

## **Contribuição para a Consulta Pública CONITEC/SCTIE nº 41/2022 - Uso de Limiares de Custo-Efetividade nas Decisões em Saúde: Recomendações da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS**

A Sociedade Beneficente Israelita Brasileira Albert Einstein vem através deste se manifestar sobre as recomendações apresentadas na Consulta Pública CONITEC/SCTIE nº 41/2022.

### **1. Contextualização**

#### ***1.1. Processo de Avaliação de Tecnologias em Saúde***

O processo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) tem o objetivo de fornecer subsídios para a tomada de decisão quanto à incorporação de tecnologias em saúde, de forma a promover um sistema de saúde equitativo, eficiente e de alta qualidade.<sup>1</sup>

Com este objetivo, as análises de custo-efetividade são utilizadas como forma de avaliar o investimento adicional necessário para viabilizar a incorporação de uma tecnologia frente aos ganhos clínicos esperados. O principal resultado de uma análise de custo-efetividade é a Razão de Custo-efetividade Incremental, calculada pela diferença de custos dividida pela diferença de efetividades, quando comparada a nova tecnologia que se pretende incorporar à tecnologia padrão previamente disponível<sup>2</sup>. Este indicador representa o investimento adicional que precisa ser feito para viabilizar o ganho de uma unidade de saúde adicional. Muitas vezes, esta unidade adicional (desfecho de saúde) é medida por anos de vida salvos ou anos de vida ajustados pela qualidade (QALYs) salvos, como uma forma de uniformizar a comparação dos ganhos clínicos entre tecnologias utilizadas para diferentes condições clínicas.

As análises de custo-efetividade podem ser utilizadas para priorização de incorporação de tecnologias em três situações<sup>3</sup>:

- i. Quando o objetivo de saúde a ser alcançado em uma determinada população é especificado pelos formuladores de políticas públicas e o objetivo do uso das análises de custo-efetividade é minimizar os gastos necessários para alcançar tais objetivos;
- ii. Quando uma restrição orçamentária é estabelecida e o objetivo é maximizar os benefícios de saúde para a população mantendo os gastos dentro do orçamento disponível;
- iii. Quando é definido um limite explícito do que é considerado custo-efetivo.

No Brasil, ainda não há definições explícitas dos objetivos de saúde a serem alcançados para a população nem do orçamento disponível para a incorporação de novas tecnologias. Desta forma, a definição de um limiar de custo-efetividade parece um caminho mais rápido para estabelecer critérios para incorporação de tecnologias. Entretanto, existem limitações quanto ao uso de limiares de custo-efetividade para incorporação eficiente de novas tecnologias em saúde.

#### ***1.2. Definição de limiares de custo-efetividade***

A metodologia mais difundida para estabelecimento de um limiar de custo-efetividade foi baseada na iniciativa da Organização Mundial da Saúde *World Health Organization's Choosing Interventions that are Cost-Effective* (WHO-CHOICE). Este estudo define que uma tecnologia

seria considerada custo-efetiva se o custo adicional por ano de vida ajustado pela incapacidade (*Disability Adjusted Life-Year*; DALY) salvo por sua incorporação ficasse abaixo de três vezes o Produto Interno Bruto (PIB) per capita. Tecnologias cuja razão de custo-efetividade incremental ficasse abaixo de uma vez o PIB per capita seriam consideradas muito custo-efetivas<sup>4</sup>.

Uma revisão da literatura publicada por Kazibwe J. et al<sup>5</sup> incluiu estudos econômicos publicados entre janeiro de 2015 e janeiro de 2020, desenvolvidos para países de baixa e média renda, e avaliou os limites de custo-efetividade mencionados na avaliação dos resultados. Limiares de custo-efetividade baseados no PIB per capita foram considerados como critério de decisão em 84,3% dos estudos encontrados.

Entretanto, existem limitações relacionadas ao uso dos limiares de custo-efetividade como critério principal para incorporação de novas tecnologias, destacadas em um artigo publicado por Marseille et al, 2015<sup>3</sup>:

- Mesmo se uma tecnologia for considerada custo-efetiva de acordo com um limiar de custo-efetividade pré-estabelecido, esta tecnologia pode não representar o melhor uso do orçamento de saúde limitado do país. Seria necessário comparar esta tecnologia com as demais tecnologias disponíveis para atender às prioridades de saúde do país;
- Os limiares são arbitrários, então não são facilmente encontradas justificativas para o valor exato definido para o limiar. Limiares mais baixos poderiam arbitrariamente excluir tecnologias úteis com pouca justificativa, bem como da mesma forma limiares mais altos teriam incluído tais tecnologias;
- Os limiares de custo-efetividade deveriam refletir a disposição para pagar da sociedade por benefícios de saúde adicionais. A seleção do limiar baseado em múltiplos do PIB per capita de um país assume arbitrariamente que este limite reflete as preferências da sociedade, sem que tal premissa tenha sido testada;
- A definição de limiares de custo-efetividade não contempla a definição da capacidade de pagamento e limite orçamentário dos países;
- Os modelos econômicos são sujeitos a incertezas e a definição de premissas e fontes de dados alternativas – tais como diferentes comparadores, estimativas de custo e efetividade, seleção de subgrupos da população alvo, entre outros – podem resultar em resultados de custo-efetividade distintos<sup>6</sup>;
- Modelos com resultados de razão de custo-efetividade incremental iguais podem apresentar níveis de incerteza diferentes;
- A existência de um limiar de custo-efetividade pode incentivar os fabricantes a precificarem suas tecnologias no limite para demonstrar resultados custo-efetivos, quando poderiam ter oferecido preços ainda inferiores.

Diante deste cenário, o uso de limiares de custo-efetividade pode levar a decisões sub ótimas quanto à alocação de recursos para incorporação de novas tecnologias em saúde.

A própria Organização Mundial da Saúde em sua atualização de 2021 dos métodos do projeto WHO-CHOICE<sup>7</sup> parou de utilizar os limiares de custo-efetividade de uma e três vezes o PIB per capita para agrupar intervenções custo-efetivas em função do debate e críticas observados na literatura. Mencionam ainda que os limiares sugeridos pela Comissão de Macroeconomia e Saúde tinham a intenção de ser normas globais genéricas, utilizadas para categorização de intervenções dentro de grupos para contextualização dentro de cada país e não deveriam ser utilizadas como regras de decisão nos processos de ATS.

Uma outra publicação da OMS recomenda contra o uso de limiares de custo-efetividade como regra de decisão isolada em processos de ATS e recomenda utilizar as análises de custo-efetividade como parte de um processo de tomada de decisão transparente e justo<sup>6</sup>.

### **1.3. Uso de “league tables” para priorização de tecnologias**

Como alternativa, sugerimos a utilização de “league tables”, na qual são listadas as tecnologias disponíveis para incorporação, bem como o benefício médio e o custo adicional médio por indivíduo tratado, a razão de custo-efetividade incremental alcançada, o número de pacientes potencialmente elegíveis para utilização da tecnologia e seu impacto orçamentário resultante.

Um aspecto fundamental para uso de “league tables” é a definição de um orçamento disponível para incorporação de novas tecnologias e o uso de um desfecho comum às avaliações econômicas, que possa ser utilizado para comparações entre tecnologias utilizadas para condições clínicas distintas.

### **1.4. Desfecho preferencial para inclusão nas avaliações econômicas**

Os DALYs para uma doença ou condição de saúde, mencionados previamente no estudo WHO-CHOICE da Organização Mundial da Saúde, são calculados pela soma dos anos de vida perdidos por mortalidade prematura com os anos vividos com incapacidade, permitindo a comparação de cargas de doença entre condições clínicas que gerem mortalidade precoce sem gerar incapacidade com outras com baixa mortalidade, mas alto nível de incapacidade. Geralmente as medidas de DALY são utilizadas em estudos de carga de doença para identificar as condições clínicas que mais gerem perdas de anos de vida de saúde plena para uma determinada população.

Por outro lado, o QALY é calculado pela multiplicação da expectativa de vida dos indivíduos por um fator de qualidade de vida (utilidade) que reflete seu estado de saúde ao longo do tempo. Ganhos de sobrevivência e de qualidade de vida são contemplados pelas medidas de QALY, mas não são feitas estimativas específicas em relação ao tempo de vida futuro perdido pelos pacientes.

As críticas existentes em relação ao QALY são geralmente relacionadas aos métodos utilizados para sua mensuração, ao fato de que o QALY não considera diferenças em relação a quem se beneficia pelos QALYs ganhos e à distribuição de saúde, e por último em relação à discriminação com base em idade ou nível de incapacidade<sup>8</sup>.

As críticas relacionadas à equidade de distribuição dos benefícios de saúde e ao foco maior em determinados grupos etários ou subgrupos de pacientes com incapacidades ou condições clínicas específicas são desafios comuns a políticas públicas de saúde de forma geral e devem ser endereçadas independentemente do desfecho utilizado como prioritário no processo de ATS.

Desta forma, apesar das críticas metodológicas existentes ao QALY, acreditamos ser ainda a melhor medida disponível para comparação entre tecnologias com desfechos clínicos distintos. Precisamos considerar que no Brasil ainda são limitados os estudos que avaliaram a qualidade de vida de pacientes com diferentes condições clínicas. Portanto, seria recomendável a definição de um país de referência caso não existam dados de qualidade de vida nacionais, bem como a metodologia preferencial para mensuração de dados de utilidade, sabendo que diferentes

metodologias podem levar a resultados de utilidade diferentes para um mesmo estado de saúde<sup>9</sup>.

## 2. Parecer quanto às recomendações da consulta pública

Após as considerações acima descritas, detalhamos abaixo nossas considerações a respeito das recomendações da CONITEC.

**Recomendação 1: É importante que as avaliações de incorporação de tecnologias na CONITEC adotem um parâmetro de referência de custo-efetividade em suas discussões. A custo-efetividade não deve ser um parâmetro isolado de demais fatores envolvidos na discussão e tomada de decisão em saúde.**

Como exposto acima, existem diversas limitações relacionadas à utilização de um limiar de custo-efetividade fixo. Além disso, mesmo que tal limiar seja estabelecido, a definição do orçamento disponível para incorporação de tecnologias é fundamental para que o processo de priorização de incorporação de novas tecnologias seja realizado de forma eficiente.

Entendemos, no entanto, que a definição de tal limite possa ser necessária para cumprir a Lei nº 14.313 de 21/03/2022, que traz em seu § 3º a necessidade de se estabelecerem indicadores de custo-efetividade explícitos:

“§ 3º As metodologias empregadas na avaliação econômica a que se refere o inciso II do § 2º deste artigo serão dispostas em regulamento e amplamente divulgadas, inclusive em relação aos indicadores e parâmetros de custo-efetividade utilizados em combinação com outros critérios.”

Independente da definição de um limiar de custo-efetividade, recomenda-se que haja uma definição explícita, ao menos no âmbito do governo federal, do orçamento disponível para incorporação de novas tecnologias em saúde, bem como uma discussão ampla com a sociedade sobre os objetivos de saúde prioritários do país, a serem alcançados através da incorporação tecnológica. Estes objetivos devem ser definidos em termos de condições clínicas prioritárias e objetivos de saúde serem alcançados, tais como: redução da mortalidade infantil, mortalidade relacionada a determinadas condições clínicas, oferecimento de ao menos um tratamento condições clínicas sem alternativas terapêuticas, ganhos de qualidade de vida etc.

Desta forma, será possível definir os demais critérios para priorização de novas tecnologias, além dos resultados diretos de custo-efetividade.

Uma força tarefa da ISPOR sobre o desenho e implementação de processos deliberativos<sup>10</sup> mencionou uma experiência da Tailândia com um processo de deliberação periódico para identificação e priorização de tópicos relevantes para ATS<sup>11,12</sup>. Experiências como essa poderiam servir de base para um processo semelhante no Brasil, sob coordenação da CONITEC.

**Recomendação 2: No cenário de avaliação da custo-efetividade de uma tecnologia pela CONITEC, é importante considerar o QALY como principal desfecho. Apesar disso, os envolvidos na tomada de decisão não devem limitar suas discussões ao QALY.**

Concordamos com a recomendação do QALY como principal desfecho, por permitir a comparação de todas as tecnologias em relação a um desfecho comum.

Entretanto, cientes da falta de estudos nacionais de qualidade de vida já publicados e do tempo necessário para que tais evidências sejam produzidas, recomendamos que seja incluído na recomendação que as evidências de custo-efetividade devam refletir preferencialmente o cenário Brasileiro, mas que, em caso de ausência de estudos nacionais, seja utilizado um país de referência.

O Reino Unido é um país que tradicionalmente utiliza o QALY em todas as avaliações do *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE) e que, portanto, dispõe de vasta literatura sobre o tema. Recomendamos que o Reino Unido seja recomendado como tal país de referência em caso da inexistência de dados de utilidade nacionais.

Acreditamos que, na medida em que os dados de utilidade passem a ser utilizados como preferíveis nas avaliações da CONITEC, mais estudos serão desenvolvidos no Brasil e publicados com resultados de utilidade nacionais.

**Recomendação 3: A definição de um valor de referência de custo-efetividade deve se pautar, preferencialmente, na abordagem metodológica da eficiência do sistema de saúde (custo de oportunidade) e na abordagem da fronteira de eficiência, quando aplicável.**

Como detalhado previamente, acreditamos que a definição de um limiar de custo-efetividade fixo possa levar a decisões não otimizadas em relação à alocação dos recursos para incorporação de tecnologias em saúde no Brasil. Recomendamos como alternativa que seja definido um orçamento para incorporação de tecnologias e que sejam utilizadas “league tables” tendo o QALY como desfecho comum, de forma a ranquear e priorizar as tecnologias mais custo-efetivas dentro do orçamento disponível.

Entretanto, caso a definição de um limiar de custo-efetividade seja mandatória para cumprimento da Lei nº 14.313/2022, concordamos que a melhor abordagem seria a de custo de oportunidade, refletindo o custo dos benefícios de saúde que deixariam de ser alcançados pelas tecnologias não priorizadas para incorporação, pois ela contempla o objetivo de um país ao utilizar ATS para priorização de novas tecnologias, sendo ele o de otimizar a eficiência alocativa dos recursos do país, maximizando a saúde da população frente ao orçamento disponível.

**Recomendação 4: A critério do julgamento da CONITEC, são contextos passíveis de limiares alternativos de custo-efetividade por promoverem a inovação e equidade em saúde para o SUS:**

- Doença acometendo crianças e implicando reduções importantes de sobrevida ajustada pela qualidade;
- Doença grave com reduções importantes de sobrevida ajustada pela qualidade;
- Doença rara com reduções importantes de sobrevida ajustada pela qualidade;
- Doença endêmica em populações de baixa renda com poucas alternativas terapêuticas disponíveis.

Concordamos com a definição de condições específicas para as quais devam ser considerados critérios que vão além dos tradicionalmente utilizados para as tecnologias em geral.

Também para estas definições de critérios é fundamental que se estabeleçam explicitamente as prioridades de saúde a serem alcançadas pelo processo de incorporação tecnológica no Brasil, de forma que sejam compreensíveis as decisões de incorporação de tecnologias que atendam a tais critérios alternativos.

Adicionalmente, sugerimos que seja avaliado o potencial de ganho de escala e a existência de uma curva de aprendizado ao longo do tempo com o uso de novas tecnologias, especialmente novos procedimentos, equipamentos e materiais médicos, que influenciem a sua custo-efetividade nos anos subsequentes à incorporação.

**Recomendação 5: Em situações coerentes com a hipótese de limiares alternativos, é aceitável um limiar de até 3 vezes o valor de referência.**

Acreditamos que nos casos alternativos, a melhor forma de definir a incorporação de novas tecnologias não seria pelo limiar de custo-efetividade e sim pelo grau de atendimento às prioridades de saúde do país somado à avaliação do impacto orçamentário da nova tecnologia e do custo de oportunidade relacionado às tecnologias não incorporadas para viabilizar tal incorporação.

Além disso, vale mencionar que, no caso de doenças raras, mesmo um limite de custo-efetividade de três vezes o PIB per capita não seria provavelmente suficiente para viabilizar a incorporação de tecnologias destinadas a estas condições clínicas. Incorporações de tecnologias recentes para doenças raras pela CONITEC apresentavam razões de custo-efetividade incremental acima deste limiar<sup>13,14</sup>.

**Recomendação 6: O valor de referência de custo-efetividade fica estabelecido como 1 PIB per capita.**

Apesar de recomendarmos pela não definição de um limiar de custo-efetividade fixo para o Brasil no momento atual, entendemos que esta definição pode ser mandatória para cumprimento da Lei nº 14.313/2022. Neste caso, o valor de uma vez o PIB per capita está dentro do intervalo proposto como viável para o cenário Brasileiro no estudo desenvolvido pelo Instituto de Efetividade Clínica e Sanitária (IECS) da Argentina<sup>15</sup>, estudo selecionado pela CONITEC como referência para embasar a definição do limiar e que se baseou na abordagem de custo de oportunidade.

No caso da definição de um limiar de custo-efetividade fixo, é fundamental que este seja compatível com o orçamento disponível no país para incorporação de tecnologias. Caso contrário, será um limite teórico, não passível de ser utilizado na prática pela falta de recursos financeiros para incorporação.

**Recomendação 7: As discussões relacionadas a tecnologias avançadas (terapias gênicas ou curativas) ou indicadas em doenças ultrarraras (até 1 caso em cada 50.000 pessoas) serão pautados em critérios específicos, a serem definidos posteriormente pela CONITEC.**

Concordamos que neste caso critérios alternativos devam ser estabelecidos para incorporação de tecnologias.

Recomendamos ainda que as tecnologias contempladas nos subgrupos listados na “Recomendação 4” também passem por um novo processo de definição de critérios de priorização, alinhados com a definição das prioridades de saúde do país a serem alcançadas pelo processo de incorporação de tecnologias.

### 3. Referências

---

- <sup>1</sup> O’Rourke B, Oortwijn W, Schuller T. Announcing the New Definition of Health Technology Assessment. *Value Health* 2020;23(6):824-5.
- <sup>2</sup> Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Ciência e Tecnologia. Diretrizes metodológicas: Diretriz de Avaliação Econômica / Ministério da Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, Departamento de Ciência e Tecnologia. – 2. ed. – Brasília: Ministério da Saúde, 2014.
- <sup>3</sup> Marseille E, Larson B, Kazi DS, et al. Thresholds for the cost–effectiveness of interventions: alternative approaches. *Bull World Health Organ* 2015; 93:118-24.
- <sup>4</sup> Choosing interventions that are cost-effective [Internet]. Geneva: World Health Organization; 2014. Available from: <http://www.who.int/choice/en/> [cited 2014 Nov 27].
- <sup>5</sup> Kazibwe J, Gheorghe A, Wilson D, et al. The Use of Cost-Effectiveness Thresholds for Evaluating Health Interventions in Low- and Middle-Income Countries From 2015 to 2020: A Review. *Value Health* 2022; 25(3):385-9.
- <sup>6</sup> Bertram M, Lauer J, Joncheere K, et al. Cost-effectiveness thresholds: pros and cons. *Bull World Health Organ*. 2016; 94(12):925-30.
- <sup>7</sup> Bertram M, Lauer J, Stenberg K, et al. Methods for the Economic Evaluation of Health Care Interventions for Priority Setting in the Health System: An Update From WHO CHOICE. *Int J Health Policy Manag* 2021; 10(11):673-7.
- <sup>8</sup> Rand LZ, Kesselheim AS. Controversy over using Quality-Adjusted Life-Years in cost-effectiveness analyses: a systematic literature review. *Health Affairs (Project Hope)* 2021; 40(9):1402-10.
- <sup>9</sup> Lipman S, Brouwer W, Attema A. What is it going to be, TTO or SG? A direct test of the validity of health state valuation. *Health Economics*. 2020; 29:1475-81.
- <sup>10</sup> Oortwijn W, Husereau D, Abelson J, et al. Designing and Implementing Deliberative Processes for Health Technology Assessment: A Good Practices Report of a Joint HTAi/ISPOR Task Force. *Int J Technol Assess Health Care* 2022; 38(1):e37.
- <sup>11</sup> Leelahavarong P, Douthipsirikul S, Kumluang S, et al. (2019) Health technology assessment in Thailand: Institutionalization and contribution to healthcare decision making: Review of literature. *Int J Technol Assess Health Care* 2019; 35:467-73.
- <sup>12</sup> Tantivess S, Douthipsirikul S. Leaving no one behind: Participatory technology appraisal as a platform for agenda setting to address disparities in access to health services in Thailand. *Int J Technol Assess Health Care* 2019; 35:340-5.
- <sup>13</sup> Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Ciência e Tecnologia. Relatório de recomendação no 709: Risdipam para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) tipo I; Fevereiro/2022. Disponível em: [http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2022/20220314\\_Relatorio\\_709\\_risdipam\\_AMEtropol.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2022/20220314_Relatorio_709_risdipam_AMEtropol.pdf)

---

<sup>14</sup> Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Ciência e Tecnologia. Relatório de recomendação no 709: Risdipam para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) tipo II e III; Fevereiro/2022. Disponível em: [http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2022/20220314\\_Relatorio\\_710\\_risdipam\\_AMETipIIeIII.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2022/20220314_Relatorio_710_risdipam_AMETipIIeIII.pdf)

<sup>15</sup> PICHON-RIVIERE, A.; AUGUSTOVISKY, F.; GARCIA-MARTI, S. Derivation of cost- effectiveness thresholds based on per capita health expenditures and life expectancy, and country-level estimates for 194 countries. Buenos Aires: [S. n.], 2016. (IECS Technical Document, n. 16).