

## Doenças raras: uma análise das avaliações realizadas pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde do Brasil (Conitec)

**Autores:** Fernanda d Athayde Rodrigues, Stéfani Sousa Borges, Bruna Bento dos Santos, Nathália Siqueira Sardinha da Costa, Clementina Corah Lucas Prado, Luciana Costa Xavier, Priscila Gebrim Louly, Luciene Fontes Schluckebier Bonan

**Instituição:** DGITS - Brasília - DF - Brasil; DGITS/MS - Brasília - DF - Brasil; DGITS/MS; IATS - Porto Alegre - RS - Brasil

**Introdução:** O tratamento de doenças raras tem sido um desafio para o Sistema Único de Saúde brasileiro. Além dos altos custos dos tratamentos, as características inerentes a esse tipo de doença trazem fragilidades para as evidências científicas de eficácia e segurança. A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec) é formada por três Comitês de especialistas: Medicamentos, Produtos e procedimentos, Protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas para que avaliam mensalmente as demandas e emitam parecer sobre incorporação, exclusão ou alteração das tecnologias no Sistema Único de Saúde (SUS). **Objetivos:** Avaliar dados qualitativos e quantitativos sobre os critérios considerados pelos tomadores de decisão em saúde da Conitec e analisar quais doenças raras foram beneficiadas pelas recomendações da comissão. **Material e Método:** Este é um estudo exploratório, descritivo e retrospectivo. Os dados de junho de 2012 a junho de 2023 foram coletados do site da Conitec por meio de um formulário de extração específico e analisados utilizando estatísticas descritivas. **Resultados:** Um total de 790 tecnologias foram avaliadas de junho de 2012 a junho de 2023, sendo 164 medicamentos para doenças raras. Dentre esses, as doenças que mais se beneficiaram foram esclerose múltipla com 13,3% (n=21), fibrose cística com 6,3% (n=10) e hipertensão pulmonar com 5,7% (n=9). Dentre as tecnologias incorporadas ao Sistema Único de Saúde para o tratamento de doenças raras, 27 tiveram inicialmente uma recomendação desfavorável e somente após consulta pública foram recomendadas para incorporação. Os motivos que contribuíram para essa mudança na recomendação foram a nova evidência científica apresentada (64%), nova negociação do preço do medicamento (28%) e novo impacto orçamentário pela revisão do cálculo da população-alvo (8%). **Discussão e Conclusões:** Os critérios para avaliar tecnologias para doenças raras são semelhantes aos adotados para outras condições clínicas. No entanto, é importante adotar critérios específicos na análise de medicamentos destinados a doenças consideradas raras para a população visando ampliar a equidade e o acesso a novos tratamentos. A negociação de preços com a indústria é um fator importante que foi destacado, favorecendo potencialmente o acesso a novos tratamentos que podem modificar a história natural dessas doenças com melhora clínica dos pacientes.

**Palavras-Chave:** Avaliação de tecnologias em saúde; Doenças raras; Sistema Único de Saúde.

### Referências Bibliográficas:

1. Conitec. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Recomendações da Conitec. [Internet] Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacaode-tecnologias-em-saude/recomendacoes-da-conitec>.