

A BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. (“BioMarin”) se posiciona respeitosamente de maneira contrária ao documento objeto da Consulta Pública CONITEC/SCTIE nº 41/2022 (“CP”). A empresa é contrária à existência de um limiar de custo-efetividade incremental rígido, principalmente na sua aplicação a doenças raras e ultrarraras, na medida em que não trará melhorias ao processo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (“ATS”) no Brasil. As análises de custo-efetividade são parte mandatória dos dossiês de submissão, nos termos do art. 19-O, parágrafo único, da Lei 8.080/1990, e do art. 3º, inc. IV, do Decreto 7.646/2011; e já são utilizadas para motivar as decisões da CONITEC, em conjunto com outros critérios, mesmo sem a existência de um limiar.

Há muitas oportunidades de melhoria no processo atual de ATS, principalmente em termos de harmonização, qualidade, preparo e objetividade do processo decisório em plenária. Essas oportunidades de melhoria não serão enfrentadas com a definição de um limiar – pelo contrário, estaria apenas se fortalecendo a concentração da discussão em uma narrativa única, limitada e potencialmente enviesada.

ASPECTOS FORMAIS

O documento submetido à CP traz sugestões que foram obtidas a partir de uma discussão interna realizada em abril de 2022 com apenas 9 dos 13 membros da CONITEC, sem prévia discussão e deliberação plenária, tampouco qualquer engajamento dos principais atores da sociedade civil potencialmente impactados pelo tema.

Apesar do que dispõe o § 3º da Lei nº 14.313 de 21/03/2022, a referida CP não apresenta qual seria o fundamento legal para justificar a realização da oficina que originou as recomendações nos moldes em que fora feito, tampouco há fundamentação prévia que indique a autonomia da CONITEC de criar um limiar de custo-efetividade dentre as competências elencadas pelo art. 4º do Decreto 7.646/2011.

Vale notar que não foi disponibilizada no site da CONITEC ou nas plataformas digitais, a gravação do conteúdo da aludida oficina, contrariando a regra de publicidade dos atos.

Ademais, do que se infere da limitada informação acerca da referida oficina, o documento refletiria exclusivamente a opinião individual e não identificada dos presentes membros da CONITEC. Após a realização da oficina, s.m.j., não houve qualquer processo de consulta aos membros ausentes, o que naturalmente poderia afetar as recomendações ora propostas.

De início, a legitimidade desse posicionamento deveria ser questionada, pois o mesmo não refletiria a opinião da totalidade do colegiado da CONITEC ou da sociedade sobre o tema e não está respaldado em qualquer regramento ou previsibilidade que chancele o rito ora aplicado, tampouco o escopo do que se pretende criar como um regulamento.

Logo, a construção do documento se deu de forma unilateral e não transparente, em desacordo com o primado constitucional da publicidade dos atos administrativos.

ASPECTOS METODOLÓGICOS

A BioMarin entende que o envolvimento da sociedade não deveria ser feito apenas no momento de revisão em Consulta Pública, e sim desde a construção do documento-base para subsidiar futuro ato normativo.

Aliás, no afã de regulamentar o tema, a CONITEC alega que “o debate pela decisão sobre a adoção ou não de um limiar de custo-efetividade é um tema aguardado há muito tempo pelos principais atores envolvidos na ATS em nosso país.”

No entanto, na contramão de qualquer diretriz de análise de impacto regulatório (AIR), vemos que a CONITEC discricionariamente enviou sua análise para debater a criação do limiar como “a ferramenta” para a solução de um problema regulatório relacionado a aplicação e previsibilidade das ferramentas de custo-efetividade.

Não obstante, a CONITEC falhou ao não indicar que outras ferramentas/metodologias poderiam ser aplicadas para qualificar a tomada de decisão sob a ótica de custo-efetividade, sinalizar os possíveis impactos de cada solução vislumbrada e então divulgar, antes da criação de uma consulta pública, um documento prévio em que buscasse a contribuição de todos os atores envolvidos no tema sobre diferentes abordagens.

Ainda que superadas essas questões de vício/enviesamento de origem na consulta pública, a metodologia para construção do documento apresenta limitações importantes. A oficina não atingiu consenso em algumas recomendações, e não foram feitos ajustes nas recomendações com base na argumentação para aumentar a concordância, conforme se depreende da leitura da página 5 do [Relatório](#)¹.

A despeito de ser uma iniciativa fora das competências legais da CONITEC, analisando a dinâmica das tomadas de decisão do Plenário da CONITEC, o documento oculta os votos de cada membro, em contrariedade com a disposição do art. 7º, §5º do Decreto 7646/2011.

O texto da CP também não explora/justifica o racional dos membros que declararam não concordar com cada recomendação, o que naturalmente compromete a qualidade do debate (não só durante a oficina,

¹ “A Conitec considerava importante ter um limiar de referência, havendo **concordância da maioria**”. (...) “O QALY foi considerado como principal desfecho a ser considerado nas discussões da Conitec, mas o **consenso não foi tão evidente**”.

mas igualmente durante a Consulta Pública) e tira justamente a oportunidade de depuração sobre qual seria o real índice de concordância/dissonância, na medida em que não fomentou debate.

Ato contínuo, o documento também não ajusta as recomendações de modo a conciliar as opiniões contrárias na tentativa de atingir consenso, conforme preconizado pela metodologia Delphi.

Adicionalmente, apesar de terem sido convidados especialistas para a oficina, os votos nas recomendações foram feitos apenas pelos membros da CONITEC.

Quanto às referências utilizadas, nas seções dos relatórios onde são citadas metodologias aplicadas por agências e sistemas internacionais, não se faz uma avaliação prévia da real adequação e pertinência das mesmas, a fim de se confirmar que geram resultados positivos.

Posicionamento 1

Com relação à proposta de um limiar de custo-efetividade incremental baseado no PIB per capita, pode-se afirmar que não há sentido prático para esta metodologia de definição.

Acredita-se que atrelar decisões de tecnologias em saúde a este critério monetário é o mesmo que afirmar que uma população economicamente ativa, habitante em um país de moeda forte, tem valor maior que aquela de um país em desenvolvimento, e, portanto, valeria mais a pena empregar os mesmos recursos financeiros (i.e. custo das tecnologias) para salvar uma vida no primeiro caso.

Apesar de afirmar que “a custo-efetividade não deve ser um parâmetro isolado de demais fatores envolvidos na discussão”², não são mencionados nem ponderados estes outros parâmetros, o que poderia aumentar a subjetividade das análises, uma vez que caberia à plenária ajustar o peso de cada um deles, sem uniformidade ou transparência, situação indesejada para o Estado Democrático de Direito.

De maneira complementar a discutir o limiar de custo-efetividade incremental, entende-se que deveria estar sendo discutida a formalização e padronização da metodologia global de tomada de decisão pela CONITEC, em atenção aos esforços concentrados para se aprimorar as decisões tomadas nos processos de ATS.

Posicionamento 2

A BioMarin concorda com o posicionamento do documento, afirmando que o QALY deve ser considerado o desfecho preferencial. Ao mesmo tempo, é importante garantir que exista certa flexibilidade quando o demandante, os técnicos ou os decisores entenderem que deve ser analisado em conjunto com outro desfecho, possivelmente mais relevante para a condição de saúde em questão, não havendo necessidade de se limitar as discussões de incorporação ao QALY. Registra-se que o QALY possui limitações ao definir uma medida única (em afronta ao princípio da isonomia) para populações com características diversas, tais como, idade; gravidade e raridade da doença. De qualquer forma, entendemos que este ponto não parece causar atualmente grandes controvérsias nos processos de tomada de decisão.

² Pág. 7 do Relatório.

Posicionamento 3

A BioMarin discorda da preferência pela abordagem da eficiência do sistema de saúde, pois comparar o benefício de uma incorporação ao custo de oportunidade equivale a resumir seu benefício unicamente ao impacto financeiro que aquela tecnologia traria ao país.

No caso brasileiro, a CONITEC é uma Comissão consultiva, e não é gestora do recurso público, e, portanto, não está atualmente legalmente legitimada para avaliar custo de oportunidade em saúde (seja este relacionado a investir em outras tecnologias, ou mesmo não investir em nenhuma delas). Caso a CONITEC faça uma recomendação favorável, é o Ministério da Saúde que poderia acatar ou não, com visibilidade e controle do orçamento global e o impacto da nova tecnologia no mesmo.

Sobre a metodologia da fronteira da eficiência, o Relatório a menciona, mas não explicita quais seriam os casos passíveis de sua utilização, deixando brecha para mais subjetividade e imprevisibilidade no processo de tomada de decisão, o que poderia potencialmente ferir os princípios constitucionais da impessoalidade e da moralidade estampados no art. 37 da Constituição e no art. 2^a, *caput*, da Lei 9.784/1999, além de aumentar o cenário de insegurança jurídica sobre o mecanismo de ATS.

A BioMarin defende que tomar decisões com base exclusivamente no custo de oportunidade não representa o interesse público, e que devem ser utilizadas outras abordagens, como a **fronteira de eficiência e MCDA (Análise de Decisão Multicritérios)**, amplamente utilizadas em outros Países.

A Análise de Decisão Multicritérios deve ser avaliada como uma ferramenta extra que a CONITEC pode lançar mão, haja vista a possibilidade de criar pesos para outros critérios mais alinhados e adequados à realidade brasileira.

Posicionamento 4

A BioMarin entende que em todos os casos considerados excepcionais, não apenas os listados, serão necessárias análises e discussões mais amplas, independentes da existência de qualquer limiar de custo-efetividade incremental, em vez da definição de um limiar alternativo.

Justamente por serem excepcionais, não devem ser atrelados ao racional de custo de oportunidade embutido na discussão de custo-efetividade, notadamente porque minimizam o benefício observado do tratamento ao critério financeiro de retorno do investimento do pagador.

Posicionamento 5

À luz das contribuições sobre o posicionamento 4, a empresa também entende que não há fundamento para definição de um limiar alternativo de 3 até vezes o valor de referência, uma vez que os casos excepcionais não deveriam ser atrelados a um limiar rígido.

No caso específico das doenças raras, por exemplo, a diferença no número de pacientes acometidos e a serem tratados, quando comparadas às demais doenças, chega a ser de muitas ordens de grandeza maior do que apenas 3 vezes, como considerado no posicionamento proposto, podendo chegar a centenas de vezes.

Posicionamento 6

Como discutido anteriormente, a BioMarin entende que não deve haver um limiar de custo-efetividade incremental rígido para nenhuma análise da CONITEC. No caso das doenças ultrarraras e as terapias avançadas, mencionadas neste posicionamento, a inviabilidade de sua aplicação se torna ainda mais evidente. Neste sentido, a BioMarin cumprimenta o documento ao reconhecer sua excepcionalidade.

O processo de avaliação, recomendação e decisão sobre tratamentos para doenças raras e ultrarraras têm especial relevância para o sistema de saúde brasileiro, visto que são áreas em que as avaliações de custo-efetividade, mesmo sem definição de limiares, podem não ser as mais apropriadas para a melhor tomada de decisão.

Adicionalmente, não há características das doenças ultrarraras que justifiquem diferenciar a construção de políticas públicas específicas para elas em detrimento das doenças consideradas raras, uma vez que estas também têm sido alvo de importantes discussões em diferentes camadas da sociedade civil e do poder público (Legislativo, Judiciário).

Dessa forma, recomendamos que as doenças raras (até 60:100.000 NV) também sejam incluídas neste Posicionamento, ficando clara e especialmente passíveis de isenção de limiar de custo-efetividade.

No entanto, cabe-se ressaltar que já existem terapias avançadas com registro no Brasil, bem como tratamentos para doenças ultrarraras, que já foram ou serão discutidas pela CONITEC, reforçando a celeridade necessária para a definição dos critérios específicos mencionados no posicionamento e a confirmação de que não cabe limiar específico.

ASPECTOS JURÍDICOS

Em que pese os esforços dos membros da CONITEC durante as discussões e recomendações sobre o uso de limiares de custo-efetividade no processo de avaliação de ATS no SUS, a BioMarin chama a atenção para o fato de que os debates até aqui não se debruçaram sobre possíveis implicações jurídicas a respeito de se estabelecer um limiar-custo efetividade.

A Constituição Federal, em seu art. 196, estabelece o direito à saúde como direito fundamental: *“A saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação”*.

Como se sabe, o texto constitucional assegura o direito universal de saúde a todos e não estabelece nenhuma limitação ou condicionante. Entende-se que a definição de limiares rígidos fugiria ao que se entende como “políticas sociais e econômicas”, e excederia assim o intuito de regulamentar o acesso universal, e efetivamente criaria barreiras ao mesmo, indevidamente restringindo direito fundamental assegurado pela Constituição.

Nesse sentido, a iniciativa da CONITEC, se avançar nos moldes propostos, poderia eventualmente gerar decisões inconstitucionais, na medida em que criaria limites/restrições/condicionantes de acesso à saúde entre diferentes cidadãos.

O cerne da reflexão, portanto, restringe-se ao fato de que a iniciativa da CONITEC, ou seja, um ato regulamentar, e portanto, infraconstitucional e infralegal, estaria criando barreiras/restrições ao acesso universal à saúde que o próprio texto constitucional não teria criado.

Sob este ângulo, eventualmente as tomadas de decisões da CONITEC, portanto, poderiam ser questionadas sob o ponto de vista de sua constitucionalidade.

Outrossim, o Relatório afirma que dilemas de decisões no contexto de doenças ultrarraras e as discussões relacionadas a tecnologias avançadas (terapias gênicas) serão objeto de discussões futuras. Confira-se:

- “A apresentação pontuou ainda dilemas a serem resolvidos em **discussões futuras**: decisões no contexto de doenças ultrarraras”.
- “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”

Com a devida deferência, a BioMarin entende que postergar as discussões sobre tal tema afronta aos princípios da eficiência administrativa e do interesse público, previstos no art. 37 da Constituição Federal. Deixar para o futuro (indeterminado) o debate de tema de suma importância, notadamente quando está em curso discussões sobre o aprimoramento do processo decisório das avaliações em ATS, além de contraditório, gera claro problema de eficiência e de gestão dos recursos humanos e financeiros públicos. Além disso, revela-se decisão discriminatória, priorizando, imotivadamente, a implementação de um limiar de custo-efetividade, ao passo que outros problemas regulatórios explicitamente reconhecidos seriam, inexplicavelmente, colocados em segundo plano.

Ademais, ao assim entender, a iniciativa da CONITEC não observaria o comando do art. 20 da Lei de Introdução às Normas do Direito Brasileiro (“LINDB”), que assim dispõe: *“Nas esferas administrativa, controladora e judicial, não se decidirá com base em valores jurídicos abstratos **sem que sejam consideradas as consequências práticas da decisão**”.*

É dizer, a postergação indeterminada de tema relevante – e que deveria já ser discutido no contexto da presente iniciativa – traduz-se em decisão protocolar e formal, que deixou de avaliar potenciais consequências negativas decorrentes de tal posicionamento. É importante salientar a potencialização de insegurança jurídica dos pacientes e dos demandantes, na medida em que a CONITEC não se debruçará para o aperfeiçoamento dos critérios de incorporação de medicamentos considerados terapias avançadas e/ou destinados ao tratamento de doenças ultrarraras, deixando de avaliar a continuidade dos impactos negativos do atual processo de decisões em ATS, sabidamente cercado de subjetivismo e imprevisibilidade.

Com base em experiências recentes, fica evidente que existem questões que são mais prementes à atuação da CONITEC como agenda positiva de mudança no Sistema Único de Saúde, como a correção de eventual superestimativa nos impactos orçamentários previstos nas ATS, inclusive como apontado em relatório da Controladoria Geral da União (CGU). Em alguma medida, alardear a adoção de limiar de custo-efetividade como meio de promoção de eficiência do sistema de saúde seria uma artificial maneira de desviar a atenção de problemas latentes e já identificados e discutidos em diversos fóruns.

CONSIDERAÇÕES FINAIS E CONCLUSÃO

Mais do que alteração da metodologia ou definição de parâmetros, é importante que os membros da plenária estejam bem-preparados para realizar uma avaliação coerente, levando em conta e ponderando todos os aspectos apresentados e discutidos.

A BioMarin entende que no modelo atual um limiar rígido não irá enriquecer as discussões, e que há oportunidade de melhorar a clareza e a qualidade do processo de tomada de decisão por membros da plenária, com as informações já presentes nos dossiês e análises técnicas do DGITIS.

Outras oportunidades de melhoria já identificadas e que não dependem de um limiar são: **(i)** maior atenção à participação social na tomada de decisão; **(ii)** discussão mais técnica ao redor da relevância dos critérios clínicos, indo além da discussão puramente acadêmica sobre qualidade da evidência ou MBE; **(iii)** possíveis rodadas de negociação confidenciais entre DGITIS e empresa demandante para viabilizar incorporações; **(iv)** análises objetivas sobre o efeito do impacto orçamentário da tecnologia no sistema de saúde e impacto na sustentabilidade (custo de oportunidade).

A decisão de focar na adoção de limiar vai na contramão do diálogo, pois torna o processo mais engessado e intransigente. A existência de um limiar não necessariamente melhora o processo de tomada de decisão em países que o implementaram; em contrapartida enxerga-se mais possibilidades de tratamento sendo criadas em países e sistemas mais abertos ao diálogo e participação de todos os atores da sociedade. Adicionalmente, uma análise de custo-efetividade visa discutir a eficiência do investimento em saúde e retorno para a sociedade, o que não está alinhado com as análises da CONITEC, que são feitas exclusivamente sob a perspectiva do sistema de saúde.

Reforçamos, portanto, nosso posicionamento respeitosamente contrário a este documento, sugerindo discussões mais amplas e estruturadas desde o início da elaboração do documento-base que subsidiará futuro ato normativo.

Ademais, a BioMarin entende que o documento publicado pela CONITEC é obscuro, pois ele não esclarece como as recomendações nele apresentadas serão utilizadas. Ou seja, resta a dúvida se esse documento se desdobrará em uma Portaria ou em um Decreto, ou se resultará no desenvolvimento de um guia de uso de limiares de custo-efetividade no SUS.

Dessa forma, espera-se que os pontos levantados no bojo desta e das demais manifestações contribuam para sensibilizar a necessidade de uma discussão mais profunda e transparente sobre o tema.

Por fim, a BioMarin anseia que o documento intitulado *“O uso de limiares de custo-efetividade nas decisões em saúde: recomendações da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS”* não seja publicado em versão final como guia orientativo ou como ato normativo sem o prévio e amplo debate da sociedade, mesmo reconhecendo a autonomia do Ministério da Saúde na qualidade de coordenador da política de gestão de tecnologias no País.