

## Monitoramento de tecnologias incorporadas para Doenças Raras: mapeamento dos dados econômicos e de utilização.

EIXO 2: IMPLEMENTAÇÃO DE TECNOLOGIAS E DIRETRIZES CLÍNICAS EM SAÚDE

**Autores:** Mariá Gonçalves Pereira da Silva; Amanda Oliveira Lyrio; Laís Lessa Neiva Pantuzza; Ana Carolina de Freitas Lopes; Luciene Fontes Schluckebier Bonan

**Introdução:** No Brasil, as Doenças Raras são aquelas que afetam até 65 pessoas a cada 100.000 habitantes ou 1,3 a cada 2.000 indivíduos. Apesar da baixa prevalência dessas condições, é fundamental realizar o monitoramento das tecnologias implementadas para tratá-las. Isso se deve ao fato de que, frequentemente, os estudos sobre essas tecnologias envolvem amostras pequenas e sem grupos de controle, resultando em incertezas nas evidências de efetividade. Além disso, esses tratamentos frequentemente acarretam custos elevados e incertezas quanto à quantidade de usuários. Nesse contexto, torna-se fundamental o mapeamento da implementação das tecnologias já incorporadas para o tratamento de Doenças Raras no SUS.

**Métodos:** Foram selecionadas nove Doenças Raras para as quais existem Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) e tecnologias incorporadas no âmbito do SUS. Para cada tecnologia, foram monitorados dados de utilização e econômicos. Os dados de utilização das tecnologias foram extraídos por meio da Sala Aberta de Situação em Saúde (Sabeis), que é originada do Sistema de Informações Ambulatoriais do SUS (SIA/SUS). Foram consultados relatórios de recomendação elaborados pela Conitec, bem como o Banco de Preços em Saúde para a obtenção de dados econômicos. As datas de incorporação e da primeira dispensação de cada tecnologia foram verificadas para calcular o tempo de implementação. As informações referentes às tecnologias de interesse foram tabuladas e analisadas de forma descritiva.

**Resultados:** Foram identificadas 12 tecnologias utilizadas para o tratamento das doenças Atrofia Muscular Espinhal tipo I, Doença de Pompe precoce, Hemoglobinúria Paroxística Noturna e Mucopolissacaridose do tipo I, do tipo II, do tipo IVA, do tipo VI e do tipo VII no âmbito do SUS. Para fins de análise, considerou-se as 6 tecnologias com, pelo menos, um ano de utilização. O tempo mediano de implementação das tecnologias foi de 17 meses. A diferença percentual entre o número observado e estimado da quantidade de pacientes atendidos no primeiro ano de implementação apresentou mediana de 6%. Quanto ao preço unitário, observou-se redução entre aquele esperado na incorporação e o observado no ano de 2022 para 50% das tecnologias, com uma diferença global de 3% dentre as tecnologias avaliadas. O impacto orçamentário para o primeiro ano de implementação foi inferior ao estimado na incorporação para 83% das tecnologias, com variação mediana de 46% em relação ao estimado.

**Discussão e conclusões:** Destaca-se a estimativa assertiva do número de pacientes atendidos no primeiro ano de implementação na maioria das incorporações. Além disso, observou-se uma tendência positiva na redução dos preços unitários ao longo do tempo e um impacto orçamentário inferior ao previsto para a maioria das tecnologias. No entanto, é importante ressaltar que o tempo de implementação de todas as tecnologias superou o limite de 6 meses estabelecido pela legislação brasileira. A partir desses resultados, reforça-se a importância do monitoramento das tecnologias incorporadas ao Sistema Único de Saúde como uma estratégia fundamental para aprimorar continuamente o processo de implementação e garantir o acesso eficaz a tratamentos para Doenças Raras.

**Palavras-chave:** Monitoramento; Avaliação de Tecnologia em Saúde; Doenças Raras