

As evidências clínicas para a incorporação de medicamentos para doenças ultrarraras: uma análise descritiva dos relatórios apresentados na CONITEC de 2012 a 2022

EIXO 1: SUSTENTABILIDADE NOS SISTEMAS DE SAÚDE

Autores: Marília Mastrocolla de Almeida Cardoso; Daniel da Silva Pereira Curado; Denis Satoshi Komoda; Juliana Machado-Rugolo; Lehana Thabane; Luis Gustavo Modelli de Andrade; Marisa Santos; Mônica Aparecida de Paula De Sordi; Silke Anna Theresa Weber

Introdução: Para várias agências de avaliação de tecnologia em saúde em nível mundial, o processo de tomada de decisão para a incorporação de tecnologias específicas para o tratamento de doenças ultrarraras tem sido um grande desafio. Essas dificuldades incluem estabelecer uma estrutura de análise específica que considere diferentes aspectos desse tipo de doença e a especificidade das demandas. Para superar esse cenário, faz-se necessário uma reavaliação das bases teóricas e metodológicas que orientam a tomada de decisão para a incorporação de tecnologias para as doenças ultrarraras. O objetivo deste estudo foi realizar uma descrição e análise dos métodos utilizados nos relatórios de recomendação avaliados pela Conitec dirigidos a este grupo de doenças, com o intuito de fornecer um panorama dos processos atuais, bem como a identificação de novas práticas, métodos ou critérios, necessidades ou deficiências, bem como a sugestão de novas soluções.

Métodos: Os dados foram extraídos dos relatórios de recomendação de tecnologias para tratamento de doenças ultrarraras avaliadas pela Conitec entre 2012 e 2022. Para a classificar a doença como ultrarrara foi utilizado o critério epidemiológico ou uma consulta à plataforma ORPHANET. A proporção de referência foi a de prevalência \leq a 1/50.000 hab. As variáveis extraídas foram: tipo de síntese de evidência, tipo de estudos incluídos, instrumento e resultado da avaliação da qualidade metodológica dos estudos, forma de apresentação da síntese de evidências, se graduou a evidência e resultado.

Resultados: Dos 53 relatórios, a maioria (34%) apresentou evidências utilizando dados de ECR com baixo risco de viés em sua maioria, seguida de revisão sistemática e estudos observacionais (24% e 25%). Observa-se que os relatórios que utilizaram revisão sistemática, foram aqueles que tiveram a maior proporção recomendada (63%). A maior parte das sínteses dos dados foi feita de forma descritiva (73%, n=39) e a graduação de todas as evidências foi em sua maioria moderada e baixa, para os 51% que aplicaram o GRADE. Não foi observada relação entre a graduação da evidência e o resultado final da recomendação. Quando comparado os dados de evidência com o resultado da recomendação, foi observado que 83% dos relatórios que apresentaram meta-análise tiveram seus relatórios recomendados, em comparação com os que apresentaram de forma descritiva (55%, n=21). Quanto ao tipo de desfecho utilizado nas análises, os classificados como substitutos foram os de maior ocorrência (exemplo: concentração de glicosaminoglicanos na urina, normalização dos níveis de IGF, Níveis de aminoácidos plasmáticos, Controle na melhora do escore HINE 2, Volume Expiratório Forçado).

Discussões e conclusões: O resultado desta análise mostrou que algumas características das evidências clínicas parecem influenciar na tomada de decisão final. Fazendo uma comparação com os argumentos apresentados nos textos finais das recomendações, percebe-se que as evidências influenciam quando há menção de novos dados, ou que a mesma apresenta potencial de mudança do curso natural da doença, diminuição de eventos graves ou aumento da sobrevida. Como limitação para as análises aqui apresentadas, citamos a heterogeneidade na estrutura dos relatórios mais antigos para os relatórios mais recentes, que acompanham os avanços metodológicos da ATS no Brasil, que se refletem nos relatórios apresentados na CONITEC.

Palavras-chave: Doenças Ultrarraras; Síntese de Evidência; Sustentabilidade; Conitec