

Jornada Assistencial de Valor do RARAS (JAV RARAS): resultados preliminares de estudo de vida real da avaliação de eficiência alocativa via análise de custo-utilidade no Sistema Único de Saúde (SUS)

EIXO 1: SUSTENTABILIDADE NOS SISTEMAS DE SAÚDE

Marcelo Eidi Nita; Luana Lopes; Guillermo Montero; Alef Almeida; Myrianne Barbosa; Altacílio Nunes; Flávia Sarti; Ney Boa Sorte; Ida Schwartz; Camila Azevedo; Gabriel Ogata; Temis Felix

Introdução: Jornada Assistencial de Valor do RARAS (JAV RARAS): resultados preliminares de estudo de vida real da avaliação de eficiência alocativa via análise de custo-utilidade no Sistema Único de Saúde (SUS).

Métodos: As seguintes doenças foram avaliadas: Osteogênese Imperfeita (OI), Síndrome de Prader Willi (SPW), Acromegalia (ACRO), Angioedema Hereditário, Mucopolissacaridose tipo II (MPS2), Homocistinúria Clássica (HC), Fenilcetonúria (PKU), Atrofia Muscular Espinhal (AME), Fibrose Cística (FC), Polineuropatia Amiloidótica Familiar (PAF), Distrofia Muscular de Duchenne (DM), Doença de Gaucher, Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA). A coleta de dados foi realizada através de questionários clínicos, e o EQ-5D para cálculo de utilidade e QALY, e os custos pelo “Time-Driven Activity-Based Costing” (TDABC). O TDABC, baseado nos PCDTs, mapeia os processos assistenciais e os custos reais. Para identificar o PCDT que apresenta a melhor eficiência alocativa, definida pelo custo utilidade, empregamos Forest Plot do Custo x QALY para comparar e ranquear as diferentes doenças e os seus respectivos PCDTs (league-table). A média e a variação de custo foram analisados a partir da distribuição Bootstrap com 10.000 randomizações (e o intervalo de confiança de 95%).

Resultados: Este estudo preliminar mostrou que a SPW apresentou o maior QALY. A PAF apresentou o maior custo de tratamento, estimado no PCDT em R\$ 323.923,76. Pelo TDABC, AME teve o maior custo de tratamento com custo médio de R\$ 261.408,58 e doença de Gaucher menor custo médio de tratamento pelo PCDT com custo médio de R\$ 483,89. Os resultados preliminares indicam que pelo TDABC, a Doença de Gaucher apresenta um menor custo por QALY incremental. Logo, ela se mostrou ser a mais eficiente, e foi usada como referência em relação as outras doenças. Assim, a MPSII apresentou um maior custo por QALY incremental.

Discussão e conclusões: O JAV RARAS permite avaliar a eficiência técnica alocativa, assumindo os PCDTs como intervenções de políticas públicas, via estudos de custo-utilidade (custo/ QALY). Em termos de eficiência, o tratamento para a AME é o menos eficiente, e necessita melhorias significativas em termos de custo-efetividade (como melhores desfechos em saúde). No debate sobre quais métodos seriam os mais adequados na tomada de decisão na gestão de novas tecnologias para doenças raras, o JAV-RARAS permite a inclusão de vários destes métodos de avaliação e estes podem ser agrupados em análises comparativas de eficiência técnica alocativa, com dados de desfechos clínicos centrados nos pacientes e custos de vida real.

Palavras-chave: Eficiência econômica; Custo-utilidade; Doenças Raras; Jornada Assistencial de Valor; Valor em Saúde; Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)