmente, a excluir parcela relevante de uma população já geneticamente diversa., Do ponto de vista farmacológico, o Trikafta associa dois corretores (elexacaftor e tezacaftor), que aumentam o tráfego e a maturação da proteína CFTR até a membrana celular, a um potencializador (ivacaftor), que aumenta a probabilidade de abertura do canal. O racional terapêutico — atuar sobre o defeito molecular primário, e não apenas sobre suas consequências — é o que distingue os moduladores de CFTR de toda a terapêutica anterior, centrada em antibioticoterapia, fisioterapia respiratória e, em estágios avançados, transplante pulmonar, , Negativo e dificuldades: Não se aplica	3ª - Sim, Qual: Trikafta para maiores de 6 anos, Positivo: O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas de Fibrose Cística, instituído pela Portaria Conjunta SAES/SECTICS nº 5/2024, restringe o Trikafta a pacientes com 6 anos de idade ou mais e ao menos um alelo F508del. A dispensação teve início efetivo em maio de 2024. Essa delimitação, compreensível no momento da incorporação — quando a evidência pediátrica precoce e a evidência sobre variantes raras ainda estavam em consolidação —, hoje já não reflete o estado da arte regulatório e científico, seja no Brasil, seja internacionalmente., Dados do Registro Brasileiro de Fibrose Cística, citados no parecer técnico-científico conjunto GBEFC/SBP/SBPT (maio de 2026), indicam que 60% dos pacientes entre 6 e 17 anos já apresentam algum grau de disfunção pulmonar mensurável — o que significa que o dano frequentemente já está instalado quando a criança finalmente se torna elegível ao tratamento. Estudo conduzido na Unidade de Pneumologia Pediátrica do Instituto da Criança e do Adolescente (ICr-HCFMUSP) identificou alterações tomográficas em mais de 90% de crianças diagnosticadas por triagem neonatal e avaliadas com idade média de apenas três anos. A mensagem clínica é direta: a fibrose cística não espera a idade regulatória para produzir dano., , Negativo: Não se aplica	4ª - O estudo de Castellani e colaboradores, publicado em 2026 no American Journal of Respiratory and Critical Care Medicine, integrou ensaios funcionais em células FRT (Fischer Rat Thyroid) a um ensaio clínico fase 3 duplo-cego, randomizado e controlado por placebo, além de dados de mundo real. Das 620 variantes não-F508del analisadas in vitro, 84% mostraram responsividade ao Trikafta — achado que, somado à melhora clínica observada em função pulmonar, teste do suor e qualidade de vida entre portadores de variantes raras já tratados, sustenta a extrapolação terapêutica para essa população, mesmo diante da inviabilidade de ensaios clínicos tradicionais individualizados por variante, dada a raridade de cada uma isoladamente., Em resposta a esse corpo de evidências, a ANVISA atualizou a bula brasileira do Trikafta em março de 2025, incluindo mais de uma centena de variantes não-F508del reconhecidas como responsivas com base em dados clínicos ou celulares. Esse reconhecimento regulatório sanitário, contudo, ainda não se traduziu em disponibilização ordinária pelo SUS — um descompasso entre o que já é reconhecido como seguro e eficaz e o que, de fato, chega ao paciente pela via pública,	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Devido já ter ótimos resultados com meu filho, gostaria que todos as mães e pacientes de fibrose cística tivessem acesso a esses novos moduladores que veio para fazer um divisor de águas na dessas pessoas antes e depois do TRIKAFTA	2ª - Sim, Qual: Tricafta (elexacaftor, tezacaftor, invacaftor e invacaftor , Positivo e facilidades: Passaria a noite escrevendo e não daria de conta do quanto o TRIKAFTA veia a acrescentar na vida do meu filho, sendo diagnosticado aos sete anos, estando c no pico da adolescência onde a doença se agra va rapidamente,estando com três internações por ano e muitas medicações o tricafta chegou Resumindo todas essas medicação em um ,libertando meu filho de vários inalações e antibióticos, dando a ele liberdade de estudar melhor, sonhar e projetar um futuro melhor e me dando a oportunidade de trabalhar e muitas outras coisas, Resumindo meu filho agora tem vida e vida com abundância , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Alfadornase ou pulmozyme, Positivo: Ela complementava no tratamento no tratamento diluindo a secreção facilitando na hora da fisioterapia tirando essa secreção do pulmão , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de uma criança de 10 anos que faz uso do Elexacaftor, tezacaftor, ivacaftor desde 24 de janeiro de 2024, primeiro através de processo judicial e em seguida pelo SUS, após incorporação tal qual esta que participo agora. Esse tratamento mudou a minha vida e a vida da maioria dos pacientes de fibrose cística aqui em Sergipe e, no entanto, ainda há outros pacientes que podem ser beneficiados com a expansão para essas outras mutações. É muito triste vermos paciente lutando para sobreviver, nas melhores condições possíveis, sem a esperança de acessar um tratamento que vem transformando vidas., , A melhoria de qualidade de vida para minha filha de duração de tratamento diário, de melhor condição de saúde, bem estar, controle dos sintomas, repercute diretamente na perspectiva de futuro, na capacidade de ter sonhos e seguir o cursos de vida sem os desafios que uma pessoa sem deficiência, ou sem fibrose cística, nem imagina que são enfrentados diariamente. A distância que o Elexacaftor, tezacaftor, ivacaftor cria entre nossas crianças o desgate diário de um tratamento extenso e o medo das comorbidades e mortalidade é algo que influencia tanto a minha vida como cuidadora principal como dela enquanto pessoa em desenvolvimento., , Diante da reflexões atuais, cabe ressaltar que o acesso ao Elexacaftor, tezacaftor, ivacaftor me permite ser uma mãe menos sobrecarregada, contribui com o compartilhamento de cuidado que deve ser feito pelo poder público, e outras mães de pacientes com mutações raras merecem ter esse direito tanto quanto eu.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor, tezacaftor, ivacaftor, Positivo e facilidades: Melhoria na qualidade de vida com redução do tempo de tratamento diário, melhora do sintomas e nas condições de saúde., Negativo e dificuldades: Não houve	3ª - Sim, Qual: Enzimas pancreática, alfadornase, vitaminas, tobramicina, suplementação alimentar, Positivo: Permitiram um controle da progressão da doença, Negativo: São exaustivas e caras.	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:
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha experiência com o Trikafta (ELX/TEZ/IVA) como paciente com uma mutação rara responsiva, , Uma semana após iniciar o Trikafta, em 2021, percebi uma transformação que nunca imaginei ser possível. Meus pulmões estavam mais limpos, com muito menos secreção, e senti que minha vida jamais seria a mesma., , Antes do tratamento, a fibrose cística dominava minha rotina. Tossia o dia inteiro, acordava durante a noite por causa da tosse e, muitas vezes, vomitava após crises intensas pela manhã. A doença consumia minha energia, minha saúde física e emocional e minha esperança. Apesar de seguir rigorosamente todos os tratamentos, eu perdia função pulmonar progressivamente, realizava de dois a três ciclos de antibióticos venosos por ano, usava antibióticos inalatórios diariamente, antibióticos orais com frequência e enfrentava infecções pulmonares graves., , Após mais de seis anos usando o Trikafta, minha função pulmonar aumentou mais de 10% e permanece estável. Nunca mais precisei internar ou usar antibióticos venosos, reduzi significativamente o uso de antibióticos orais, inalatórios e nebulizações, e minha tosse e secreção pulmonar diminuíram cerca de 90%., , Hoje, aos 38 anos, consigo trabalhar, fazer planos para o futuro e viver com uma qualidade de vida que antes parecia impossível. O Trikafta não apenas melhorou meus exames, devolveu minha autonomia, minha esperança e a oportunidade de viver plenamente., , Moro nos Estados Unidos desde 2018 e tenho acesso ao Trikafta por ser residente permanente. Mesmo vivendo fora, acompanho a luta dos brasileiros com fibrose cística que ainda aguardam esse tratamento. Cada mês de espera significa perda irreversível de função pulmonar para muitos pacientes., , Peço que a CONITEC aprove a incorporação do Trikafta para pacientes com mutações raras responsivas. Esse medicamento não apenas prolonga vidas: ele devolve a possibilidade de viver plenamente.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Desde o início do tratamento com o Trikafta: (6 anos total), , * Minha função pulmonar aumentou mais de 10% e permanece estável até hoje., * Não precisei mais realizar nenhum ciclo de antibióticos venosos., * Passei a precisar de antibióticos orais apenas ocasionalmente após uma gripe., * Consegui reduzir significativamente o uso de antibióticos inalatórios e das nebulizações diárias., * Minha tosse e a quantidade de secreção pulmonar diminuíram cerca de 90%, proporcionando uma melhora extraordinária na minha qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo, não tive nenhum efeito colateral com o uso.	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme, antibioticos, esnzimas, etc…, Positivo: Todas as tecnologias foram favoráveis mas nenhuma tão positiva e com o mesmo efeito clinico positivo que o Trikafta., Negativo: O uso de antibióticos continuous causavam uma serie de efeitos colaterais e resistência a microorganismos ao longo do tempo.	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como profissional da suade que trabalha com fibrose cística, pude presenciar os incríveis benefícios que essa medicação traz à condição.	2ª - Sim, Qual: com o uso do Trikafta no tratamento dos pacientes com fibrose cística., Positivo e facilidades: "Pude ver pacinetes relatarem a sensação de que ""ganharam um novo pulmão"" apos fazer o uso dessa medicação, começarem a fazer atividades, ate mesmo cotidianas, que não realizavam antes da medicação, como ir a uma academia, jogar futebol e ate conseguir caminhar para o trabalho ou escola", Negativo e dificuldades: Diante de todos os comentários positivos dos pacientes que fazem uso dessa medicação, não chegou ate mim comentários negativos do uso da mesma	3ª - Não	4ª - Ocorreram 2 casos, no nosso centro de fibrose, em que pacientes femininas portadoras de fibrose cística com infertilidade comprovada e vida sexual ativa, após o uso da medicação, engravidaram espontaneamente, sem nenhum tratamento relatado para a condição de infertilidade, , Houve 1 caso também de uma paciente feminina nos estágios finais de uma gestação com complicações e com alto risco de interrupção, que iniciou o uso do trikafta ainda nessa fase, evoluindo com melhora significativa e conseguindo dar seguimento a gestação, além disso, o recém nascido foi testado para fibrose, após o nascimento, tendo confirmação positiva com o teste do suor mas sem qualquer repercussão clinica relacionada a doença	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pediatra, pneumologista pediátrica e docente da Universidade Federal da Bahia. Há mais de 20 anos, cuido de pessoas com fibrose cística (FC) e coordeno um centro de referência em um hospital universitário, em Salvador, que acompanha pacientes de 0 a 27 anos., Conheço de perto o impacto da FC na vida dos pacientes e de suas famílias. Há cerca de dois anos, acompanhamos pessoas em uso do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) e temos observado uma transformação expressiva na evolução clínica e na qualidade de vida. Paralelamente, avaliamos seus desfechos clínicos em projetos de pesquisa. Resultados parciais, apresentados no Congresso Europeu de Fibrose Cística de 2026, demonstraram melhora clínica e da qualidade de vida mesmo em uma população em elevada vulnerabilidade social., Entretanto, convivemos com a frustração de não oferecer essa oportunidade a todos os pacientes. Alguns possuem variantes raras para as quais ainda não existe terapia modificadora da doença. Outros tornaram-se elegíveis ao ETI após a ampliação da indicação aprovada pela ANVISA para variantes raras, mas permanecem sem acesso ao tratamento., Na Bahia, onde há importante ancestralidade africana, além da europeia e indígena, identificamos, em estudo comparativo entre quatro centros brasileiros, um percentual ligeiramente maior de indivíduos sem acesso aos moduladores da CFTR. Assim, a não incorporação do ETI para variantes raras responsivas poderá ampliar as desigualdades no acesso ao tratamento, favorecer a progressão da doença e aumentar os custos futuros para o SUS., Reconheço o elevado custo do ETI para o SUS. Entretanto, trata-se de uma população muito menor que a dos portadores da variante F508del. Defendo que sua prescrição siga critérios bem definidos, com monitoramento objetivo da resposta terapêutica, e que sejam negociadas reduções de preço com a fabricante, ampliando o acesso dessa subpopulação de pessoas com FC no Brasil., ,	2ª - Sim, Qual: Atualmente, acompanhamos cerca de 30 indivíduos com fibrose cística em uso do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) e temos observado uma transformação expressiva na evolução clínica e na qualidade de vida das pessoas., Positivo e facilidades: Melhora clínica: regressão de tosse crônica, ganho de peso, redução dos níveis de cloreto do suor, dramática melhora da função pulmonar e, por vezes, dos achados na tomografia de tórax. , Negativo e dificuldades: No geral, medicamento bem seguro.	3ª - Sim, Qual: Dornase alfa, tobramicina, pancreatina, Positivo: Melhora do sintomas em muitos pacientes., Negativo: Nada a relatar	4ª - Gostaria de compartilhar os resultados de um estudo colaborativo entre nosso centro e outros três centros brasileiros de referência em FC. Antes da ampliação da indicação do ETI pela ANVISA para variantes raras, observamos um número expressivo de pessoas sem indicação para uso do ETI, situação ligeiramente mais frequente na Bahia e entre indivíduos não brancos. Esses resultados demonstram que as diferenças na distribuição das variantes da CFTR entre populações podem gerar desigualdades no acesso às terapias modificadoras da doença. Ampliar o acesso ao ETI para variantes raras responsivas representa um passo importante para reduzir essa iniquidade. O artigo será aqui compartilhado.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho de extrema importância, dando oportunidade de mais pacientes que sofrem com a fibrose cistica ter acesso ao tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A ampliação das mutações contempladas com o tratamento com Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor é medida de fundamental importância para garantir qualidade de vida e saúde adequada a inúmeras pessoas portadoras de fibrose cística que têm mutações raras e, portanto, ainda não estão fazendo uso do referido modulador da FC. Ampliar as mutações contempladas significa, simplesmente, ampliar o número de pessoas que podem sobreviver com a fibrose cística e, mais que isso, viver com dignidade. Trata-se de uma medida de urgência máxima que deve ser tomada o quanto antes.	2ª - Sim, Qual: Utilização de Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para tratamento da Fibrose Cística, além de acompanhar o tratamento com Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor de outras pessoas portadoras de Fibrose Cística., Positivo e facilidades: Melhora em todos os aspectos comumente afetados pela Fibrose Cística, quais sejam, ganho de peso, ganho de energia para as tarefas diárias, melhora na função pulmonar, diminuição da produção de muco, diminuição das infecções e, consequentemente, pneumonias, etc. , Negativo e dificuldades: Absolutamente nenhum.	3ª - Sim, Qual: Antes do Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, o tratamento convencional da Fibrose Cística, consistente na utilização de antibióticos (como a Tobramicina), broncodilatadores (como a Alenia), medicamentos para fluidificar o muco produzido pela Fibrose Cística (como o Pulmozyme), etc. , Positivo: Mitigação dos sintomas da Fibrose Cística, no entanto, com o avanço da doença, o tratamento convencional fica cada vez mais ineficaz, Negativo: A ineficácia a longo prazo do tratamento convencional com o avanço da doença.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As pessoas com fibrose cística merecem e precisam ter qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: trikatfa, Positivo e facilidades: Menos internações, melhora da função pulmonar e pancreática., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento beneficiará ainda mais pessoas portadoras de fibrose cística.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de uma menina que nasceu com Fibrose Cística, ela tem 5 anos e durante esse tempo já passamos por várias internações, inclusive em UTI. Esse novo medicamento traria mais qualidade de vida, menos limitações em sua convivência familiar e escolar por conta das repetidas infecções, assim como menos sofrimento dela e de toda a família que obviamente é afetada, pois o tratamento exige mais tempo dedicada a criança e menos as outras filhas, principalmente qdo é necessário as internações que o mínimo de dias são 14 para o uso de antibióticos, custo financeiro muito mais elevado, pois nem toda medicação e suplementação é fornecida pelo SUS, e ainda as tantas restrições no dia a dia pois a rotina é totalmente imprevisível quanto as infecções.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação deve ser incorporada, ampliando o acesso as crianças menores., A experiência com a medicação é sensacional, a droga é capaz de mudar o curso da doença, tornando os portadores da doença que antes tinham muita limitação para suas atividades diárias, muitas internações hospitalares, deficit nutricional e deficit de crescimento, atualmente estão retornando as escolas, as suas atividade diarias, apresentando um excelente desenvolvimento e principalmente, sem infecções recorrentes.	2ª - Sim, Qual: Medicamento., Positivo e facilidades: Melhora absurda na qualidade de vida, redução de infecções recorrentes, redução de hospitalização, tirou pacientes do uso contínuo de oxigênio. Observamos melhora no desenvolvimento físico, com ganho de estatura, ganho de peso, tornando os portadores ativos e socialmente inseridos., Negativo e dificuldades: O único ponto negativo é o paciente não ter acesso.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação precisa entrar na lista do sus o quanto antes, essas pessoas tem o direito de ter uma vida com qualidade. Assim como meus filhos	2ª - Sim, Qual: Meus filhos fazem o uso do trikafta desde 2023 e ela mudou a vida deles , Positivo e facilidades: Depois que iniciaram nunca mais precisaram de internação para medicação intravenosa. A qualidade de vida que levam hoje é como um milagre para a nossa família. Todo paciente com fibrose cística merece essa chance , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Orkambi , Positivo: O orkambi era um bom medicamento, mas nada comparado ao que é o trikafta hoje , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Remédio salva vida	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Independente do perfil genético, na FC os danos perduram por toda vida, de forma irreversível, comprometendo a função pulmonar e levando à insuficiência respiratória. Muitos pacientes são candidatos ao transplante pulmonar com enormes riscos de morte. A primeira infância fornece uma janela de oportunidades no sentido de mudar o prognóstico dos pacientes com FC.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor. No nosso ambulatório, pacientes com FC com perfil recomendado, Positivo e facilidades: Melhora da função pulmonar e da qualidade de vida dos pacientes, com ausência de exacerbações. , Negativo e dificuldades: Pouquíssimos efeitos colaterais, todos contornáveis	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:
Organização da Sociedade Civil **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esta sociedade médica vem contribuir com a Consulta Pública 48, desfavorável à incorporação do elexacaftor- tezacaftor-ivacaftor (ETI) para pessoas com fibrose cística (FC) portadoras de variantes não-F508del responsivas ao medicamento. Reconhecemos a legitimidade da preocupação econômica, mas entendemos ser imprescindível aumentar o debate com evidências clínicas, dados de mundo real e informações do Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC), de modo a subsidiar uma decisão que concilie sustentabilidade do SUS e direito ao tratamento eficaz de uma doença rara, progressiva e letal., Já é amplamente reconhecido o papel do ETI como terapia modificadora da história natural da FC. Destacamos que, para variantes genéticas raras, a realização de grandes ensaios clínicos não é factível. Portanto, evidências de estudos observacionais, registros prospectivos e ensaios funcionais ex vivo assumem papel científico relevante, reconhecido por agências regulatórias internacionais como fonte complementar de evidência para decisões de incorporação tecnológica. No contexto brasileiro, o REBRAFC representa um importante diferencial, pois possibilita identificar com precisão a população potencialmente elegível ao tratamento e dispõe de mecanismos para acompanhamento longitudinal da efetividade clínica e da segurança do ETI. Essa capacidade de monitoramento contínuo reduz incertezas e fornece subsídios concretos para avaliações futuras da tecnologia no âmbito do SUS., Diante disso, solicitamos, respeitosamente, a reconsideração da recomendação preliminar, considerando a possibilidade de monitoramento sistemático dos resultados em nível nacional. Entendemos que essa estratégia é compatível com os princípios de universalidade, integralidade e equidade do SUS, permitindo que pessoas com FC portadoras de variantes genéticas responsivas ao ETI tenham acesso ao tratamento, mediante indicação e acompanhamento por equipes especializadas, com avaliação periódica da resposta terapêutica.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor , Positivo e facilidades: Na qualidade de representantes do Departamento de Fibrose Cística da SOCIEDADE BRASILEIRA DE PNEUMOLOGIA E TISIOLOGIA (SBPT), como médicos, acompanhamos de forma contínua pacientes em uso do ETI, com resultados consistentes com aqueles descritos na literatura científica. Esses benefícios são evidentes tanto em indivíduos com pelo menos uma variante F508del quanto naqueles portadores de variantes não-F508del reconhecidas como responsivas ao medicamento., , A nossa experiência assistencial de mundo real demonstra melhora significativa de parâmetros clínicos, incluindo função pulmonar, estado nutricional, qualidade de vida e redução dos níveis de cloreto no suor, refletindo a restauração da função da proteína CFTR. Observa-se ainda importante diminuição da ocorrência de exacerbações pulmonares, das hospitalizações, da necessidade de suporte ventilatório e da dependência de terapias convencionais utilizadas para o controle das manifestações da doença, evidenciando o potencial do ETI em modificar a evolução clínica da fibrose cística., , Temos testemunhado uma mudança de trajetória da FC, com o ETI representando uma terapia disruptiva nos nossos pacientes., , Negativo e dificuldades: No que se refere à segurança, a nossa experiência confirma o perfil favorável previamente demonstrado na literatura. Os eventos adversos observados são, em sua maioria, leves ou moderados, transitórios e passíveis de manejo com acompanhamento clínico e laboratorial rotineiro, raramente exigindo interrupção do tratamento e, em geral, sem necessidade de hospitalização.,	3ª - Sim, Qual: Até o desenvolvimento dos moduladores da CFTR, o tratamento da fibrose cística era baseado exclusivamente em medidas de suporte voltadas ao controle das manifestações clínicas da doença, sem corrigir seu defeito molecular de base. O cuidado envolvia fisioterapia respiratória diária, medicamentos inalatórios, antibioticoterapia, reposição de enzimas pancreáticas, suplementação nutricional e vitamínica, suporte ventilatório, tratamento das complicações e acompanhamento multiprofissional contínuo. Embora essa abordagem tenha proporcionado avanços importantes, com aumento da sobrevida e melhora gradual do estado nutricional, da função pulmonar e da qualidade de vida, ela impunha elevada carga terapêutica, frequentemente exigindo várias horas diárias de tratamento, internações recorrentes, uso repetido de antibióticos intravenosos e outros cuidados intensivos. Ainda assim, a doença continua evoluindo, com progressão da lesão pulmonar, exacerbações frequentes, bronquiectasias, insuficiência respiratória, necessidade de transplante pulmonar e morte precoce, além de importante impacto físico, emocional, social e econômico para pacientes e familiares. Nesse contexto, os moduladores da CFTR representam uma transformação sem precedentes no manejo da fibrose cística, pois passam a atuar diretamente sobre a causa da doença, modificando sua história natural e inaugurando uma nova era terapêutica. , Positivo: O ETI atua corrigindo o processamento, o dobramento e/ou a função da proteína CFTR, restaurando parcialmente o transporte de cloro através do epitélio. Sua eficácia depende da existência de proteína CFTR passível de modulação, não estando restrita à presença da variante F508del, conforme demonstrado em estudos mecanísticos envolvendo diversas variantes responsivas (Veit et al., 2020, Fiedorczuk e Chen, 2022)., , Ensaios funcionais em células Fischer Rat Thyroid (FRT), posteriormente corroborados por estudos clínicos e por programas de acesso expandido em condições de vida real, demonstraram resposta ao ETI em um amplo conjunto de variantes não-F508del previamente consideradas elegíveis à modulação da CFTR, fornecendo a base científica para a expansão regulatória da	4ª - O ETI atua corrigindo o processamento, o dobramento e/ou a função da proteína CFTR, restaurando parcialmente o transporte de cloro através do epitélio. Sua eficácia depende da existência de proteína CFTR passível de modulação, não estando restrita à presença da variante F508del, conforme demonstrado em estudos mecanísticos envolvendo diversas variantes responsivas (Veit et al., 2020, Fiedorczuk e Chen, 2022)., Ensaios funcionais em células Fischer Rat Thyroid (FRT), posteriormente corroborados por estudos clínicos e por programas de acesso expandido em condições de vida real, demonstraram resposta ao ETI em um amplo conjunto de variantes não-F508del previamente consideradas elegíveis à modulação da CFTR, fornecendo a base científica para a expansão regulatória da indicação do medicamento (Burgel e Mall, 2026). Por isso, a Anvisa ampliou a indicação do ETI para mais de 270 variantes raras não-F508del em março de 2025, decisão regulatória nacional que já reconhece a resposta clínica esperada nessa população. Relatos de caso adicionais reforçam a plausibilidade de resposta em genótipos não convencionais (Canan et al., Arch Bronconeumol 2024)., A baixa prevalência de cada variante não-F508del individualmente torna estatisticamente inviável a realização de ensaios clínicos randomizados de grande porte para cada genótipo, cenário já reconhecido pelas agências	5ª - Esta sociedade reconhece a qualidade metodológica do relatório preliminar da Conitec e a relevância da avaliação dos impactos econômicos envolvidos na incorporação de novas tecnologias ao SUS. O próprio relatório demonstra que o tratamento com ETI proporciona benefícios clínicos relevantes em indivíduos com variantes não-F508del responsivas. Assim, a recomendação preliminar desfavorável decorreu predominantemente das incertezas relacionadas ao custo-efetividade e ao impacto orçamentário, e não da ausência de eficácia clínica da tecnologia., , Entendemos que a busca por maior sustentabilidade deve incluir a negociação de preços com o fabricante, estratégia que pode contribuir para ampliar a viabilidade da incorporação. Contudo, é igualmente importante considerar que as análises econômicas dificilmente conseguem mensurar toda a carga imposta pela FC aos pacientes, familiares e à sociedade. Além dos custos diretos relacionados às hospitalizações, medicamentos e procedimentos, existem custos indiretos substanciais, frequentemente invisíveis, decorrentes da necessidade de cuidados permanentes, afastamento dos pais do

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:
			indicação do medicamento (Burgel e Mall, 2026). Por isso, a Anvisa ampliou a indicação do ETI para mais de 270 variantes raras não-F508del em março de 2025, decisão regulatória nacional que já reconhece a resposta clínica esperada nessa população. Relatos de caso adicionais reforçam a plausibilidade de resposta em genótipos não convencionais (Canan et al., Arch Bronconeumol 2024)., , A baixa prevalência de cada variante não-F508del individualmente torna estatisticamente inviável a realização de ensaios clínicos randomizados de grande porte para cada genótipo, cenário já reconhecido pelas agências regulatórias (FDA, EMA e Anvisa) ao aceitarem dados in vitro associados a estudos observacionais e de extensão como base para ampliação de indicação. A proposta de inclusão do ETI na Lista Modelo de Medicamentos Essenciais da Organização Mundial da Saúde também considerou evidências provenientes de estudos observacionais, séries de casos e revisões sistemáticas envolvendo variantes raras, reconhecendo as limitações inerentes à produção de evidências em doenças raras., , Negativo: Há segurança em outros tratamentos propostos para a FC, assim como ETI. Entretanto, os benefícios do uso de EIT são imensamente mais significativos, modificando a história natural da doença.	regulatórias (FDA, EMA e Anvisa) ao aceitarem dados in vitro associados a estudos observacionais e de extensão como base para ampliação de indicação. A proposta de inclusão do ETI na Lista Modelo de Medicamentos Essenciais da Organização Mundial da Saúde também considerou evidências provenientes de estudos observacionais, séries de casos e revisões sistemáticas envolvendo variantes raras, reconhecendo as limitações inerentes à produção de evidências em doenças raras.,	trabalho, redução da produtividade, impacto sobre a renda familiar, limitações educacionais, comprometimento da qualidade de vida e repercussões emocionais para todo o núcleo familiar. Esses aspectos representam importante ônus social e econômico, cuja mensuração permanece um desafio em doenças raras., , Outro aspecto que merece destaque é a capacidade já existente no Brasil para monitorar a efetividade e a segurança dessa tecnologia após eventual incorporação. O cuidado às pessoas com FC encontra-se estruturado em centros especializados, com equipes multiprofissionais capacitadas e acompanhamento sistemático dos pacientes, e o Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC) constitui uma ferramenta estratégica para estimar a população elegível e realizar o acompanhamento longitudinal dos resultados clínicos do ETI.,

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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O uso da medicação proporcionou uma melhora significativa na qualidade de vida do meu filho. Desde o início do tratamento, ele não necessitou mais de internações hospitalares, passou a apresentar adequado desenvolvimento, crescimento e ganho de peso, refletindo uma importante evolução em seu quadro clínico., Além disso, deixou de necessitar de procedimentos cirúrgicos para a retirada de pólipos nasais. Antes do início do tratamento, em um período de apenas um ano e meio, foi submetido a três cirurgias em razão dessa condição. Após o início do uso do Trikafta, os pólipos desapareceram, permitindo que ele voltasse a respirar normalmente, sem intercorrências.	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Após o início do tratamento com o Trikafta, houve uma melhora significativa na qualidade de vida. O medicamento proporcionou maior estabilidade clínica, redução das complicações da doença e mais autonomia para as atividades do dia a dia. Com o fim das internações, a melhora da respiração e o desenvolvimento adequado, tornou-se possível viver com mais tranquilidade. Além dos benefícios físicos, o tratamento trouxe impactos positivos para toda a família, reduzindo a preocupação constante com a progressividade da doença e permitindo uma rotina normal. , Negativo e dificuldades: Não há.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como enfermeira de um centro de referência do de triagem neonatal, acompanho os pacientes com fibrose cística e a evolução deles apos o uso do Trikfta, para aqueles que ja conseguiram a medicação.	2ª - Sim, Qual: Trikfta, Positivo e facilidades: Melhoria dos sintomas da fibrose cistica, Melhoria na qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Somente quando falta a medicação	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse remédio deve ser destinado a pessoas com outras variantes,estávamos na Unicamp e estava que nao tinha a variante F508 e o filho dela começou a tomar o remédio e a mãe nos detalhou a melhora que o filho dela está.A criança nem parece que tem FIBROSE CISTICA esse remédio melhora muito a qualidade de vida de quem tem essa doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conheço uma pessoal que teve melhora significativa com o uso do medicamento, precisamos extender esse atendimento a todos que necessitam do medicamento.	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:
Organização da Sociedade Civil **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A APAM, que representa pacientes, familiares e cuidadores, manifesta-se favorável à ampliação de uso do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ELX/TEZ/IVA) no SUS para pacientes com fibrose cística ? 6 anos com pelo menos uma variante não-F508del responsiva., , Registramos, com respeito ao trabalho da Conitec, que o próprio relatório preliminar reconhece que a tecnologia “mostrou-se eficaz e segura”. O ensaio clínico randomizado demonstrou melhora da função pulmonar (ppVEF1 +9,2 pontos vs. placebo), redução do cloro no suor (?28,3 mmol/L), ganho de qualidade de vida (+19,5 pontos no CFQ-R, quase 5× o mínimo clínico) e redução de exacerbações, com eventos adversos graves menos frequentes que no placebo. Dados de mundo real, em 82 variantes, confirmam o benefício., , Compreendemos que o obstáculo apontado é econômico. Justamente por isso, pedimos que sejam perseguidas as alternativas que o próprio Comitê discutiu — desconto, acordos financeiros e compartilhamento de risco — antes de uma recomendação final desfavorável. Ponderamos que a decisão considere o custo total da jornada do paciente (internações, antibióticos intravenosos, urgências e transplante pulmonar), o custo já incorrido de forma desigual pela judicialização, e a população pequena e definida (389 pacientes no 1º ano), que torna o impacto previsível., , Destacamos a questão de equidade: pacientes F508del já têm acesso ao ELX/TEZ/IVA pelo SUS, pacientes não-F508del, com a mesma doença e gravidade, dependem de ação judicial. Membros da Conitec já apontaram essa desigualdade. Canadá e Austrália recomendaram a ampliação para esta população., , Sugerimos incorporação responsável: critérios de elegibilidade claros, acompanhamento em centros de referência, monitoramento de resposta e segurança, registro de dados de vida real, reavaliação periódica e negociação de preço., , Solicitamos que a Conitec reconsidere a recomendação preliminar e recomende a incorporação para os pacientes elegíveis.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para pacientes não DF 508, Positivo e facilidades: Acompanhamos pacientes que tiveram acesso a tecnlogia com significativo ganho de qualidade de vida, redução do tempo necessário ao tratamento, recuperação das atividades sócio econômicas, constituição de famílias, ganho de peso e função pulmonar, redução significativa de exacerbações, redução de tratamentos base como inalações, fisioterapias e uso de antibióticos. Redução de hospitalizações, pacientes que saíram da fila de transplante., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, Qual: Tratamento de base para fibrose cística com uso de inalação salina, inalação com Pulmozyme, fisioterapia, uso de antibiótico oral e inalatório, uso de, enzimas pancreáticas, uso de suplemento alimentar, uso de polivitamínico., Positivo: Tratamento de base reduz a progressão da doença, permitindo que o paciente chegue ao uso do moduladores com um menor nível de sequelas., Negativo: O tratamento de base não impede por completo a progressão da doença.	4ª - Detalhada no anexo.	5ª - Detalhada no anexo.

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todo tratamento que venha contribuir com a melhora do quadro de saúde do paciente é de grande avalia .	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor tezacaftor ivacaftor+ivacaftor. , Positivo e facilidades: O meu filho começou a usar medicação, e a melhora no quadro clínico dele deve um avanço significativo. , Negativo e dificuldades: Não tenho pontos negativos para relata.	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:
Organização da Sociedade Civil **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A SPDF considera que o processo de avaliação conduzido pela Conitec foi desenvolvido com reconhecido rigor metodológico e reafirma a importância da utilização responsável dos recursos públicos e da sustentabilidade do Sistema Único de Saúde (SUS). O benefício da terapia é reconhecido. Entendemos que a análise referente ao ELX/TEZ/IVA para pessoas com FC portadoras de variantes não-F508del responsivas deve contemplar as particularidades inerentes às doenças raras, à medicina de precisão e às limitações próprias da produção de evidências nesse contexto., Dessa forma, a interpretação das evidências disponíveis considera as particularidades metodológicas da pesquisa em doenças raras. Nessa população, em que cada variante apresenta frequência muito baixa, a realização de ensaios clínicos randomizados de grande porte apresentam limitações importantes de viabilidade e suscitam questionamentos éticos, sobretudo diante dos benefícios já bem estabelecidos dos moduladores da CFTR em pacientes com outras variantes genéticas de classes não I, e do conhecimento de que a fibrose cística provoca alterações estruturais irreversíveis desde os primeiros anos de vida. Nessa realidade, evidências provenientes de estudos observacionais, registros clínicos prospectivos, ensaios funcionais ex vivo e dados de prática clínica constituem fontes científicas complementares e internacionalmente reconhecidas para subsidiar decisões regulatórias e de incorporação de tecnologias (Costa et al., 2022, Dreano et al., 2023). Em razão dessas características, órgãos reguladores como FDA, EMA e Anvisa, bem como a OMS passaram a atribuir relevância crescente às evidências geradas por estudos de extensão, evidências de mundo real, registros clínicos e sistemas de farmacovigilância, reconhecendo seu papel complementar na avaliação de terapias para doenças raras. Esse entendimento culminou com a ampliação da indicação do ELX/TEZ/IVA pela Anvisa para mais de 270 variantes raras do gene CFTR, em 2025.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/Tezavaftor/Ivacaftor comprimidos., Ivacaftor comprimidos., , Positivo e facilidades: Representando aqui a SPDF, mas também como pneumologista pediatra no Hospital da Criança de Brasília (HCB), compartilho a minha experiência assistencial no acompanhamento de crianças e adolescentes com FC. Tenho a segurança em afirmar o quão disruptiva é a terapia ELX/TEZ/IVA na vida dos nossos pacientes. No Centro FC-HCB, cerca de 55% das crianças e adolescentes em estão em uso da terapia com ELX/TEZ/IVA nos últimos 4 anos. Um deles é paciente não F508del. Observamos redução da carga sintomática e dos medicamentos de uso contínuo: a maioria se tornou assintomática respiratória. O número de exacerbações respiratórias reduziu em 50%, e o número de hospitalizações reduziu para quase nula (apenas um adolescente com doença muito avançada). Houve redução também significativa do uso de antimicrobianos. A grande maioria dos pacientes teve melhora na tomografia de tórax e de seios da face, bem como melhora nos escores do questionário de qualidade de vida. Houve redução da detecção de P. aeruginosa nas culturas respiratórias em mais de 70% dos pacientes e melhora da função pulmonar. Os níveis de cloro no suor reduziram em 58,5 mmol/L, sendo que 34,2% dos casos tiveram o teste do suor normalizado. Houve melhora nutricional, com aumento médio de 2kg/m² no IMC. Os dois pacientes em uso de Ventilação Não-Invasiva (VNI) domiciliar não precisam mais utilizar. Todos os que precisavam de gastrostomia por desnutrição puderam descontinuar o uso. Todos os pacientes puderam reduzir o uso da suplementação de oxigênio domiciliar, a maioria teve a suspensão completa do O2 domiciliar (exceto um adolescente com doença avançada que não suspendeu completamente, precisando manter o uso apenas durante o sono e exercícios físicos). Os três pacientes com indicação de transplante pulmonar saíram dos critérios de indicação por melhora clínica. O perfil de segurança foi favorável, sem descontinuidade definitiva do tratamento. Não houve óbitos na população, exceto um paciente inelegível., Negativo e dificuldades: Nada negativo fora do padrão. , Raros eventos adversos leves e transitórios, sem necessidade de descontinuidade definitiva ou de hospitalização, previstos em literatura. , O fato de não poder ofertar para os outros pacientes elegíveis em bula, porém ainda não incorporada ao SUS gera muita angústia dos profissionais que acompanham essas crianças e nos familiares, sabendo que estão piorando progressiva e irreversivelmente.	3ª - Sim, Qual: Fisioterapia respiratória diária, medicamentos inalatórios, antibioticoterapia inalatória/sistêmica, reposição de enzimas pancreáticas, suplemento vitamínico da FC, suporte nutricional/ ventilatório, manejo das complicações e acompanhamento contínuo com equipe multidisciplinar., Positivo: Nas últimas décadas, o cuidado na FC foi fundamentado exclusivamente em estratégias para controle das manifestações clínicas da doença. Embora tenham proporcionado avanços importantes, essas intervenções atuam apenas sobre as consequências da FC. Isso contribuiu para melhorar a expectativa de vida e estabilizar indicadores clínicos-nutricionais-funcionais, entretanto às custas de uma carga terapêutica extremamente elevada. , Negativo: Muitos pacientes precisam dedicar várias horas por dia ao tratamento, além de frequentes consultas, exames, fisioterapia, hospitalizações e ciclos repetidos de antibioticoterapia intravenosa, associados a oxigenoterapia e a outras medidas de suporte. Mesmo diante desse intenso esforço assistencial, a FC permanece uma doença progressiva, com exacerbações recorrentes, infecções respiratórias persistentes, bronquiectasias progressivas, insuficiência respiratória e, em parte dos pacientes, necessidade de transplante pulmonar ou evolução para óbito em idade ainda jovem. Os impactos da doença extrapolam o âmbito clínico. A elevada demanda de cuidados compromete profundamente a rotina familiar, impondo afastamentos do trabalho, redução da produtividade, limitações profissionais e financeiras, além de importante sobrecarga emocional para pais, cuidadores e pacientes. Muitos desses custos indiretos permanecem subestimados nas avaliações econômicas, apesar de representarem parcela expressiva do impacto social., Na nova era, os moduladores da CFTR representam uma mudança paradigmática na FC, oferecendo a possibilidade de prevenir ou retardar a progressão das lesões orgânicas, em vez de apenas tratar suas consequências. Trata-se de uma transformação sem precedentes na FC, com repercussões que vão além da melhora clínica imediata, alcançando maior sobrevida/ qualidade de vida e redução da carga global da doença para pacientes, famílias e sistema de saúde.	4ª - A literatura recente sobre regulação de moduladores da CFTR demonstra que, em doenças raras, a geração de evidências deve considerar estratégias complementares aos ensaios clínicos tradicionais. Costa et al., 2022, analisaram os processos decisórios da FDA e da EMA e demonstraram que, para variantes ultra raras, a integração entre estudos funcionais (theratyping), plausibilidade biológica e evidências de mundo real representa uma abordagem científica e regulatória apropriada. Os autores propõem, inclusive, um modelo baseado em acesso acompanhado de monitoramento prospectivo, conciliando ampliação do acesso com confirmação contínua da efetividade e da segurança em condições reais de uso., Os benefícios clínicos do ELX/TEZ/IVA têm sido demonstrados em estudos de vida real e em registros nacionais e internacionais, incluindo indivíduos com variantes não-F508del responsivas ao tratamento (Burgel et al., 2024, Canan et al., 2024, Lupas et al., 2024, Castellani et al., 2026). Esses estudos evidenciam redução consistente das exacerbações pulmonares, das hospitalizações, da necessidade de antibioticoterapia intravenosa, do uso de oxigenoterapia e do encaminhamento para transplante pulmonar, associadas à melhora da função pulmonar, do estado nutricional, dos níveis do cloro no suor, da qualidade de vida e, progressivamente,	5ª - A análise realizada pela Conitec reconhece que o ELX/TEZ/IVA promove benefícios clínicos relevantes em pessoas com FC com variantes não-F508del responsivas. Dessa forma, a recomendação preliminar desfavorável decorre principalmente das incertezas relacionadas à avaliação econômica, especialmente quanto à relação custo-efetividade e ao impacto orçamentário estimado para o SUS. A SPDF reconhece a importância da sustentabilidade do SUS e considera que a incorporação de tecnologias inovadoras deve ser acompanhada de criteriosa análise econômica. Nesse contexto, entendemos que a negociação de preços com o fabricante também se faz necessária. Entretanto, a avaliação do impacto econômico da FC não se restringe aos custos diretos relacionados ao fornecimento do medicamento. A doença impõe expressiva utilização de recursos assistenciais, com hospitalizações recorrentes, antibioticoterapia intravenosa, procedimentos especializados, suporte ventilatório e, em casos avançados, transplante pulmonar. Soma-se a isso uma carga de custos indiretos de difícil mensuração, por vezes

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:
				da sobrevida dos pacientes (Burgel et al., 2021, Nichols et al., 2022, Cystic Fibrosis Foundation Patient Registry, Relatório de Monitoramento dos Moduladores da CFTR no SUS - GBEFC 2026).	não contemplada nos modelos econômicos, incluindo perda de produtividade, afastamento dos familiares do trabalho, reorganização permanente da dinâmica familiar, limitações educacionais, comprometimento da saúde mental de pacientes e cuidadores e redução substancial da qualidade de vida de todo o núcleo familiar., com quantificação desafiadora nas doenças raras. Considerando a organização da FC em rede com > 50 Centros de Referência no país, integrados ao Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC), essa estrutura permite identificar a população elegível, acompanhar longitudinalmente a efetividade clínica e a segurança dos moduladores da CFTR, monitorar a utilização de recursos assistenciais e produzir evidências nacionais em condições reais de prática clínica, fortalecendo a tomada de decisão e a capacidade instalada para acompanhar o desempenho dessa tecnologia após incorporação.
Interessado no tema **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trabalho com uma colega que usa o medicamento e sua qualidade de vida melhorou muito com 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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, De grande importância um medicamento de uso contínuo para pessoas que necessitam para que tenham uma vida digna de saúde.	2ª - Sim, Qual: Medicamento para que possa ter uma vida melhor. , Positivo e facilidades: Atendimento de qualidade pelo sus , Negativo e dificuldades: Demora em ter um atendimento digno	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou medica, pneumopediatra da FIOCRUZ, membro do Departamento de Pneumologia Pediatrica da Sociedade de Pediatria do Estado do Rio de Janeiro, e estou Vice presidente da mesma sociedade, além de professora adjunta da UNIRIO. A mutação F508 del, apesar de mais frequente no Brasil, possui percentuais prevalência diferente de outras partes do mundo, Um dado muito importamnte pode justificar este achado - nossa miscigenação. Ao mesmo tempo, a busca pela equidade quando avaliamos uma intervenção da dimensão de efeitos benéficos como no casos dos moduladores da CFTR, deve ser meta de todos aqueles que lidam com o cuidado de doenças raras. A justificativa histórica para restringir o uso do ETI aos portadores da F508del era a existência inicial de evidências apenas para esse grupo. Esse cenário mudou profundamente. Hoje existem três pilares que sustentam a expansão para variantes raras: a) Evidências experimentais B)Modelos utilizando: células FRT, organoides intestinais, culturas de células brônquicas demonstram responsividade funcional para centenas de variantes anteriormente consideradas sem indicação terapêutica. Um dos maiores estudos já publicados encontrou resposta em aproximadamente 84% de 620 variantes não-F508del avaliadas. O estudo brasileiro multicêntrico publicado em 2026 avaliou 34 indivíduos portadores exclusivamente de variantes não-F508del, incluindo variantes relativamente frequentes na população brasileira, como: R334W/ R1066C/ A561E/ G85E/ N1303K/ R334W/ R668C/entre outras. Todos os pacientes apresentaram melhora em pelo menos um desfecho clínico. Os principais resultados foram: melhora dos sintomas respiratórios em todos os indivíduos, aumento do IMC em 88%, melhora do VEF1 em aproximadamente 80%, redução do cloreto do suor em 94%, ausência de eventos adversos graves.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos, com pelo menos uma variante F508del do gene CFTR , Positivo e facilidades: Mesmo em mutação nõa F508 del, cuja resposta foi documentada ao ETI, observamos melrofa da função pulmonar, redução das exacerbações, internações, melha digestória e metabólica, qualidade de vida. , Negativo e dificuldades: a im[possibilidade de ampliar o uso buscando a equidade de oferta do tratamento modificador real de doença.	3ª - Sim, Qual: dornase alfa. enzimas pancreticas, antibioticos inalados. , Positivo: Matem a estabilidade clinica , Negativo: Não reduzem exacerções e não interrompem ou retardam a progressão da doença.	4ª - O conjunto das evidências disponíveis demonstra que a ampliação do uso do ETI para indivíduos com variantes não-F508del representa uma evolução natural da terapêutica da fibrose cística. Nas crianças pequenas, o objetivo é interromper precocemente a cascata fisiopatológica antes da instalação de lesões pulmonares irreversíveis, aproveitando a janela de maior potencial de modificação da história natural da doença. Nos indivíduos com variantes não-F508del, estudos funcionais, séries de vida real, dados nacionais e a evolução das recomendações regulatórias internacionais mostram que a resposta ao ETI depende da responsividade da proteína CFTR, e não exclusivamente da presença da variante F508del. Em um país com elevada heterogeneidade genética como o Brasil, restringir o acesso apenas aos portadores da F508del perpetua uma importante iniquidade assistencial, incompatível com os princípios atuais da medicina de precisão e com as evidências científicas disponíveis.	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os pacientes que usam o modulador de terapia tripla, trikafta apresentaram resultados impressionantes, de grande impacto, com real mudança na vida das pessoas e de todos em seu contorno., , Os moduladores atuam na sua causa, e não apenas no controle dos sintomas. As evidências científicas demonstram benefícios relevantes, como melhora da função pulmonar, redução das exacerbações respiratórias e das internações, melhor estado nutricional e maior qualidade de vida. Além disso, o tratamento precoce pode retardar a progressão da doença e reduzir complicações fatais ou necessidade de trnasplantes pulmonares., , A incorporação dessa tecnologia ao Sistema Único de Saúde representa um investimento na saúde e na dignidade das pessoas com fibrose cística, promovendo maior equidade (também para pacientes que não possuem mutação phe508del mas que respondem ao medicamento) no acesso a tratamentos eficazes e oferecendo uma perspectiva de vida mais longa e com melhor qualidade para pacientes e suas famílias.	2ª - Sim, Qual: Medicamento modulador de cftr: elexacaftor+ tezacaftor + ivacaftor (trikafta), Positivo e facilidades: sou medicade um grande centro de referencia em Fibrose Cistica na cidade de São Paulo e meus pacientes utilizaram a medicação por mais de um ano com seguintes resultados:, 1. paciente com mutação R1066C: feminino, 33 anos que não conseguia permancer em domicilio por mais de 15 dias, devido quadro pulmonar avançado, internou mais de 10 vezes em um ano. Ao iniciar medicação, permanceu em domicilio, sem internação por mais de um ano, reduziu uso de oxigenio de 24 horas para apenas durante a noite e conseguiu tempo pois estava em fila de transplante pulmonar e seu orgão chegou., 2. paciente feminina com mutação n1303k + G85E, nunca mais internou após inicio da medicação. Estava desnutrida e apresentou 7.4 Kg em um ano, normalizando seu imc e curva de desenvolvimento., 3.paciente masculino com mutação A561E, 15 anos: estabilizou função pulmonar, com ganho de peso mais de 3 kg em 1 mes (mais de 15% do seu peso corporal). , Em geral pacientes pararam de perder função pulmonar e melhoraram espirometria em mais de 10 - 20% de VEF1, ganharam peso, retiraram ou diminuiram necessidade de o2, não necessitaram de novas internações., A melhora foi em nivel fisico (mais atividades diarias, trabalho e escola), emocional (carga emocional de possuir doença sem cura e fatal), financeira (pacientes tornaram-se mais produtivos, com menor gasto em saude como internações, oxigenio, outras terapias de alto custo como antibioticos inalatorios), Negativo e dificuldades: não houve aspectos negativos.	3ª - Não	4ª - Evidências em mutações raras: Além do estudo randomizado, existem estudos observacionais envolvendo mutações raras como:, N1303K e Outras mutações classificadas como responsivas após testes funcionais., Os estudos mostram: melhora da função pulmonar, redução do cloreto no suor, ganho nutricional, perfil de segurança semelhante ao já conhecido., Estudos, - 1. Elexacaftor/-Tezacaftor/-Ivacaftor for Cystic Fibrosis and Rare CFTR Variants: In Vitro Translation to a Phase 3, Double-Blind, Randomized, Placebo-Controlled Trial, And real-World Study., American Journal of Respiratory and Critical Care Medicine. 2026. Castellani C, Mondejar-Lopez P, Van Goor F, et al, - 2. The Expanded French Compassionate Programme for Elexacaftor-Tezacaftor-Ivacaftor Use in People With Cystic Fibrosis Without a F508del CFTR Variant: A Real-World Study., The Lancet. Respiratory Medicine. 2024. Burgel PR, Sermet-Gaudelus I, Girodon E, et al., - 3. The Clinical Effectiveness of Elexacaftor/-Tezacaftor/-Ivacaftor (ETI) for People With CF Without a F508del Variant: A Systematic Review and Meta-Analysis., Journal of Cystic Fibrosis : Official Journal of the European Cystic Fibrosis Society. 2024. Lupas D, Chou FY, Hakani MAA, et al.	5ª - Neyt M, Vlayen J. Trikafta® for the treatment of patients with cystic fibrosis: an exploratory economic evaluation. Federal Office of Public Health (FOPH), Suíça, 2024.

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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essencial para pacientes com fc	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Foi uma medicação revolucionária para os pacientes com fibrose cística. Mas infelizmente é muito cara, que seria impossível manter sem auxilio do governo.	2ª - Sim, Qual: O meu filho já fez uso do orkambi e no momento utiliza o trikafta, Positivo e facilidades: Houve uma melhora no resultado do teste do suor, diminuição das infecções respiratórias e ele finalmente conseguiu retirar a gastrostomia que usava desde a infância. , Negativo e dificuldades: Desconheço pontos negativos	3ª - Sim, Qual: O meu filho fez uso do orkambi, Positivo: Melhora nos episódios de infecção respiratória , Negativo: Não percebi pontos negativos	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Fibrose Cística no Brasil não pode continuar sendo tratada apenas em suas consequências (infecções, bronquiectasias e falência pulmonar). O ETI é uma terapia modificadora de doença que ataca a causa molecular. A recomendação desfavorável da CONITEC foca na incerteza econômica, mas ignora o custo da inércia: internações de alto custo, uso prolongado de antibióticos venosos e a fila de transplante pulmonar — que gera gastos catastróficos ao Estado. A incorporação garante equidade e eficiência, movendo o SUS do suporte paliativo para a medicina de precisão. O REBRAFC já é uma realidade que permite monitorar a efetividade e garantir que o recurso público seja bem aplicado.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor na população interessada , Positivo e facilidades: "Na prática clínica, observamos que o ETI não é apenas para o ""paciente de livro"". Vemos melhoras drásticas em pacientes com variantes raras e ultrarraras, mesmo sem a mutação F508del. A ciência moderna, validada pela ANVISA, FDA e EMA, reconhece que ensaios funcionais ex vivo e dados de mundo real são soberanos onde ensaios clínicos de larga escala são impossíveis pela raridade da mutação., Tenho acompanhado pacientes que recuperaram a função pulmonar (VEF1) de forma impressionante, ganharam peso e, o mais importante, zeraram as exacerbações. Para quem tem variantes raras, o ETI é a única chance de evitar o declínio progressivo. Negar o acesso baseando-se na ausência de grandes estudos randomizados para cada mutação específica é ignorar o mecanismo de ação da droga e o sucesso da medicina baseada em evidências de mundo real. O benefício é tangível: o paciente sai da vida ao redor dos remédios e volta para a faculdade ou para o trabalho.", Negativo e dificuldades: A dificuldade e a intermitência do acesso prejudicavam muito os pacientes. Ter acesso contínuo é fundamental.	3ª - Sim, Qual: O tratamento padrão (alfadornase, atb inalatorio, pancreatina, etc), Positivo: São fundamentais. Mas não resolvem o problema - é como enxugar gelo. , Negativo: Não resolvem o problema	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muito importante para a saude das pessoas.	2ª - Sim, Qual: Minha colega de trabalho, após utilizar o medicamento tem outra condição de vida, muito melhor e saudável. , Positivo e facilidades: Ela tem menos infecções, não fica tanto tempo internada, tem condições de respirar melhor., Negativo e dificuldades: Não percebi nenhuma	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Manifesto-me favoravelmente à ampliação da incorporação do modulador CFTR elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor no SUS, de modo a contemplar não apenas os homozigotos ou heterozigotos para a mutação F508del, mas todas as demais mutações elegíveis e formalmente aprovadas em bula pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Como coordenadora de um Centro de Referência que acompanha mais de 100 pacientes adultos com Fibrose Cística, vivenciei a transição do acesso a esta tecnologia: inicialmente por via judicial e, posteriormente, por meio da incorporação ao SUS para os portadores da mutação F508del. A experiência clínica acumulada em nosso serviço ratifica o caráter modificador do curso da doença que esta terapia representa., Os resultados observados no ""mundo real"" em nosso centro de referência são contundentes e alinham-se aos ensaios clínicos internacionais. , Do ponto de vista bioético e de equidade do SUS, não há justificativa técnica ou clínica para a manutenção da restrição de acesso baseada exclusivamente na mutação F508del, quando a própria agência regulatória nacional (Anvisa) reconhece o benefício e a segurança do medicamento para mais de 200 outras mutações. Restringir o acesso a esses pacientes perpetua a necessidade de judicialização, gera desigualdade assistencial e nega o direito à saúde integral a indivíduos que compartilham do mesmo potencial de resposta terapêutica."	2ª - Sim, Qual: Tenho bastante experiência com a medicação elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor tanto em pacientes com a mutação F508del como com essas mutações raras em avaliação de incorporação (nesse caso, os pacientes obtem de forma judicial ou através de doações - “vaquinha”). A resposta terapêutica é excelente e de nada difere da indicação atual aprovada pela conitec (indicação exclusiva para portadores de mutação F508del), Positivo e facilidades: '- Todos os pacientes que dependiam de oxigenoterapia domiciliar, ventilação não-invasiva ou suporte nutricional por gastrostomia apresentaram melhora clínica suficiente para suspender essas terapias de suporte., - Pacientes que se encontravam em lista ativa de transplante pulmonar recuperaram estabilidade clínica e funcional, permitindo sua remoção da lista de espera., - Houve ganho significativo da função pulmonar (VEF1), melhora do status nutricional (IMC) e redução drástica no número de exacerbações respiratórias e internações hospitalares., Negativo e dificuldades: Alteração leve e transitória de provas hepáticas em pouquíssimos pacientes	3ª - Sim, Qual: As medicações clássicas para fibrose cística (alfadornase, pancreatina, vitaminas, suplementos nutricionais...) e não se igualam ao trikafta, pois essas primeiras opções atuam apenas nas consequências da progressão da doença e não na proteína disfuncionante., Positivo: melhor controle de sintomas , Negativo: a doença é sempre progressiva com as terapias clássicas e antigas da fibrose cística, diferente do trikafta que age na evolução natural da doença	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos nós devemos ter direito a saúde e so com a medicação isso será possível.Tenho vizinha que usa a medicação emelhorou muito sua saúde.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe de um menino portador de Fibrose Cística, de 22 anos. Meu filho iniciou o tratamento há 20 anos, quando todo o tratamento disponível era apenas para auxiliar nos sintomas causados. Mesmo realizando o tratamento corretamente, víamos a doença progredir cada vez mais. Isso era desesperador. O tratamento consistia em muitos antibióticos, orais e inalatórios, anti-inflamatórios, enzimas, vitaminas, fluidificantes, e também muitas vezes a internação era necessária. Era uma preocupação muito grande para toda a família. Ao iniciar o tratamento com o Trikafta (Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), tudo mudou rapidamente. Os sintomas desapareceram, os medicamentos foram, em sua maioria, se tornando desnecessários, devido à grande eficiência do Trikafta. Hoje meu filho tem uma vida normal, trabalha, pratica esportes, e toma apenas o Trikafta, as enzimas e vitaminas. Sua vida melhorou indiscutivelmente. Hoje ele vive muito feliz e muito mais tranquilo., Considero importantíssima a incorporação desse medicamento no SUS visando beneficiar os pacientes portadores de uma mutação que também seja responsiva, pois em muitos casos, essa é a única esperança de uma melhor qualidade de vida à essas pessoas, que já sofreram tanto com a Fibrose Cística. , Há muitas pessoas em estado grave aguardando a liberação dessa nova tecnologia, para poder ter a chance de continuar vivendo. , Saúde é um direito de todos. E ninguém merece sofrer as consequências graves por não ter acesso à um medicamento tão importante e comprovadamente eficiente, que vem mudando a vida de tantas pessoas. ,	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Ao iniciar o tratamento com esse novo medicamento, tudo mudou rapidamente. Os sintomas desapareceram, os medicamentos foram, em sua maioria, se tornando desnecessários, devido à grande eficiência do . Hoje meu filho tem uma vida normal, trabalha, pratica esportes, e toma apenas o Trikafta (Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), as enzimas e vitaminas. Sua vida melhorou indiscutivelmente. Hoje ele vive muito feliz e muito mais tranquilo., Negativo e dificuldades: Não houve aspectos negativos.	3ª - Sim, Qual: Antibióticos orais e inalatórios, anti-inflamatórios, fluidificantes, enzimas pancreáticas, vitaminas, entre outros., Positivo: Esses medicamentos de base apenas visam controlar os sintomas da doença., Negativo: Esses medicamentos apenas controlam os sintomas da doença, não evitando a sua progressão.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu trabalho com uma professora que possui a fibrose e antes do medicamento ela teve diversas crises, precisou ficar na UTI, tossia com muita secreção. Após a medicação ela raramente necessita faltar ao trabalho, parece muito melhor, não demonstra falta de ar e percebo que o medicamento foi essencial para sua melhora.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma pessoa que faz o uso trikafta. Antes do uso ela tinha tosses constantes, falta de ar, internações recorrentes e, por quase, não saiu do hospital várias vezes, ficando em estado grave. Vivia na base da fé e intervenções médicas nos hospitais. , Após o uso da medicação, ela melhorou muito a qualidade de vida, mesmo com as limitações consegue trabalhar, viver melhor e aumentou a expectativa de vida mediante a uma doença tão triste que é tratada com o remédio.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho mt importante para a qualidade de vida das crianças	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Há evidências de bom resultado clínico com o uso da medicação, melhorando os sintomas, diminuição das intercorrências e complicações e diminuição do uso do sistema de saúde. Sou profissional da saúde e acompanho o crescimento e evolução de criança com fibrose cística com mutação rara a que se refere esta consulta e sou testemunha do benefício. Vale salientar o grande compromisso das famílias no cuidado dessas crianças, significando que o investimento público no custeio dessas medicações será plenamente revertido em cuidado. Não deverá se caracterizar por desperdício de recursos, mal utilizados por outros tipos de pacientes que não aderem fielmente a seus tratamentos. Trata-se de melhora exuberante da qualidade de vida dessas crianças que, de outra forma, não terão acesso ao tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu tenho uma amiga que descobriu essa doença, antes de usar essa medicação ela vivia internada, não conseguia trabalhar, tossia muito, depois que ela começou a usar a medicação ela parou com a tosse e está conseguindo trabalhar, ter uma vida mais digna.	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 **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considerando o custo estimado, embora os relatórios preliminares da Conitec tenham apontado elevada razão de custo-efetividade e expressivo impacto orçamentário, entende-se que o modelo ainda subestima parte do valor clínico, assistencial e social da tecnologia, ao não captar integralmente a carga evitável de complicações decorrentes da fibrose cística. Além dos custos diretos relacionados às exacerbações, internações e procedimentos, a doença impõe expressiva sobrecarga às famílias e aos cuidadores, que frequentemente necessitam de acompanhamento psicológico em razão do desgaste emocional associado ao cuidado contínuo. Soma-se a isso a necessidade de comparecimento frequente a consultas, sessões de fisioterapia respiratória, exames e outros procedimentos, o que leva muitos responsáveis a reduzirem ou interromperem suas atividades laborais, com repercussões econômicas e sociais significativas. A redução da progressão da doença e da frequência dessas intervenções, proporcionada pelo tratamento precoce, tem potencial para diminuir essa carga assistencial e psicossocial, promovendo benefícios que extrapolam os desfechos clínicos individuais e alcançam maior eficiência na utilização dos recursos do sistema de saúde e melhoria da qualidade de vida das famílias. A SESPA é favorável à incorporação da tecnologia elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos, com pelo menos uma variante não-F508del do gene CFTR que seja responsiva ao medicamento, mediante negociação de melhores valores associados aos custos de aquisição visto os dados da avaliação econômica apontados no relatório preliminar e que podem comprometer a sustentabilidade do SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha amiga de trabalho antes de usar o trikafta vivia tossindo, com febre altíssima, internações frequentes, prostrada, mal conseguia ir trabalhar. Depois da medicação ela não fica mais internada, trabalha normalmente e tem uma qualidade de vida muito boa.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento é importantíssimo para quem tem fibrose cística pois ela age diretamente na doença diminuindo as exarcebacoes e internações melhora o ganho de peso e estatura e evita da doença progredir	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/ tezacaftor/ ivacaftor , Positivo e facilidades: Ganho de peso e estatura, aumento do apetite , diminuição das exarcebacoes e internações, a pessoa passa a ter uma vida praticamente normal., Negativo e dificuldades: Nenhuma aspecto negativo	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do Trikafta ao SUS é de suma importância, dada a gravidade da fibrose cística (FC), doença genética, rara e sem perspectiva de cura, que leva a deterioração dos pulmões e a morte precoce de seus portadores., Até o surgimento dos moduladores, dentre eles o Trikafta, os medicamentos disponíveis no SUS para o tratamento dos portadores de fibrose cística ajudavam apenas no controle dos sintomas da doença, como as infecções pulmonares, pois, embora os mucolíticos e as sessões de fisioterapia diárias contribuam para a retirada do muco, não impedem a progressão doença e a deterioração dos órgãos, em especial os pulmões, um dos mais afetados., O Trikafta, por sua vez, atua na causa da doença, corrigindo o defeito da conformação da proteína bem como a disfunção do canal de cloreto da fibrose cística - CFTR - na superfície celular, ou seja, age corrigindo o funcionamento do CFTR e o transporte de íons, sal e água para dentro e para fora das células. Atua na causa da tríade obstrução-inflamação-colonização, interrompendo a deterioração pulmonar, além de permitir ganho da função pulmonar, redução das exacerbações e ganho de peso. , Nos anos que antecederam ao Trikafta a notícia mais frequente nos canais de comunicação de portadores de FC, de seus cuidadores e das associações (como Whatssap e Instagran), era de óbitos, ocorridos em virtude do agravamento da doença, na maior parte, mais de um por semana, apenas no estado de Santa Catarina. Era entristecedor, e desesperador., Com o Trikafta tudo mudou. Não se tem mais notícias de óbitos. O que se ouve agora são relatos de melhora, de alegria, de pessoas que passaram a ter uma vida praticamente normal, em muitos casos, inclusive, sem necessidade do uso de outros medicamentos., É isso que o Trikafta proporciona aos portadores de FC. A VIDA.	2ª - Sim, Qual: A experiência que tenho com modulares é com o Trikafta. Minha filha tem a variante R1066H, inclusa dentre as 271 variantes que está em avaliação e desde o início de 2024 tem feito uso do medicamento, não continuamente, pois só tem acesso ao que recebe por doação., Positivo e facilidades: O Trikafta mudou totalmente a vida da minha filha, ela estava referenciada para o transplante de pulmão, apresentando, em meados de 2023, um VEF1 de 38%, que, no início de 2024, caiu para 27,1%. Nesse momento, o médico da equipe de FC que a acompanha, considerando que a variante R1066H já estava incluída na bula da FDA como responsiva ao Trikafta, receitou o medicamento e ela passou a utilizá-lo em doses reduzidas, tendo em vista que as doses eram poucas, pois recebidas através de doações. Em uma semana de uso do Trikafta o VEF1 dela passou para 56,3% e, em um mês, para 68,2%. Desde então, tem se mantido assim, com exceção de alguns períodos em que não consegue doações. O que é muito triste, pois a falta do medicamento faz com que o VEF1 reduza rápida e drasticamente., Sem o uso do Trikafta minha filha, na época com 25 anos, já não conseguia fazer coisas simples, como levantar da mesa e levar o prato até a pia da cozinha depois de comer, pois comer demandava muito esforço e esgotava todas as suas forças. Ela vivia deitada. Cansava ao mínimo esforço. Subir alguns degraus de escada causava um cansaço extremo, falta de ar e tosse constante, muito produtiva, que muitas vezes provocava vômito., E não foi só a vida da minha filha que mudou, pois toda a família era afetada com as crises e internações constates. A preocupação contínua. O acordar à noite com ela tossindo e correr para o seu quarto, pois o catarro era tanto que as vezes parecia afogá-la. Era muito muco, espesso e pegajoso, com um odor muito forte e ruim, que parecia estar impregnado na casa., Com o Trikafta a tosse parou, as internações constantes cessaram, e ela retomou a vida. Estudar, trabalhar, ir a academia, ajudar nos serviços de casa, sair com os amigos. É isso, Trikafta para os portadores de FC, é SINÔNIMO de VIDA., Negativo e dificuldades: Não percebi nenhum ponto negativo relativo ao Trikafta, pelo contrário, minha experiência com o medicamento só tem aspectos positivos., Talvez o que possa ser relatado aqui, como negativo, seja o fato de o medicamento ainda não estar disponível para todos os portadores de FC elegíveis, ou seja, todos aqueles que tem, ao menos, uma das mutações dispostas na bula brasileira atual do fármaco.	3ª - Sim, Qual: Mucolítico (alfadornase), antibióticos para nebulização (tobramicina e colistimetato), antibióticos orais (ciprofloxacino, azitromicina), antibióticos injetáveis (amicacina, ceftazidima, tobramicina EV, gentamicina, meropenem), broncodilatadores, acetilcisteína, muvinlax, solução salina. Broncoscopias. Cirurgia para desobstrução intestinal causada pela FC. Internação em UTI. Submetida a sinusotomia e septoplastia com colocação de splint. Fisioterapias respiratórias., Positivo: Todos os tratamentos realizados foram importantes. Ajudaram a aliviar os sintomas causados pela FC. Auxiliaram na redução da tosse. Controlaram as infecções e as exacerbações, porém, momentaneamente. Não impediram o retorno das infecções e a progressão da doença., Negativo: Essas tecnologias, embora indispensáveis para o tratamento, não agem na causa da doença, são apenas tratamentos paliativos, que auxiliam na manutenção da limpeza dos pulmões e no controle das infecções. No entanto, não impedem que a doença progrida e continue causando a deterioração dos órgãos., Mesmo com as nebulizações e fisioterapias diárias, não é possível eliminar todo o muco dos pulmões e é aí que as bactérias oportunistas aparecem. E causam novas exacerbações, que levam a novas internações e a um novo ciclo de antibióticos. E cada nova exacerbação deixa uma marca nos pulmões, que leva a redução da capacidade pulmonar. E assim, sucessivamente, até que a única alternativa seja o transplante de pulmão, isso, se ainda for possível. Sem contar o tempo de espera para o surgimento de um órgão compatível, o risco de rejeição e as eventuais complicações que podem surgir.	4ª - De acordo com a bula do fármaco, a mutação R1066H foi objeto do Estudo 445-124, que foi um estudo de 24 semanas, randomizado, controlado por placebo, duplo-cego, de grupos paralelos em pacientes com 6 anos de idade ou mais. Os pacientes portadores de pelo menos uma mutação qualificada não-F508del no gene CFTR, responsiva ao IVA/TEZ/ELX (entre elas a R1066H) e que não apresentaram uma mutação de exclusão (outra mutação responsiva a IVA/TEZ/ELX) foram elegíveis para o estudo. Um total de 307 pacientes foi inscrito e dosado de acordo com a idade e o peso. Pacientes com idade ?6 a <12 anos, pesando <30 kg no início do estudo, receberam 100 mg de ELX uma vez por dia (qd)/50 mg de TEZ qd/75 mg de oIVA a cada 12 horas (q12h). Pacientes com idade ?6 a <12 anos, pesando ?30 kg no início do estudo, receberam 200 mg de ELX qd/100 mg de TEZ qd/150 mg de IVA q12h. Pacientes com idade ?12 anos no início do estudo receberam 200 mg de ELX qd/100 mg de TEZ qd/150 mg de IVA q12h. Os pacientes tinham um ppVEF1 ?40% e ?100% e idade igual ou superior a 6 anos na triagem. A média de ppVEF1 no início do estudo foi de 67,7% (variação: 34,0% a	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Qualidade e expectativa de vida aos pacientes	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Melhorada respiração e melhora na função pancreática , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Estes novos medicamentos estão sendo maravilhosos.	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Ganho de massa corporal e estatura , Negativo e dificuldades: Algumas alergias e o valor de quiser adquirir de forma particular.	3ª - Sim, Qual: Tratamento básico de fibrose ciática. , Positivo: Auxiliava, mas não o suficiente. , Negativo: Sempre com baixa imunidade e doenças respiratórias.	4ª - Redução de exercícios respiratórios, com melhora de resultados dos exames.	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Precisa que seja incorporado no sus porque é um medicamento necessário e que melhora significativamente a vida dos pacientes, tenho dois filhos que fazem uso dessa medicação e após o uso a doença estacionou e passaram a ter melhores condições de vida.	2ª - Sim, Qual: Trikafita , Positivo e facilidades: A partir do uso da medicação a doença estacionou e os resultados foram muito positivos, havendo uma melhora significativa na saúde e na qualidade de vida , Negativo e dificuldades: O ganho de peso, nad pode ser acompanhado e estacionar.	3ª - Sim, Qual: Pulmosyme, creon, nasonex, Positivo: A melhora temporaria dos sintomas . , Negativo: Melhora dos sintomas temporário, mas não estaciona a doença ou seja a doença é progressiva e só o trikafita tem o poder de estacionar	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho duas filhas adultas em uso do Trikafta. Vejo a grande evolução que aconteceu na vida delas e sei quanto sofrimento ainda estão passando os pacientes que poderiam se beneficiar desta tecnologia. A pessoa com fibrose cística tem um mal funcionamento do seu organismo desde o primeiro minuto de vida. Cada um com sua história particular, tem uma vida repleta de idas ao pronto socorro, complicações respiratórias, internações, procedimentos como broncoscopia, reduzida expectativa de vida, restrições por estar sempre doente e exclusão em algum nível na sua vida social. Ver a sua saúde ir piorando a cada ano, a vida cada vez mais limitada, a desesperança, as complicações cada dia piores, leva a uma vida traumática e saúde comprometida pra sempre quando isso poderia ser evitado. Negar o tratamento é desrespeitar o direito à saúde, garantido na Constituição Nacional vigente, a todo os	2ª - Sim, Qual: Uso do Trikafta adulto., Positivo e facilidades: Os resultados positivos foram inacreditáveis. Minhas filhas tossiam muito durante toda a vida, faziam 4 inalações diárias SEMPRE. Tinham muitas dores devido a tanta tosse (na garganta e nos músculos do tórax). Faziam 2 sessões de fisioterapia por dia desde os 2 anos de vida. Viviam uma rotina muito corrida diariamente para que pudessem frequentar a escola e ter um mínimo de vida social normal. Muitas vezes nem tinham tempo para fazer todas as lições devido ao tempo dedicado às rotinas de tratamento. , Como num passe de mágica, toda essa situação simplesmente desapareceu em três dias de uso do Trikafta., Disposição física, respiração leve e profunda, condições de andar, correr, fazer atividades físicas no geral, bom apetite garantindo uma melhor alimentação. Frequência constante nas atividades escolares. Uso esporádico de antibiótico. Redução drástica nas consultas no centro de tratamento especializando passando de bimestral para semestral. Retirada de todas as inalações e sessões de fisioterapia devido a ausência de secreções nas vias respiratórias. Ir ao pronto socorro se tornou um fato muito raro sendo uma ou duas vezes ao ano. Dificilmente fica doente. Faz exames de acompanhamento anuais apenas., Plenas condições de trabalhar e cumprir seus deveres como se a doença não existisse mais., , Negativo e dificuldades: NÃO HOUVE nenhum aspecto negativo identificado na saúde e na rotina das minhas duas filhas., Sabemos que o preço da medicação é alto, porém o governo tem a possibilidade de viabilizar a produção da medicação a nível nacional a partir de quebra de patente ou qualquer outra possibilidade., INACEITÁVEL é negar a um cidadão o direito de ser tratado quando a medicação já existe disponível e em uso no país. É respeitar o direito de viver bem, de ter acesso à saúde com qualidade de vida, ter expectativa de vida, ser um cidadão pleno no cumprimento do seu dever, no exercício da sua vida em sociedade., ,	3ª - Sim, Qual: Uso de Pulmozyme (fluidificante inalatório), tobramicina inalatória, colistimetato de sódio inalatório, enzimas pancreáticas, uso de vários tipos de antibióticos diferentes de via oral ou endovenoso durante as internações com períodos de 10 a 14 dias., Uso de predinisona oral, budesonida spray, antialérgico, vitaminas específicas para quem tem dificuldade de absorção de vitaminas hipossolúveis, suplementos alimentares para manter um quadro nutricional minimamente aceitável pois as infecções pulmonares constantes exigem muito da saúde geral do organismo em constante luta pela sobrevivência., , Positivo: As minhas filhas usavam essas tecnologias para enfrentar da melhor forma possível o sofrimento constante e diário que viviam. Porém, a doença estava lá presente a cada passo, em cada inspiração pesada, em cada noite mal dormida, em cada atividade que não era possível participar devido à indisposição de um organismo constantemente doente., Estas outras tecnologias são fundamentais para prolongar a vida dos pacientes FC que não são elegíveis ao uso do Trikafta, mas não impedem que a doença se desenvolva. Já o Trikafta significa estacionar o desenvolvimento da doença, reverter alguns comprometimentos pulmonares, levar o aparelho respiratório a um funcionamento normal e permitir que a pessoa tenha uma vida digna socialmente ativa e economicamente participativa (inclusive dos familiares e cuidadores)., , Negativo: Desenvolvimento de quadros de saúde mental devido ao sofrimento emocional de ter uma doença e viver diariamente doente. Ansiedade, depressão, falta de perspectiva de vida, dificuldade para dormir, tristeza ao ver a cada ano sua saúde piorar progressivamente., Prática diária de uma rotina de tratamento que envolvia de 4 a 6 horas de tratamentos diários para se sentir UM POUCO melhor. JAMAIS ter a sensação de estar bem.,	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tendo em vista que ajudará na qualidade de vida dos pacientes e ser uma forma de atender os preceitos constitucionais da nossa carta magna. Tendo em vista que essas novas tecnologias as vezes são muito caras.	2ª - Sim, Qual: Meu filho possui fibrose cística e começamos o tratamento quando ele tinha 3,5 meses de vida com o medicamento pancretanias (enzimas pancreaticas), solução salina e muita fisioterapia. Nesse período havia muitas internações por infecçoes pulmares decorrentes de pseudomonias e cepaceas. Com o passar do tempo fomos incorporando ao tratamento as seguintes medicações dispensadas pelo SUS: alfadornase, colistimetato de sódio, tobraminicina inalatoria, que ajudou muito no combates as bacterias citadas anteriormente. Com essa medicação ficamos cerca de 16 anos. Aos 16 anos foi incorporado a medicação Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor - trikafta combinado com alfadornase, enzimas e vitaminas ADEKAS e a melhora na qualidade de vida é extraordinaria., Positivo e facilidades: Melhoras nos exames, sem infecções respiratórias, sem falta de ar sem perda de peso. , Negativo e dificuldades: é a iteração medicamentosa que devemos ficar atento ao usar qualquer tipo de medicamento para que não haja alteração do efeito do fármaco.	3ª - Sim, Qual: ORKAMBI., Positivo: Melhoras nos exames, sem infecções respiratórias, sem falta de ar sem perda de peso. , Negativo: é a iteração medicamentosa que devemos ficar atento ao usar qualquer tipo de medicamento para que não haja alteração do efeito do fármaco.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada, para funcionar como uma ferramenta para auxiliar os pacientes e principalmente os profissionais da área.	2ª - Sim, Qual: pulmozyme, tobramicina, enzimas pancreatinas, colistimetato de sódio, dekas, orkambi, trikafta., Positivo e facilidades: percebi uma melhora significativa no ganho de peso, perda menos constante de fadiga e uma melhora significativa nos pulmões., Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A experiência já consolidada em pacientes com pelo menos uma variante F508del demonstrou benefícios clínicos expressivos do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, incluindo melhora da função pulmonar, redução do cloro no suor, redução de exacerbações pulmonares, melhora do estado nutricional e melhora da qualidade de vida. Esses desfechos são extremamente relevantes na vida real. A ampliação para mutações responsivas além da F508del possui respaldo científico e regulatório. Negar o acesso a pacientes com mutações responsivas significa manter uma desigualdade terapêutica entre pessoas com a mesma doença, muitas vezes com manifestações graves e progressivas, apenas por apresentarem variantes genéticas menos frequentes. Quando há evidência de responsividade, seja clínica ou laboratorial, a incorporação amplia a equidade no cuidado e oferece a esses pacientes a possibilidade de redução de exacerbações, internações, perda nutricional e piora progressiva da qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Sou médica pediatra e gastropediatra, atuando em um Centro de Referência em Fibrose Cística do SUS. Vivencio diariamente o impacto da fibrose cística na vida das crianças e de suas famílias. Na prática clínica, observamos que os pacientes em uso do ETI apresentam maior estabilidade clínica, menor necessidade de antibióticos, melhor evolução nutricional e grande impacto positivo para suas famílias. Esses resultados reforçam a expectativa de benefício também para pacientes com outras variantes responsivas., , REDUÇÃO DA MORBIMORTALIDADE., Negativo e dificuldades: Menor adesão ao uso de alguns medicamentos utilizados previamente devido a melhora clínica importante.	3ª - Sim, Qual: Mucolíticos, enzimas pancreáticas, suplementos, vitaminas, Positivo: Melhoria dos sinais e sintomas durante um período, Negativo: A falta de mudança na base do problema. Apesar da melhoria alncançada na tentativa de controle dos sinais e sintomas, os pacientes ainda apresentavam evolução da doença, com morbimortalidade.	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:
Pessoa com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Em minha opinião é muito importante que essa tecnologia seja incorporada ao SUS, pois vai proporcionar uma melhora expressiva na qualidade de vida de inúmeros pacientes que não possuem a variante F508del e que em sua grande maioria ainda não tem nenhum modulador disponível para uso. Falo por experiência própria pois me enquadro nesse caso e aguardo ansiosamente por um modulador disponibilizado pelo SUS.	2ª - Sim, Qual: Estou tento uma experiência com o uso do Trikafta que estou conseguindo por meio de doação dos pacientes que por algum motivo maior sobram o medicamento e doam para quem precisa. Por isso para mim é muito importante essa incorporação para que eu garanta a continuidade do meu tratamento e tenha uma melhor qualidade e expectativa de vida., Positivo e facilidades: Tive inúmeros pontos positivos com o uso desse modulador, como melhora da respiração e do exame de espirometria, que antes do início do Trikafta mostrava um VEF1 de 79% e apenas dois meses depois do início do uso aumentou para 91%., Negativo e dificuldades: Tive algumas reações adversas como manchas avermelhadas nos braços, mas que não geravam nenhum incômodo e episódios de dor nas articulações que desapareceram em alguns dias.	3ª - Não	4ª - Sim, como relatado anteriormente, tive uma melhora expressiva do exame de espirometria, que antes do início do Trikafta mostrava um VEF1 de 79% e apenas dois meses depois do início do uso aumentou para 91% conforme exame em anexo realizado no hospital onde faço meu acompanhamento da fibrose cística.	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu filho Bernardo, hoje com 5 anos , portador de fibrose cistica , faz todos os dias tratamentos, fisioterapia respiratória, uso de medicamentos e ainda assim tem a saúde e capacidade física limitada. Esperamos essa medicação, para que não só o meu filho Bernardo, mais todas as crianças com fibrose , possam ter um tratamento melhor , uma qualidade de vida mais saudável possam desfrutar da vida como ela deve ser vivida por todos . Assim como já tem ajudado as outras crianças com mais idade e que são portadores de fibrose cistica . Esperamos que essa medicação seja elegível, para que essas crianças, possa ser crianças, pois eles já sofrem demais com essa doença que não pediram para ter . Temos relatos de vários pais de crianças com fibrose que após o uso da medicação, a saúde das crianças melhorou bastante, dando mais alegria de viver para todos . Não só meu filho , mais todos os portadores de fibrose cistica estamos orando , para que essa medicação seja aprovada e elegível a todos , pois pode mudar vidas .	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Alfadornaze pulmozyme, Positivo: Ele impede o avanço de secreção no pulmao , mantendo mais controlado o nível de doença, não deixando a progredir rapidamente., Negativo: O aspecto ruim , é que ela não reduz o nível do pulmão comprometido . Ela somente tenta manter estável.,	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **06/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Eu gostaria de verdade que a tecnologia estivesse disponível para ontem, por ela já se provou mais q eficiente e já ajudou muitas pessoas com fibrose cística e sinceramente não vejo a hora do meu filho ter esse medicamento disponível, ele sempre interna por desidratação, tem muito dificuldade de ganhar peso e não consegue correr e acompanhar as crianças da idade dele. Com o medicamento tudo isso melhora. E sei que ele poderá ter uma vida ""mais normal"". Hj ele com 5 anos reclama do tempo q precisa ficar parado fazendo as fisioterapias, e ver ele não conseguindo fazer coisas, q seriam básicas pra outras pessoas, me dói muito o coração. Sei que a decisão é de vcs , mais eu gostaria muito que vcs pudessem liberar o remédio e mantê-lo nas farmácias do SUS pois nossas crianças, adolescentes e adultos precisam muito desse medicamento. Sei q somos a minoria, mais merecemos viver tanto quanto os demais, e um apelo de uma mãe q morre de medo de perder o filho, de não conseguir ver o filho construir sua própria família. E principalmente ver o filho ser criança. Desde já muito obrigada e por favor não nos abandonem e aguentamos ver mais nenhuma mãe ter que enterrar o filho, por causa da FC ."	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Alfadornaze pulmozyme , Positivo: Manteve meu filho estável, sem progresso no aumento de secreção do pulmão., Negativo: Ele manteve ele coma parte inferior do pulmão fechado, pois já estava quando começou a usar, ou seja ele não eliminou a secreção, apenas não deixou piorar	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho ki se Deus deu a Savedoria para q o homem chegasse a descoberta desse remédio e pra salvar vidas sem esecao para q todos possam se beneficiar com esse remédio, pq todas as vidas sai importante	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento contribui para aumentar a expectativa e a qualidade de vida de pessoas com fibrose cística. No entanto, por ter um custo muito elevado, seu acesso torna-se difícil para pessoas em situação de vulnerabilidade financeira. Sendo assim, sua incorporação ao SUS seria de extrema importância para garantir um tratamento mais acessível e justo a esses 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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento com os medicamentos ELX/TEZ/IVA em pacientes com mais de 6 anos deve ser disponibilizado sim pelo SUS pois esse é um período crítico e decisivo na vida dos pacientes com fibrose cística. O caso que acompanho da minha sobrinha com essa condição genética demonstra na prática isso, a falta de fome gerada por essa condição também é um fator decisivo no desenvolvimento e na imunidade. Os tratamentos tradicionais exigem muitos cuidados o que impede da família ter uma vida normal, impede que a mãe da criança trabalhe pois a rotina com nebulizações, fisioterapias, higienização do ambiente e roupas, e o fato de evitar o contato com pessoas para evitar a transmissão de bactérias que afetam os pulmões para evitar internações torna impossível manter qualquer forma de trabalho. Dessa forma nem a criança em desenvolvimento nem a família consegue ter qualidade de vida, sendo muito afetados financeiramente e psicologicamente, afinal a rotina de cuidados e a preocupação frequente gera necessidade de acompanhamento e tratamento psicológico para evitar a depressão nos pais da criança. Após iniciar o uso da trikafta a partir dos três anos de idade minha sobrinha teve melhoras significativas no apetite, consequentemente no crescimento, desenvolvimento e na imunidade. A qualidade de vida da família também se transformou ao ter mais tranquilidade com o melhor desenvolvimento da criança e mais contato com amigos e familiares.	2ª - Sim, Qual: Com a trikafta., Positivo e facilidades: Os impactos positivos não são apenas físicos, mas também emocionais e financeiros. A criança passa a se alimentar melhor, ter menos secreções. Isso impacta em menos consultas periódicas, melhor desenvolvimento físico e maior estrutura emocional e financeira familiar., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Empresa fabricante da tecnologia avaliada **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ELX/TEZ/IVA) é um medicamento modificador do curso natural da doença que atua na causa-base da fibrose cística e já é disponibilizado pelo SUS para pacientes com seis anos de idade ou mais e pelo menos uma variante F508del. A ampliação do uso desse medicamento para pacientes com pelo menos uma das 271 variantes não-F508del responsivas na mesma faixa etária garante a igualdade na atenção à saúde dos pacientes com fibrose cística no país.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - No documento anexo, apresentam-se argumentos que reforçam o baixo risco de viés e a alta certeza da evidência do ensaio clínico randomizado VX20-445-124. Também foram incluídos um relato do Registro Alemão de fibrose cística, bem como novas publicações revisadas por pares, dentre elas a experiência brasileira com ELX/TEZ/IVA para pacientes com variantes não-F508del, que demonstram a alta efetividade e segurança do medicamento.	5ª - No documento anexo, são apresentados os resultados atualizados do modelo de custo-efetividade e de impacto orçamentário conforme a nova proposta de preço enviada pela Vertex. Os resultados demonstram que é alcançada isonomia na disponibilidade a pagar com relação à população já atendida pelo SUS (pacientes com pelo menos uma variante F508del e seis anos de idade ou mais).
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos tem o direito de tomar remédios	2ª - Sim, Qual: Remédio para doença rara fibrose cistica. Trikafta , Positivo e facilidades: Meu filho começou a tomar, ele cresceu, ele engordou e melhor condições de saúde , Negativo e dificuldades: Não tenho que reclamar,a a não ser que crianças menores que 5 anos ainda com conseguem o remédio pelo sus	3ª - Não	4ª - Todos devem ter direito a remédios pelo sus	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe do Pedro Henrique, portador de fibrose cística com as seguintes mutações: N1303K e 1507DEL. Iniciei a terapia triplo moduladora no meu filho aos 7 meses de idade e desde então voltamos a ter vida., Pedro Henrique ao nascer não evacuou no tempo espero, e dai veio a noticia que iriamos ter que operar o nosso bebe por conta de uma obstrução intestinal. Na minha familia a 12 anos atrás, nasceu um bebê com o mesmo relato e veio a óbito depois de passar por 5 cirurgias, desde então depois dessa noticia, começou o grande desespero. Ficamos por quase 60 dias internados sem saber ao menos o que o Pedro pudesse ter, já que todos os exames estavam normais, até mesmo o teste do pezinho, com dois exames seguidos e negativo para Fibrose Cistica. Nosso diagnóstico veio através do teste genético solicitado por um médico que contratamos fora da maternidade., Pois bem, ao uma reconstrução aos 6 meses de idade, e não termos tido sucesso, por conta de complicações no pós operatório, sepsemia e parada cardíaca, nesse momento eu vi a necessidade do meu filho em começar a terapia com o medicamento, mas sem auxílio médico, ficaria dificil. Depois de 30 longos dias, tivemos alta e com o passar do tempo, a situação pulmonar do Pedro só complicava, eram dias de muita tensão, peito chiando 24 hrs, noites acordadas com ele no colo, pois deitado ele não conseguia respirar, obstruções intestinais recorrentes, inúmeras fisioterápias semanais, 4 a 5 nebulizações por dia e nada parava aquele chiado no peito dele. , Foi então que eu decidi fazer os exames principais, para iniciar a terapia moduladora por conta própria, fui julgada, mal falada e por ai vai. Naquele momento nada mais importava, somente a vida do meu filho., Iniciamos a terapia no Pedro e com menos de duas semanas, tivemos uma melhora significativa, pela melhora do meu filho e de outras crianças, eu acho válido a incorporação do Trikafta no Sus para crianças de 2 a 5 anos.	2ª - Sim, Qual: Terapia Moduladora, Trikafta, Positivo e facilidades: Inúmeros., Melhora na qualidade de vida., Pudemos voltar a ter uma rotina normal sem nebulizações interminavéis., Não precisamos mais de fisioterapia respiratória., Zero chiado no pulmão, Ganho de peso, Negativo e dificuldades: Nenhum.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Trikafta comprovadamente melhora muito as condições de saúde de quem tem FC. Sou pai de uma menina de 6 anos com FC. Ela não possui atividade pancreática alguma, o que significa que ela precisa ingerir enzimas pancreáticas em todas as refeições. Se ela tivesse recebido Trikafta desde bebê, provavelmente seu pâncreas tivesse se recuperado. De acordo com os médicos que a acompanham, com a atual idade dela, o pâncreas muito provavelmente nunca mais irá se regenerar. E o efeito em cascata é inevitável. Pâncreas inoperante, piora e muito a absorção de nutrientes, fazendo a pessoa ficar mais fraca. Pessoas mais fracas, com imunidade mais baixa, tendem a contrair mais doenças, especialmente pulmonares, o que pode acarretar em complicações no pulmão, internações frequentes, contribuindo ainda mais sobre o sistema de saúde já sobrecarregado no Brasil. Além disso, essas pessoas tendem a ter mais dificuldade para se colocarem no mercado de trabalho, o que acaba agravando e criando novos problemas socioeconômicos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento essencial no tratamento de fibrose cística	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trabalho com uma pessoa e compreendo a dificuldade que ela passa	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que o Trikafta precisa ser fornecido aos pacientes com mutações raras, não elegíveis, mas que, respondem bem ao tratamento com Trikafta., Meu filho tem 36 anos e tem a mutação delta F508 homozigoto. Ele iniciou o tratamento com Trikafta em, 2024 e foi uma mudança incrível na saúde dele e consequentemente em toda a sua vida., Fico imaginando se meu filho tivesse uma mutação rara, não elegível, e respondesse bem à medicação e, não pudesse ter acesso à ela. Seria como se ele fosse condenado à morte precocemente, porque é uma, sentença de morte, sem dúvida, para uma pessoa que teria possibilidade de continuar vivendo e com uma, qualidade de vida muito melhor que a atual., Um paciente adulto, como aconteceu com o meu filho, vive contando, a cada dia com a possibilidade de, uma medicação que mude a sua situação de saúde., Mesmo que o paciente não obtenha 100% dos benefícios que uma mutação elegível possa alcançar,, mesmo assim a mudança pode ser tão significativa, a vida pode melhorar tanto e mudar completamente a, sua expectativa de vida., Eu tenho 36 anos de convivência com a Fibrose Cística, já presenciei muitas perdas. A dor é muito, grande. Imaginem quão maior será o sofrimento para aqueles que perderam seus entes queridos que, poderiam ter suas vidas preservadas e com qualidade, se tivessem tido a oportunidade de acesso ao, Trikafta.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Meu filho iniciou o tratamento com o Trikafta em abril de 2024., Sua função pulmonar melhorou 14 pontos, Parou de tomar antibióticos, não teve mais tosse. Ganhou peso, passou a dormir durante toda a noite., Não houve qualquer alteração hepática, sem alergias. Também não teve insônia ou ansiedade., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Orkambi, Positivo: Ela trouxe benefícios à saúde do meu filho, mas o Trikafta é incomparavelmente melhor., Negativo: Não teve.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do Trikafta para pacientes com 6 anos ou mais que possuem variantes responsivas do gene CFTR., , Como responsável por um bebê de 5 meses diagnosticado com fibrose cística, passei a compreender o impacto que essa doença tem sobre a vida dos pacientes e de suas famílias. A cada consulta, exame e tratamento, fica evidente que a fibrose cística é uma doença progressiva e que o tempo é um fator determinante para preservar a saúde e a qualidade de vida., , Acredito que pacientes com variantes responsivas não devem ter seu acesso ao tratamento limitado apenas porque possuem mutações menos frequentes. Quando existem evidências científicas que demonstram benefício clínico para essas variantes, é importante que o SUS ofereça acesso de forma equitativa., , A incorporação do Trikafta representa mais do que um novo medicamento. Ela oferece a possibilidade de reduzir a progressão da doença, diminuir internações, preservar a função pulmonar e proporcionar melhor qualidade de vida aos pacientes e às suas famílias. Além do benefício individual, esse investimento pode reduzir a necessidade de tratamentos de maior complexidade no futuro., , Espero que a decisão da CONITEC considere tanto as evidências científicas quanto o impacto humano dessa doença. Para as famílias que convivem diariamente com a fibrose cística, cada oportunidade de retardar sua progressão representa mais saúde, mais esperança e um futuro melhor.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - As evidências científicas demonstram que o Trikafta é altamente eficaz na restauração da função da proteína CFTR em pacientes com variantes responsivas. Além dos estudos clínicos realizados em pacientes com a variante F508del, a ampliação da indicação para variantes raras baseia-se em uma abordagem científica que integra ensaios funcionais *in vitro*, dados farmacológicos, conhecimento do mecanismo de ação do medicamento e evidências clínicas disponíveis., Os estudos *in vitro* demonstram que o Trikafta aumenta significativamente a atividade da proteína CFTR em diversas variantes responsivas, permitindo prever benefício clínico mesmo quando não é possível realizar grandes estudos clínicos devido ao pequeno número de pacientes com cada variante. Essa estratégia é reconhecida por importantes agências regulatórias internacionais para doenças raras., Os benefícios clínicos observados com o Trikafta incluem melhora da função pulmonar (ppFEV1), redução das concentrações de cloro no suor, diminuição da frequência de exacerbações pulmonares, melhora do estado nutricional e da qualidade de vida relacionada à saúde. Evidências de mundo real também confirmam que esses benefícios são mantidos após a introdução do tratamento na prática clínica., Considerando que a fibrose cística é uma doença genética rara, progressiva e potencialmente fatal, limitar	5ª - Embora o Trikafta tenha alto custo de aquisição, sua avaliação econômica deve considerar os benefícios de longo prazo. Ao modificar a história natural da fibrose cística, o tratamento pode reduzir exacerbações pulmonares, internações, uso de antibióticos e outras complicações, diminuindo a utilização de recursos do SUS ao longo da vida., , A análise econômica também deve levar em conta que a fibrose cística é uma doença rara, grave e progressiva. Além disso, estratégias como negociação de preços e acordos de compartilhamento de risco podem contribuir para tornar a incorporação mais sustentável, sem comprometer o acesso dos pacientes a uma terapia modificadora da doença., Referências, * Relatório Preliminar da CONITEC sobre o Trikafta para pacientes com 6 anos ou mais portadores de variantes responsivas do gene CFTR., * Diretrizes Metodológicas da CONITEC para Avaliação Econômica e Análise de Impacto Orçamentário.,

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:
				o acesso apenas às variantes mais frequentes pode privar pacientes com variantes responsivas de uma terapia modificadora da doença, apesar da existência de evidências científicas que sustentam seu benefício., , Referências, 1. Taylor-Cousar JL, Mall MA, Ramsey BW, et al. *Clinical development of elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor for cystic fibrosis: from genotype to improved outcomes*. **The Lancet Respiratory Medicine**. 2023., 2. U.S. Food and Drug Administration. *Determination of CFTR mutations responsive to Trikafta based on in vitro data*., 3. European Medicines Agency. Avaliação regulatória do Trikafta e ampliação das indica	

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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O MEDICAMENTO EM ANÁLISE É O ÚNICO CAPAZ DE CONTROLAR A PROGRESSÃO DA FIBROSE CÍSTICA, BEM COMO REVERTER ALGUNS DANOS QUE A DOENÇA JÁ PROVOCOU À SAÚDE DO PACIENTE. PERMITINDO ASSIM UMA EXPECTATIVA DE VIDA MAIOR, ALÉM DE PERMITIR AO PACIENTE, UMA VIDA MUITO PRÓXIMA DO NORMAL, TORNANDO-O MAIS ATIVO SOCIALMENTE E REDUZINDO DRASTICAMENTE INTERNAÇÕES E COMPLICAÇÕES LIGADAS À FC, , O VALOR IMPREGADO EM CADA CAIXA DE TRIKAFTA@ REVERTE EM MENS GASTOS HOSPITALARES, SAÚDE MAIS ESTAVEL, UMA PESSOA E UMA FAMÍLIA QUE IRÁ ESTUDAR, TRABALHAR E CONTRIBUIR MAIS COM A ECONOMIA DO PAÍS.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: MEU FILHO É PORTADOR DE FIBROSE CÍSTICA, DIAGNOSTICADO NO TESTE DO PEZINHO, INICOU O TRATAMENTO AOS 11 ANOS, MOMENTO EM QUE A DOENÇA JÁ COMEÇAVA A AFETAR A SUA SAUDE E QUALIDADE DE VIDA. DUAS SEMANAS APÓS INÍCIO DO TRATAMENTO, SAIU DE UMA CRISE DE SINUSITE QUE O AFETAVA HÁ 5 ANOS CONSECUTIVOS, TENDO DOIS MEDICAMENTOS INALATÓRIOS SUSPENSOS, UM DOS MEDICAMENTOS VIA ORAL TAMBÉM FOI SUSPENSO 30 DIAS APÓS INÍCIO DE TRIKAFTA. , APÓS SEIS MESES, HOUVE GANHO DE PESO E CRESCIMENTO CONSIDERÁVEL, AS ALECTASIAS QUE OCUPAVAM SEUS PULMÕES DESAPARECERAM (UM QUADRO QUE SERIA PROGRESSIVO SEM USO DA TERAÍA TRIPA) E FUNCÇÃO PULMONAR SALTOU DE 94% PARA 100%. , ALÉM DO TEOR DE NACL NO SUOR, PELA PRIMEIRA VEZ ALCANÇAR AS TAXAS DE NORMALIDADE. , A QUALIDADE DE VIDA DO MEU FILHO MELHOROU CONSIDERAVELMENTE, COM MENOS INTERCORRÊNCIAS E REDUÇÃO DOS CUIDADOS DÍARIOS, ELE PODE PODE COMEÇAR A PRATICAR ESPORTES, E EU PUDER RETORNAR AO MERCADO DE TRABALHO,, Negativo e dificuldades: APÓS TRÊS MESES DE USO, ACENTUOU OS SINTOMAS DE DISTRAÇÃO, DURANTE ALGUMAS SEMANAS, MAS APÓS PERÍODO DE ADAPTAÇÃO ELE RETORNOU AO PADRÃO DE ATENÇÃO NORMAL. , UM ANO E MEIO APÓS INÍCIO DO USO DA TERAPIA TRIPLA, ELE APRESENTOU ALTERAÇÃO DE HUMOR, FICANDO MAIS RETRAIDO E APÁTICO, O QUE FOI PROTAMENTE REVERTIDO APÓS AJUSTE DE DOSAGEM. HOJE MEUFILHO É UM ADOLESCENTE SEM SINTOMAS DA FIBROSE CÍSTICA, PRATICANTE DE ESPORTES, E PARTICIPATIVO DA ROTINA FAMILIAR E ESCOLAR.	3ª - Sim, Qual: PANCREATINA (10000 E 25000 UI), ALFADORNASE, URSACOL, TOBRAMICINA, COLISTIMETATO DE SÓDIO, SOLUCÇÃO SALINA (5% E 7%), AEROLIM E AERODINE. , Positivo: TODAS AS TECNOLOGIAS ACIMA CITADAS FORAM USADAS COMO FERRAMENTAS DE CONTROLE DOS SINTOMAS DA FIBROSE CÍSTICA, , Negativo: NENHUMA TECNOLOGIA ACIMA CITADA, TRATAVA A CAUSA OU RESOLVIA O PROBLEMA DE MANEIRA CONSISTENTE. SEM IMPEDIR A PROGRESSÃO DOS EFEITOS DA FC, APESAR DE TODO O TRATAMENTO E CUIDADOS SENDO SEGUIDOS À RISCA.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação só traz benefícios e traz alívio e esperança para pacientes e familiares que convivem com esta doença que traz muita morbidade, atenção diária e diminuição da expectativa de vida	2ª - Sim, Qual: Trikafta. Tenho um filho com fibrose cística com 23 anos que toma a medicação há 3 anos e a mudança foi radical na vida dele , Não teve mais internações, melhora da qualidade de vida, deixou de necessitar das inalações diárias, vitaminas , fisioterapias pulmonares, Positivo e facilidades: Esperança de uma vida longa e digna para os pacientes que vivem necessitando de tratamentos diários, terapias medicamentosas com antibiótico, inalação com fuidificante se antibióticos para controle da Pseudomonas., Melhora a auto estima , gera esperança e confiança de terem uma vida adulta com família e filhos, Negativo e dificuldades: Não vejo aspectos negativos	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 **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como pneumologista e coordenadora de um Centro de Referência para Fibrose Cística, considero que a ampliação das variantes elegíveis ao elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor deve ser incorporada ao SUS por representar uma terapia modificadora do curso da doença, com benefício clínico comprovado em pacientes potencialmente responsivos. Na prática assistencial, observamos que o acesso precoce aos moduladores reduz exacerbações, internações e necessidade de antibioticoterapia intravenosa, além de preservar a função pulmonar e melhorar a qualidade de vida. A atualização dos critérios de elegibilidade, em consonância com as evidências científicas e regulatórias mais recentes, permitirá maior equidade no acesso e evitará que pacientes percam uma oportunidade terapêutica por critérios que já não refletem o conhecimento científico atual.,	2ª - Sim, Qual: No Centro de Referência para Fibrose Cística, acompanhamos pacientes em uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor que já foram contemplados e observamos redução expressiva das exacerbações pulmonares, da necessidade de internações e de ciclos de antibioticoterapia intravenosa. Muitos pacientes apresentaram melhora da função pulmonar, do estado nutricional e da estabilidade clínica, além de redução da tosse e da produção de secreções. Também foi possível observar melhora da capacidade para realizar atividades diárias, maior frequência escolar e melhor desempenho profissional, com impacto positivo na qualidade de vida. Esses resultados reforçam que os moduladores do CFTR modificam a evolução da doença, diferentemente do tratamento convencional, que atua principalmente no controle das suas complicações., , Positivo e facilidades: O aspecto mais marcante foi a mudança na rotina dos pacientes. Muitos passaram a apresentar maior estabilidade clínica, com redução da carga de tratamento relacionada às exacerbações e menor necessidade de hospitalizações. Observamos pacientes retomando estudos, trabalho e atividades físicas, além de maior autonomia e planejamento de vida. Também houve melhora da disposição, do estado nutricional e da qualidade de vida referida pelos próprios pacientes e familiares., , Negativo e dificuldades: Na nossa experiência, os aspectos negativos relacionados ao medicamento foram pouco frequentes e, em geral, manejáveis, sem comprometer a continuidade do tratamento na maioria dos pacientes. O principal problema observado não está relacionado à eficácia ou à segurança da terapia, mas à limitação dos critérios de elegibilidade, que impede o acesso de pacientes potencialmente responsivos e atrasa o início de uma terapia capaz de modificar a evolução da doença.,	3ª - Sim, Qual: Temos experiencia com o tratamento convencional da fibrose cística, incluindo fisioterapia respiratória, dornase alfa, solução salina hipertônica, reposição enzimática pancreática, suporte nutricional, antibioticoterapia inalatória, oral e intravenosa, além de transplante pulmonar nos pacientes com doença pulmonar terminal., , Positivo: O tratamento convencional da fibrose cística aumentou significativamente a sobrevida dos pacientes e permitiu melhor controle das exacerbações e das complicações da doença por meio de uma abordagem multiprofissional. Nos pacientes com doença pulmonar terminal, o transplante pulmonar representa uma alternativa capaz de prolongar a sobrevida em casos selecionados. Entretanto, essas estratégias não corrigem o defeito básico da doença nem modificam sua história natural, sendo voltadas principalmente ao controle das manifestações clínicas e de suas complicações., , Negativo: Apesar dos avanços obtidos com o tratamento convencional, observamos elevada carga terapêutica, com necessidade de fisioterapia respiratória diária, múltiplas medicações, nebulizações, antibioticoterapia frequente e internações recorrentes, o que impacta significativamente a vida escolar, profissional e social dos pacientes. Além disso, essas estratégias não impedem a progressão da doença pulmonar, fazendo com que muitos pacientes evoluam para insuficiência respiratória e, em alguns casos, necessitem de transplante pulmonar.,	4ª - A fibrose cística apresenta grande diversidade de variantes do CFTR, tornando inviável a realização de estudos clínicos para cada uma delas. Por esse motivo, as evidências de responsividade in vitro têm sido amplamente utilizadas para orientar a ampliação das indicações dos moduladores por agências regulatórias internacionais. Na prática do nosso Centro de Referência, os pacientes em uso de moduladores apresentam redução importante das exacerbações, das internações e da necessidade de antibioticoterapia intravenosa, além de maior estabilidade clínica. Considero que as evidências atualmente disponíveis, associadas à experiência acumulada dos centros especializados, são suficientes para fundamentar a ampliação das variantes elegíveis e a atualização periódica dos critérios de incorporação.,	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou mãe da Patricia e desde que nasceu sou prova viva do sofrimento diario causado pela fibrose cistica, que por muitos anos sem diagnóstico ficamos sem saber o que era essa doença,. Afirmo que essa doença marcou profundamente a vida da minha filha e de toda a nossa fam?lia. Durante muitos anos assisti a enormes sofrimentos fosse com a rotina de tratamentos, internações e limitações, sempre me sentindo culpada e impotente vendo minha filha a cada dia definhando e apresentando as piores cenas que uma mãe pode ver, vomitos intendos de sangue, falta de ar, chegando ao ponto de não ter forças para escovar os dentes. Ver minha filha sofrer e não poder mudar essa realidade é uma das piores dores que uma mãe pode sentir. Por isso a incorporação a incorporação do Trikafita ao SUS para as pessoas com mutaçoes raras é essencial. N?o estamox falando de um medicamento experimental, trata-se de um medicamento experimental , trata-se de uma terapia que já possui aprovação da ANVISA para essas mutaçoes e que mudou completamente a vida da minha filha. Depois de 45 anos convivendo com a fibrose cistica, este medicamento salvou da mirte a minha filha, pela primeira vez vi um medicamento capaz de de praticamente resolver o problema dela, passei a maior parte da minha vida desejando e esperando apenas que existisse um tratamento capaz de mudar o destino da minha filha. Hoje esse tratamento existe . Espero sinceramente que outras fam?lias nãobprecisem esperar décadas ou recorrer a justiça, como fizemos, para conseguir um medicamento que já pode transformarve salvar tantas vidas.	2ª - Sim, Qual: A Patricia usa o TRIKAFTA, Positivo e facilidades: Maior beneficio qye percebi não fou apenas a melhora da saúde da minha filha, foi perceber que eka ganhou a liberdade. Antes praticamente todas as decisões da vida dela precisavam levar em consideração a doença. Era comum cancelar compromissos interromper planos ou adaptar toda a rotina por causa da fribose ccistica. Hoje vejo uma pessoa muito mais independente ativa e confiante como mãe isso me tras paz e tranquilidade que nunca tive durante decadas, Passei muitos anos cinvivendo com o medo constante de uma nova infecçào de mais uma internação ou demais uma piora. Despois que a minha filha passou a usar o trikafta pela primeira vez tive a sensação de que ela poderia simplesmente viver e não apenas lutar contra a doença todos os dias., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: A Patricia usou muitos remedios durante toda a vida mas foram muitos antibióticos, muitas nebulizaçœs, muitos comprimidos, muitas fisioterapias, muitas internaçòes., Positivo: Eu valorizo muito a importancia de todos os tratamentos qye a Patricia fez ao longo da vida. Sem esses cuidados talvez ela nào tivesse chegafo até aqui. Esses tratamentos foeam muito importantes enquanto eram a ?nica opção para quem tinha fibrose cistica., Negativo: O que mais me marcou foi perceber que a rotina de tratamento parecia não ter fim. Mesmo fazendo tudo corretamente a doença continuava impondo novas dificuldades. Como mãe era frustante asdistir minha filha dedicar tantas horas aos tratamentos e, ainda assim continuar enfrentando infecçœs internaçoes e perda gradual da sa?de. Foi somente quando o TRIKAFTA, que vimos uma mudança diferente de tudo o que haviamos vivido nas decadas anteriores..,	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conhecidos que necessitam dessa tecnologia para melhorar a qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conhecidos que necessitam dessa tecnologia para melhorar a qualidade de vida	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Síndrome terrível que gera um sofrimento muito grande para toda a família.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Quem nunca passou por essa realidade talvez enxergue apenas um comprimido. Eu enxergo oportunidades. Enxergo menos sofrimento, menos internações, mais qualidade de vida e a chance de viver momentos que antes pareciam tão distantes., É difícil explicar o que sentimos quando percebemos que existe um tratamento capaz de mudar uma história. Porque não estamos falando apenas de medicina. Estamos falando de tempo, de abraços, de sorrisos, de futuro., Para muitos, é apenas um remédio., Para nós, pode significar uma vida inteira.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Medicamentos , Positivo: Antes..., Tosse constante., Infecções frequentes., Falta de ar., Dificuldade para ganhar peso., Muitas medicações., Internações., Exames., Medo., Incertezas., , Depois..., Mais fôlego., Mais força., Mais saúde., Mais qualidade de vida., Mais liberdade., Mais esperança., Mais sorrisos., Mais vida., Negativo: Nenhum , Só pontos positivos	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento Mudou a vida do meu sobrinho toda vida importa	2ª - Sim, Qual: Medicamento , Positivo e facilidades: Qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Quando não tem o remédio acho que atrapalha o tratamento	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou pai da Patrícia e acompanho o sofrimento causado pela fibrose cística praticamente desde o nascimento dela, embora por muitos anos nem soubéssemos que a condição que ela enfrentava tinha esse nome. Hoje, aos 75 anos, posso afirmar que essa doença marcou profundamente a vida da minha filha e de toda a nossa família. Durante décadas assisti à minha filha enfrentar uma rotina extremamente pesada de tratamentos, internações e limitações. Como pai, muitas vezes me senti impotente por não poder fazer mais do que trabalhar para sustentar a família, dar apoio e torcer para que ela voltasse para casa depois de cada internação. Ver uma de minhas filhas sofrer e não poder mudar essa realidade é uma das maiores dores que um pai pode sentir. Por isso, a incorporação do Trikafta ao SUS para as pessoas com mutações raras como ele é essencial. Não estamos falando de um medicamento experimental. Trata-se de uma terapia que já possui aprovação da ANVISA para essas mutações e que mudou completamente a vida da minha filha. Depois de mais de 45 anos convivendo com a fibrose cística, pela primeira vez vi um tratamento capaz de praticamente resolver ao problema dela. Passei a maior parte da minha vida desejando apenas que existisse um tratamento capaz de mudar o destino da minha filha. Hoje esse tratamento existe. Espero sinceramente que outras famílias não precisem esperar décadas ou recorrer à justiça, como o fizemos, para conseguir um medicamento que já pode transformar tantas vidas.	2ª - Sim, Qual: A Patrícia usa o Trikafta, Positivo e facilidades: O maior benefício que percebi não foi apenas a melhora da saúde da minha filha. Foi perceber que ela recuperou a liberdade. Antes, praticamente todas as decisões da vida dela precisavam levar em consideração a doença. Era comum cancelar compromissos, interromper planos ou adaptar toda a rotina por causa da fibrose cística. Hoje vejo uma pessoa muito mais independente, ativa e confiante. Como pai, isso me traz uma tranquilidade que eu nunca tive durante décadas. Passei muitos anos convivendo com o medo constante de uma nova infecção, de mais uma internação ou de mais uma piora ... Depois que a Patricia começou a usar o Trikafta pela primeira vez qu tive a sensação de que minha filha poderia simplesmente viver, e não apenas lutar contra a doença todos os dias., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: A Patricia usou muitos remédios durante toda a vida. Não sei o nome deles, mas foram muitos antibióticos, muitas nebulizações, muitos comprimidos, muitas fisioterapias, muitas internações., Positivo: Eu valorizo muito a importância de todos os tratamentos que a Patrícia fez ao longo da vida. Sem esses cuidados, talvez ela não tivesse chegado até aqui. Esses tratamentos foram muito importantes enquanto eram a única opção para quem tinha fibrose cística., Negativo: O que mais me marcou foi perceber que a rotina de tratamento parecia não ter fim. Mesmo fazendo tudo corretamente, a doença continuava impondo novas dificuldades. Como pai, era frustrante assistir minha filha dedicar tantas horas aos tratamentos e, ainda assim, continuar enfrentando infecções, internações e perda gradual da saúde. Foi somente quando surgiu um o Trikafta que vimos uma mudança realmente diferente de tudo o que havíamos vivido nas décadas anteriores.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhora de qualidade de vida muito evidente	2ª - Sim, Qual: Medicamento em pauta , Positivo e facilidades: Melhora clara de qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Não observei	3ª - Sim, Qual: Orkambi, Positivo: Melhor pulmonar, mas menos evidente , Negativo: Mais internações, menos ganho de peso, mais infecções	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conheço pessoa que depende desse medicamento e com seu uso melhorou a qualidade de vida e graças ao medicamento não fica mais internada, não tem mais infecção etc.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu enteado, de 9 anos, tem Fibrose Cística. Apoio a ampliação do ETI no SUS para pacientes com variantes raras elegíveis uma vez que essa medida é baseada em sólidas evidências científicas, além de estar de acordo com o princípio de equidade, base do SUS. Pacientes com variantes raras, elegíveis pela bula da ANVISA, tem o direito de ter acesso ao medicamento. Além disso, a judicialização, decorrente da ausência dessa ampliação de acesso, tem gerado um aumento do gasto público, que seria bastante mais eficiente se houvesse uma incorporação planejada e organizada. Infelizmente, mesmo pacientes que apresentando variantes elegíveis e preenchendo os critérios estabelecidos pelo STF tiveram seus pedidos negados e permanecem sem esse acesso. Além de não recebem administrativamente um medicamento que já pode ser acessado para quem tem a variante mais frequente da mesma doença, eles também não conseguem pela via judicial, ficando privados de uma terapia que transforma vidas. Essa situação aprofunda a desigualdade entre pessoas com a mesma condição clínica e reforça a necessidade de ampliar o acesso baseado na equidade do SUS. Ademais, o ETI modifica o curso da doença que praticamente para de progredir e, na maioria dos casos, promove importantes benefícios clínicos. A ampliação ao SUS ainda reduz de forma expressiva a quantidade de internações, infecções respiratórias, exacerbações pulmonares, uso de antibióticos e a necessidade de outros tratamentos, além de diminuir as complicações associadas à FC e os custos decorrentes do seu manejo. Ao impedir a progressão da doença pulmonar, o ETI também reduz a necessidade de transplante pulmonar.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, TODOS OS PSCIENTES ELEGIVEIS PARA ESTE MEDICAMENTO TEM O DIREITO DE USUFRUIR DO BENEFICIO QUE ESSA MEDICACAO TRAS NA VIDA DELES, INDEDENDENTE DE VALORES FINACEIROS, POIS ISSO E DIREITO E CONSTITUCIONAL , ASSIM COMO OUTOROS PACIENTES JA ESTAO FAZENDO USO DESSA MEDICAÇAO	2ª - Sim, Qual: TRIKAFTA, Positivo e facilidades: MELHORA FUNCAO PULMONAR, DIMINUI OU QUASE NORMALIZA AS SECRECOES, FAZENDO AS MESMA MAIS FLUIDA E OS VEZES INEXIXTENTE , NAO HA MAIS NECESSIDADE DE USO DE ANTIBIOTICOS DIARIOS, MEU FILHO TEM 22 ANOS COM FIBROSE CISTICA, NAO FAZ MAS USO DE ANTIBIOTICOS INLATORIOS, QUE CAUSAVA UM TRASTORNO PARA A VIDA DELE, POIS TINHA QUE LEVANTAR DUAS HORAS ANTES DOS COMPROMISSOS PARA REALIZAE AS INALAÇOES, HOJE APOS UM ANO DE USO, O MESMO, NAO FAZ USO DE NEMHUM ANTIBIOTICOS MAIS, LEVA UMA VIDA PRATICAMENTE NORMAL, Negativo e dificuldades: ATE O MOMENTO NAO HOUVE	3ª - Sim, Qual: PULMOZIME, TOBRAMICINA, AZITROMICINA, Positivo: AS MESMA AGEM APENAS NOS SINTOMAS QUE A DOENÇA CAUSA, NAO TRATANDO A DOENÇA EM SI, Negativo: AJUDA , MAS NAO TRATA A CAUSA DA DOENÇA	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que deva ser implementada no SUS, pois o medicamento é a possibilidade de uma vida nova para todos os pacientes com fibrose-cística no país. Nenhum outro medicamento é capaz de elevar tanto a expectativa de vida e tornar as pessoas com a doença em adultos funcionais, capazes de serem independentes e contribuírem com a sociedade, trabalhando, estudando e formando famílias.	2ª - Sim, Qual: Trikafta., Positivo e facilidades: Após o uso do medicamento eu saí do encaminhamento para transplante, consegui terminar a faculdade de direito e hoje sou advogada. Além disso, formei minha própria família, sou independente e dependo de menos medicamentos para viver, o que aumenta minha qualidade de vida e me possibilita também viver mais experiências impossíveis antes. O que inclui rir sem tossir, caminhar, falar sem me cansar e ficar fora de casa por longos períodos. Jamais em toda minha vida tive a oportunidade de acreditar em um futuro, planejar envelhecer, ter filhos, o remédio tornou tudo possível., Negativo e dificuldades: Não notei aspectos negativos.	3ª - Sim, Qual: Pulmozyme., Positivo: Facilitava a retirada de secreção., Negativo: Nunca tratavam a doença, apenas amenizavam os sintomas momentaneamente.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha esposa me conheceu sem nenhuma qualidade de vida, e casamos mesmo assim pois ela é o amor da minha vida. Hoje com o trikafta vivemos uma vida perfeita e eu nao trocaria nada nesse mundo pela qualidade que tenho com a minha esposa saudavel. E desejaria que todos pudessem aproveitar o mesmo prazer que tenho em ver quem eu amo bem.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Minha esposa pode reduzir a dose de todos os medicamentos e teve um aumento significativo em sua qualidade de vida. Arrisco dizer que até para o proprio sus houve uma e onomia financeira devido a quantidade exorbitante de remedios que não recebemos mais pos o advento do trikafta, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Collistim, creon, pulmozyme entre outros, Positivo: Mantiveram minha esposa viva, Negativo: Logistica de entrega	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 **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação ofereceu mudança da qualidade de vida surpreendente nos portadores de fibrose cística, assim como diminuiu o número e gravidade das internações	2ª - Sim, Qual: Mo medicamento em questão para uso em paciente com fibrose cística , Positivo e facilidades: Maior fluidez da secreção pulmonar com melhora da saturação de Oxigênio e menor risco de infecção pulmonar subjacente , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso à medicação é alto custo	3ª - Não	4ª - relatos de caso e séries clínicas demonstrando benefício do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI – Trikafta/Kaftrio) em pacientes portadores da mutação N1303K, inclusive quando associada a uma segunda mutação grave. O racional é que a resposta clínica parece ser mediada principalmente pela correção parcial da N1303K. , , 1. Artigo mais importante (Relato de Caso + Revisão da Literatura), Tupayachi Ortiz M.G. et al., “Response to Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor in People with Cystic Fibrosis with the N1303K Mutation: Case Report and Review of the Literature.”, Heliyon. 2024, 10:e26955. DOI: 10.1016/j.heliyon.2024.e26955. , Relata um adulto com genótipo W1282X/N1303K e doença pulmonar avançada que apresentou melhora clínica e funcional após ETI. O artigo também revisa todos os casos previamente publicados envolvendo N1303K. , , 2. Relato de Caso baseado em teste funcional ex vivo, Huang Y. et al., “Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor Improved Clinical Outcomes in a Patient with N1303K-CFTR Based on In Vitro Experimental Evidence.”, American Journal of Respiratory and Critical Care Medicine. 2021. , Paciente com N1303K tratado após demonstração laboratorial de responsividade do CFTR mutante. Houve melhora clínica significativa. , , 3. Relato de Caso com infecção por Mycobacterium abscessus, Elson E.C. et al.,	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:
				"CFTR Modulator Therapy in an Individual with Cystic Fibrosis Caused by a N1303K CFTR Variant and Infected with Mycobacterium abscessus.", Journal of Pediatric Pharmacology and Therapeutics. 2022. , Descreve benefício clínico do uso de moduladores CFTR em paciente portador de N1303K. , 4. Série Clínica de Pacientes N1303K, , Sadras I. et al., "Clinical and Functional Efficacy of Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor in People with Cystic Fibrosis Carrying the N1303K Mutation.", Journal of Cystic Fibrosis. 2023. , Série de pacientes mostrando melhora de:, * VEF1, * sintomas respiratórios, * qualidade de vida, * cloreto no suor (mais discreta que em F508del) ,	

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ELX/TEZ/IVA) para pacientes com fibrose cística com idade igual ou superior a 6 anos e ao menos uma variante não-F508del responsiva no SUS é crucial e deve ser realizada., , Conforme o relatório, o medicamento demonstra resultados sólidos na melhora da função pulmonar (ppVEF1), redução da concentração de cloreto no suor, diminuição de exacerbações pulmonares e ganho de qualidade de vida, atuando na causa subjacente da doença. Para pacientes com variantes raras, que possuem opções limitadas, o acesso a esse tratamento pode ser a diferença entre a manutenção da autonomia funcional e a progressão para quadros de dependência severa, hospitalizações recorrentes e transplante pulmonar. A experiência descrita por pacientes, relatando melhoria significativa em atividades básicas e na redução de sintomas, reforça o impacto positivo real que a tecnologia proporciona., , Embora o relatório aponte um cenário de impacto orçamentário elevado, é imperativo considerar que a fibrose cística é uma condição grave, progressiva e incurável. A equidade no acesso ao tratamento é fundamental, pois a terapia já é disponibilizada para pacientes com a variante F508del, e negar o acesso a pacientes com variantes não-F508del responsivas cria uma disparidade injustificável., , A Rede Genoma SUS, com seus 10 centros equipados e distribuídos em todas as regiões, já oferece a infraestrutura necessária para a identificação precisa desses pacientes, otimizando o uso do medicamento. Recomendo a incorporação, priorizando a continuidade de negociações comerciais para garantir a viabilidade econômica, em vez de restringir o acesso a um tratamento que comprovadamente altera o curso natural de uma doença altamente incapacitante.	2ª - Sim, Qual: A situação dos pacientes com fibrose cística que são elegíveis ao elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ELX/TEZ/IVA), mas que atualmente estão fora do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) vigente, é de grande relevância., , O PCDT atual, conforme a Portaria Conjunta SAES/SECTICS n° 5 de 30 de abril de 2024, incorporou a terapia tripla com ELX/TEZ/IVA especificamente para pacientes com idade igual ou superior a 6 anos que apresentem pelo menos uma mutação F508del no gene CFTR. Isso significa que, embora o medicamento seja um avanço significativo, ele atende a um grupo específico de pacientes., , No entanto, existe uma parcela considerável de pacientes com fibrose cística que possuem outras variantes genéticas, as chamadas variantes não-F508del, que também são responsivas ao ELX/TEZ/IVA. Esses pacientes, estimados em 438 indivíduos com 6 anos ou mais no Brasil, não se enquadram nos critérios do PCDT atual e, portanto, não têm acesso a essa terapia modificadora da doença pelo SUS., , Essa situação cria uma lacuna assistencial e uma iniquidade, pois esses pacientes, apesar de apresentarem a doença e poderem se beneficiar enormemente do tratamento, ficam à margem das diretrizes oficiais. Eles enfrentam os mesmos desafios da fibrose cística, como a progressão da doença pulmonar, exacerbações e comprometimento da qualidade de vida, sem a possibilidade de acesso a uma terapia que atua na causa base de sua condição. A avaliação da ampliação do uso do ELX/TEZ/IVA para essas variantes não-F508del responsivas busca justamente corrigir essa disparidade e incluir esses pacientes no rol de beneficiários da tecnologia no SUS., Positivo e facilidades: A eficácia clínica robusta é inegável. A tecnologia demonstra melhora na função pulmonar, redução do cloro no suor, melhora na qualidade de vida e menor risco de hospitalização por infecção. Essa melhora na função pulmonar (aumento médio de até 13% no ppVEF1) e a redução significativa do cloro no suor (-45 mmol/L) são indicadores diretos de uma correção substancial da disfunção da proteína CFTR, que é a causa subjacente da fibrose cística., , Além disso, a melhora na qualidade de vida é um ponto fundamental. O aumento de 19,5 pontos na qualidade de vida reflete um impacto direto e positivo na vida diária dos pacientes, permitindo maior participação em atividades sociais, escolares e profissionais, e reduzindo a carga da doença. A perspectiva do paciente corrobora isso, com relatos de melhora da função pulmonar, redução de secreções e controle de sintomas., , Outro aspecto positivo é a redução da taxa de exacerbações pulmonares em até 55%. Isso não só melhora a saúde do paciente, mas também diminui a necessidade de hospitalizações, o que tem um impacto positivo na sustentabilidade do sistema de saúde ao reduzir custos associados a internações e	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:
		tratamentos de emergência., , A abrangência de variantes genéticas é um avanço significativo. A capacidade de tratar pacientes com pelo menos uma variante não-F508del responsiva amplia o acesso a essa terapia transformadora para um grupo de pacientes que, de outra forma, teriam opções de tratamento limitadas. A validação in vitro de centenas de variantes raras reforça a base científica para essa ampliação., , Finalmente, a experiência internacional com a recomendação da ampliação da indicação por agências como a do Canadá (CAD) e Austrália (PBAC) demonstra um consenso global sobre a importância e o benefício dessa terapia para a população em questão., Negativo e dificuldades: Os principais aspectos negativos da tecnologia ELX/TEZ/IVA incluem o elevado custo, que gera um impacto orçamentário significativo para o SUS e uma RCEI acima do limiar aceitável. Há baixa certeza da evidência para variantes raras, baseada em estudos limitados, o que pode gerar incertezas sobre o benefício em subgrupos específicos. A tecnologia apresenta potenciais eventos adversos como alterações hepáticas, cutâneas e gastrointestinais, exigindo monitoramento contínuo. A complexidade na identificação de variantes responsivas dificulta o acesso e a padronização do diagnóstico. Por fim, a dependência de patentes por longo período mantém o preço elevado, dificultando a sustentabilidade e a negociação.			
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como mãe de uma criança portadora de FC e como privilegiados por poder estar usando esse presente sou grata a Deus primeiramente e a vc que nos deu essa esperança, minha filha é outra criança, menos tratamento, mais qualidade de vida, menos antibiótico, ganho de peso, sem cólicas abdominais diárias. Menos tosse, menos secreção, menos infecção , Obrigada Trikafta., Todos os FC precisam desta oportunidade de vida , vida com qualidade, respirar só respirar é o que pedimos, para vc é simples mas para quem tem FC não é. , E o trikafta pode e consegue ajudar	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: VIDA com qualidade , Menos infecção , Mais peso, Menos antibiótico , , Negativo e dificuldades: Nenhum	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 **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como médica integrante de equipe multidisciplinar de atendimento a pacientes pediátricos com fibrose cística, tive a oportunidade de acompanhar de forma direta os benefícios proporcionados pelo tratamento com elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI). Na prática clínica, observa-se melhora significativa da função pulmonar, redução das exacerbações respiratórias, diminuição do número de internações hospitalares, melhora do estado nutricional e da qualidade de vida, além do retardo da progressão da doença. Além disto, pacientes com doença pulmonar avançada apresentam estabilização clínica importante, permitindo, em alguns casos, postergar ou até mesmo evitar a necessidade de transplante pulmonar, com impacto significativo na sobrevida e na qualidade de vida., , Pacientes portadores de variantes responsivas não-F508del do gene CFTR frequentemente permanecem sem acesso aos moduladores mais eficazes, apesar de apresentarem potencial semelhante de resposta terapêutica. A indicação do tratamento deve ser baseada na responsividade da variante ao medicamento, em consonância com os princípios da medicina de precisão, e não exclusivamente na presença da variante F508del., , Dessa forma, a incorporação do elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor no SUS para pacientes com idade igual ou superior a 6 anos portadores de pelo menos uma variante responsiva não-F508del representa uma medida que permite oferecer uma terapia modificadora da doença capaz de alterar de forma significativa sua evolução natural, reduzindo morbidade, internações, necessidade de transplante pulmonar e mortalidade.	2ª - Sim, Qual: Como medica de equipe multidisciplinar especializada, acompanhei pacientes em uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI), observando melhora da função pulmonar, redução das exacerbações e das internações, melhora do estado nutricional e da qualidade de vida, além de retardar a progressão da doença., , Positivo e facilidades: Os pacientes pediátricos com fibrose cística, na faixa etária de 6 a 18 anos, elegíveis para o tratamento com elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI), apresentaram benefícios clínicos significativos. Entre os principais aspectos positivos observados destacam-se a melhora da função pulmonar, a redução da frequência e da gravidade das exacerbações respiratórias, a diminuição do número de internações hospitalares e da necessidade de antibioticoterapia intravenosa, além da melhora do estado nutricional e da qualidade de vida dos pacientes e de suas famílias., Um caso marcante foi o de uma paciente de 17 anos que se encontrava em lista de espera para transplante pulmonar, durante uma exacerbação grave da doença pulmonar, quando iniciou o tratamento com ETI. A resposta terapêutica foi impressionante: a paciente apresentou melhora expressiva da função pulmonar e do estado nutricional, com normalização dos eletrólitos no suor e dos níveis de glicose no sangue. Após seis meses de tratamento, houve recuperação clínica suficiente para que fosse retirada da lista de espera para transplante pulmonar., Esses benefícios repercutem não apenas na saúde dos pacientes, mas também na redução da utilização de recursos do sistema de saúde, em razão da menor necessidade de internações e de tratamentos intensivos, além de favorecerem a participação das crianças e adolescentes em suas atividades escolares, familiares e sociais., Considerando que pacientes com variantes responsivas não-F508del apresentam potencial de benefício semelhante ao observado naqueles com a variante F508del, sua inclusão entre os elegíveis ao tratamento representa uma medida fundamentada em evidências científicas., Negativo e dificuldades: Na minha experiência, os benefícios do tratamento com elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor superaram amplamente os aspectos negativos. Os eventos adversos observados foram pouco frequentes, em geral leves e transitórios, não resultando na interrupção definitiva do tratamento na maioria dos pacientes acompanhados., , Como toda terapia, o ETI requer monitoramento clínico e laboratorial, especialmente da função hepática e de possíveis interações medicamentosas. Entretanto, esses cuidados fazem parte do acompanhamento de rotina e não representam uma limitação significativa ao seu uso.	3ª - Sim, Qual: Todas as terapias disponíveis até o momento tinham como objetivo principal prevenir ou retardar as complicações da fibrose cística e tratar suas manifestações clínicas. O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI), por sua vez, representa uma mudança de paradigma no tratamento da doença, por atuar diretamente sobre a proteína CFTR defeituosa, corrigindo parcialmente o defeito molecular subjacente. Esse tratamento modifica a história natural da doença, proporcionando benefícios clínicos expressivos, melhorando a sobrevida e a qualidade de vida dos pacientes., Positivo: Ao longo da minha experiência no acompanhamento de pacientes pediátricos com fibrose cística, observei que as terapias convencionais foram fundamentais para o controle dos sintomas, prevenção de complicações e aumento da sobrevida. O tratamento multidisciplinar, incluindo a fisioterapia respiratória, suporte nutricional, reposição de enzimas pancreáticas, mucolíticos e antibioticoterapia, contribuiu para retardar a progressão da doença e melhorar a qualidade de vida dos pacientes., , No entanto, essas terapias atuam principalmente sobre as manifestações clínicas da fibrose cística, sem corrigir o defeito molecular responsável pela doença. Dessa forma, embora tragam benefícios importantes, não impedem a progressão gradual do comprometimento pulmonar e de outras manifestações sistêmicas, o que reforça a relevância da disponibilidade de terapias moduladoras da CFTR, como o elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, capazes de modificar a história natural da doença., Negativo: Embora as terapias convencionais tenham contribuído significativamente para aumentar a sobrevida e melhorar a qualidade de vida dos pacientes com fibrose cística, sua principal limitação é atuar no controle das manifestações clínicas e das complicações da doença, sem corrigir o defeito molecular subjacente., Esses tratamentos também impõem uma elevada carga terapêutica aos pacientes e suas famílias, exigindo múltiplas medicações, fisioterapia respiratória diária e acompanhamento frequente por equipe multidisciplinar. Dessa forma, embora sejam indispensáveis, as terapias convencionais não são capazes de modificar de forma significativa a história natural da doença, evidenciando a necessidade	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:
			de ampliar o acesso às terapias moduladoras da CFTR para os pacientes elegíveis.		
Profissional de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa estratégia amplia o acesso à terapia modificadora da doença de forma baseada em evidências e em medicina de precisão, podendo reduzir morbidade, melhorar a qualidade de vida e retardar a progressão da fibrose cística nesse grupo de pacientes.	2ª - Sim, Qual: Acompanho pacientes utilizando a combinação Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor, Positivo e facilidades: Percebi a melhora no quadro geral dos pacientes: na resposta clínica dos pacientes ao uso da medicação, percebendo os benefícios relacionados a melhora da função pulmonar, do estado nutricional, da qualidade de vida e da redução de exacerbações e hospitalizações, Negativo e dificuldades: Não consegui perceber nenhum aspecto negativo! Percebo a alegria, a satisfação dos pacientes e seus familiares com a evolução positiva na sua qualidade de vida!	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ETI) tem mudado drasticamente a evolução clinica e prognóstico dos pacientes com Fibrose Cística e quanto mais cedo este medicamento é introduzido na vida do paciente, mais ele previne alterações e consequências clínicas da doença que impactam diretamente nao apenas na sobrevida / expectativa de vida do paciente, mas também na qualidade de vida destes e dos seus cuidadores, bem como menor uso dos servicos e tecnologias em saude (internação, exames, procedimentos, medicamentos etc). Sou pneumologista pediátrica e atualmente trabalho no Centro de Referencia em Fibrose Cística no Hospital Especializado Octavio Mangabeira. Minha formação em pneumologia pediátrica foi no Instituto da Criança da Faculdade de Medicina da Universidade de Sao Paulo (ICr - USP), outro grande centro de referencia em Fibrose Cística do país. Acompanhei ao longo deste tempo inúmeros pacientes com Fibrose Cística que tiveram suas vidas mudadas drasticamente pelo uso do ETI, com menos exacerbações pulmonares, menos uso de antibiótico, menos idas a emergencia, menos internações, ganho de função pulmonar e consequentemente menor Ônus para o serviço publico de saude. Mas também acompanhei muitos outros pacientes que teriam tido uma evolução mais favorável se o medicamento fosse introduzido nos primeiros anos de vida, antes dos danos irreversíveis da doença se instalarem, o que reduziria a alta carga da doença para os pacientes e cuidadores.	2ª - Sim, Qual: Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, Positivo e facilidades: Uma mudança drástica na qualidade de vida, prognostico e expectativa de vida dos pacientes. Ganhos de função pulmonar, melhora na insuficiencia pancreática exócrina (potencial reversibilidade se medicamento introduzido nos primeiros anos de vida), ganho ponderal, menos exacerbação pulmonar, menos uso de antibióticos, menos idas ao Pronto Socorro, menos internações, menor ônus para a saúde pública., Negativo e dificuldades: Sem aspectos negativos.	3ª - Sim, Qual: Alfadornase, inalação com salina hipertônica, enzimas pancreáticas, Positivo: São medicações para controle de sintomas, porém não agem na raiz do problema, de modo que pacientes tem resposta variável, principalmente em comparação ao ETI, por exemplo., Negativo: Não agem na raiz do problema, muitas vezes apresentam ganhos modestos, aumentam um pouco a sobrevida dos pacientes, porém não deixam a expectativa de vida similar a uma pessoa sem a doença, que é o que ocorre com o uso do ETI.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que o medicamento deve ser incorporado ao SUS pois, considerando a melhora significativa na qualidade dos pacientes diagnosticados com fibrose cística e que fazem uso do medicamento citado, onde houve melhora efetiva na função pulmonar, redução da concentração de sal no suor, redução da ocorrência de complicações pulmonares, o que contribui para redução dos custos do SUS com relação a doença, baixou o risco de internações por infecções e aumentou a qualidade de vida. Em relação a segurança, registrou-se a ocorrência de eventos adversos leves ou moderados. O grau de confiança nos resultados dos estudos foi considerado baixo e isso significa que o tamanho do efeito pode ser diferente do estimado. , Pacientes acometidos com fibrose cistica tem internações hospitalares frequentes, o que no decorrer do tempo torna o sistema imunologico debiitado e não responsivo aos antibioticos administrados para tratamento das comorbidades advindas desta doença que não tem cura.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Medicamentos: Alfadornase, Pancreatina, Xinafoato de salmeterol/propionato de fluticasona, Beclometasona, Tobramicina e dietas, Positivo: Melhor controle da doença, Negativo: Impacto na qualidade de vida, não trata a causa efetiva da doença e sim os sintomas causados pela fibrose cistica. O uso de tantos medicamentos afeta a vida do paciente no que diz respeito a trabalho e vida social.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha tia Cláudia ANTES DE USAR O TRIKAFTA FICAVA MUITO INTERNADA ,COM MUITAS INFECÇÕES,FEBRE, ficando MUITAS VEZES NO CTI DEPOIS DO USO DO TRIKAFTA houve uma melhora muita significativa...	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como paciente e usuário da medicação ha mais de 4 anos, com todos os resultados positivos obtidos, é essencial que crianças a partir de 6 anos também possam se beneficiar.	2ª - Sim, Qual: Trikafta, Positivo e facilidades: Eu melhorei em praticamente todos aspectos relacionados à Fibrose Cística. Recuperei mais de 30% de capacidade pulmonar, não tive mais exarcebações que eu precisasse internar no hospital, minha disposição aumentou. Tenho mais tempo para dedicar para minha vida e meu planos. Sem falta de ar. Minha qualidade de vida em todos sentidos melhorou muito!, Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, Qual: Antibióticos em geral, corticóides, salinas para nebulização, Alfadornase, enzimas pancreáticas, polivitamínicos, etc..., Positivo: Somente atuavam para mitigar o avanço da doença, Resolviam por um breve tempo, Negativo: Só tentavam resolver os problemas que geram, sem ir direto na causa. E a doença seguia evoluindo	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante, pois teve uma melhora muito boa na função pulmonar, no fígado, no ganho de massa muscular e diminuição na perda de sal no suor, melhora na auto estima.	2ª - Sim, Qual: Inalação, antibiótico e fisioterapia pulmonar , Positivo e facilidades: Trikafta teve grande melhora função pulmonar, fígado, diminuição perda de sal no suor, ganho de massa muscular e melhora auto estima., Negativo e dificuldades: Dificuldade no acesso e alto custo medicação	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu estou de acordo com a incorporação no SUS porque o tratamento tem que ser igualitário a todos, devido ao alto custo do medicamento e nem todos terem condição financeira e devido também a eficácia comprovada.	2ª - Sim, Qual: Trikafta., Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida, melhor disposição para atividade física sem apresentar cansaço ou falta de ar, ausência de exarcebação de secreção pulmonar, ausência de internações hospitalares e atendimento em pronto socorro, ausência da bactéria pseudomonas que era constantemente presente antes do medicamento., Negativo e dificuldades: Não possui aspectos negativos.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento deve ser incorporado ao SUS pois, conforme estudos permite melhoria significativa na qualidade de vida dos pacientes com fibrose cística e que fazem uso do medicamento citado, os quais tiveram melhoria efetiva na função pulmonar, redução da concentração de sal no suor, redução da ocorrência de complicações pulmonares, o que contribui para redução dos custos do SUS com relação a doença, baixou o risco de internações por infecções e aumentou a qualidade de vida. Em relação a segurança, registrou-se a ocorrência de eventos adversos leves ou moderados. O grau de confiança nos resultados dos estudos foi considerado baixo e isso significa que o tamanho do efeito pode ser diferente do estimado. , Pacientes acometidos com fibrose cistica tem internações hospitalares frequentes, o que no decorrer do tempo torna o sistema imunologico debiitado e não responsivo aos antibioticos administrados para tratamento das comorbidades advindas desta doença que não tem cura.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: AlfaDornase, Pancreatina, Tobramicina, Colimicina, Beclometasona, Xinafoato de salmeterol/propionato de fluticasona, Dietas Hipercalóricas, Positivo: Amenização dos inúmeros sintomas causados pela doença, possibilitando alguma melhoria na qualidade de vida. , Negativo: Não trata a efetivamente a doença e sim os sintomas causados pela fibrose cistica. O uso de tantos medicamentos afeta a vida do paciente no que diz respeito a trabalho e vida socia, alem de causar inumeros efeitos colaterais. Sendo necessario muitas das vezes, longas internações para uso de antibioticos de largo espectro para tratamento das infecções constantes, acarretando em altos custos para o estado.	4ª - Não	5ª - Não
Gestores do SUS **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação viabilizará a ampliar os benefícios da tecnologia a um grupo maior de portadores de FC	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:
Pessoa com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação. Como paciente com a mutação R1066C, vivo a realidade de uma doença grave que exige tratamentos de ponta para a manutenção da vida. Atualmente, os critérios de elegibilidade para o Trikafta no SUS são restritivos e não contemplam mutações raras como a minha, o que me coloca em uma situação de vulnerabilidade extrema., A minha experiência pessoal com a medicação demonstra que a resposta clínica não depende apenas de uma lista pré-definida de mutações, mas da eficácia real do modulador no meu organismo. Com o uso do tratamento, pude observar uma melhora significativa na estabilidade pulmonar, na redução de exacerbações e na qualidade de vida, o que me permite ser uma cidadã ativa, produtiva no meu trabalho e atuante em projetos sociais., A tecnologia deve estar a serviço da necessidade clínica real. Limitar o acesso apenas a um grupo restrito de mutações ignora o benefício que pacientes com perfis genéticos semelhantes ao meu apresentam. Solicito que a incorporação contemple a ampliação dos critérios de elegibilidade para incluir pacientes com mutações como a R1066C, baseando-se na resposta terapêutica observada e garantindo o direito à saúde de forma justa, oficial e contínua	2ª - Sim, Qual: Trikafita, Positivo e facilidades: Gostaria de registrar meu apoio à expansão dos critérios de acesso ao Trikafta pelo SUS para pacientes com mutações que ainda não estão contempladas no protocolo atual, como é o meu caso (mutação R1066C)., Atualmente, o SUS já disponibiliza essa terapia essencial para outras mutações, reconhecendo seu impacto transformador. No entanto, o protocolo atual acaba deixando de fora pacientes que, na prática clínica, demonstram uma resposta terapêutica excelente ao tratamento. Eu sou a prova de que a medicação funciona mesmo para quem possui mutações fora do rol padrão: desde que iniciei o uso, minha condição clínica apresenta uma estabilidade que era impossível anteriormente., A exclusão baseada apenas em listas de mutações ignorar a realidade biológica de cada paciente. A medicina personalizada deve observar o benefício real que o paciente apresenta. Se o tratamento está demonstrando eficácia clara, reduzindo complicações e permitindo uma vida ativa, ele deve ser disponibilizado oficialmente, evitando que pacientes fiquem em um limbo burocrático., Solicito a revisão e a ampliação da indicação do Trikafta para abranger mutações adicionais, garantindo que o critério de inclusão seja também a resposta clínica demonstrada pelo paciente, e não apenas uma lista restrita de mutações. Precisamos que o acesso seja oficializado para que o tratamento não seja interrompido, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Azitrominicina e alfadornase, Positivo: tem um papel insubstituível na redução da viscosidade das secreções respiratórias, facilitando significativamente a higiene brônquica e prevenindo o acúmulo de muco que, sem o uso contínuo, levaria rapidamente a exacerbações e danos pulmonares. O impacto desse medicamento é direto na minha capacidade de manter uma rotina ativa, permitindo que eu continue exercendo minhas responsabilidades profissionais e projetos sociais., Qualquer interrupção ou dificuldade no acesso a essa terapia não significa apenas um atraso no tratamento, mas uma queda imediata na minha saúde física e na minha capacidade de realizar atividades básicas. A manutenção do fornecimento regular e o apoio à utilização correta da alfaDornase são essenciais para que pacientes com fibrose cística continuem sendo funcionais e saudáveis. , Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde **07/07/2026**	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A condição de saúde de um paciente que possui fibrose cística sem uso dessa medicação se deteriora a cada dia sem. Esse medicamento traz uma condição de vida, de respirar, de andar e de viver o mais distante possível de um balão de oxigênio ou um transplante.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não