

**FUNDAÇÃO GETULIO VARGAS - FGV
ESCOLA DE ADMINISTRAÇÃO DE EMPRESAS DE SÃO PAULO**

MÁRCIA TREGLIA

**MODELOS INOVADORES DE FINANCIAMENTO NA SAÚDE:
FERRAMENTAS DE ACESSO PARA PACIENTES QUE NECESSITAM DE
TRATAMENTOS COM MEDICAMENTOS DE ALTO CUSTO**

São Paulo

2021

MÁRCIA TREGLIA

**MODELOS INOVADORES DE FINANCIAMENTO NA SAÚDE:
FERRAMENTAS DE ACESSO PARA PACIENTES QUE NECESSITAM DE
TRATAMENTOS COM MEDICAMENTOS DE ALTO CUSTO**

Trabalho Aplicado apresentado à Escola de Administração de Empresas de São Paulo da Fundação Getúlio Vargas, como requisito para a obtenção do título de Mestre em Gestão para a Competitividade. Linha de pesquisa: Gestão em Saúde.

Orientadora: Profa. Dra. Ana Maria Malik

São Paulo

2021

Treglia, Márcia.

Modelos inovadores de financiamento na saúde : ferramentas de acesso para pacientes que necessitam de tratamentos com medicamentos de alto custo / Márcia Treglia. - 2021.

87 f.

Orientador: Ana Maria Malik.

Dissertação (mestrado profissional MPGC) – Fundação Getulio Vargas, Escola de Administração de Empresas de São Paulo.

1. Medicamentos - Preços. 2. Medicamentos - Acessibilidade. 3. Serviços de saúde - Financiamento. 4. Saúde suplementar. 5. Contratos. I. Malik, Ana Maria. II. Dissertação (mestrado profissional MPGC) – Escola de Administração de Empresas de São Paulo. III. Fundação Getulio Vargas. IV. Título.

CDU 661.12

Ficha Catalográfica elaborada por: Isabele Oliveira dos Santos Garcia CRB SP-010191/O

Biblioteca Karl A. Boedecker da Fundação Getulio Vargas - SP

MÁRCIA TREGLIA

**MODELOS INOVADORES DE FINANCIAMENTO NA SAÚDE:
FERRAMENTAS DE ACESSO PARA PACIENTES QUE NECESSITAM DE
TRATAMENTOS COM MEDICAMENTOS DE ALTO CUSTO**

Trabalho Aplicado apresentado à Escola de Administração de Empresas de São Paulo da Fundação Getúlio Vargas, como requisito para a obtenção do título de Mestre em Gestão para a Competitividade. Linha de pesquisa: Gestão em Saúde.

Data da aprovação: 22/04/2021.

Banca Examinadora:

Profa. Dra. Ana Maria Malik (Orientadora)
(FGV – EAESP)

Prof. Dr. Denizar Vianna Araújo
(UERJ)

Prof. Dr. Evandro Penteado Villar Felix
(FGV – EAESP)

São Paulo

2021

Dedico este trabalho à minha família!

AGRADECIMENTOS

Agradeço, em primeiro lugar, a minha orientadora, por sua paciência e dedicação, atenção, clareza nos seus direcionamentos e, principalmente, pela dedicação aos ensinamentos em saúde.

Aos professores membros da banca examinadora, Prof. Dr. Denizar Vianna Araújo, por todo o apoio, incentivo, conversas inspiradoras; e a Evandro Penteado Villar Felix, pelo incentivo e pelas orientações que tanto contribuíram ao desenvolvimento deste trabalho aplicado.

A meu pai (*in memoriam*), que deixou exemplos, valores, respeito, ética e honestidade.

A minha mãe, que me ensinou a importância do estudo, do pensar e refletir, da responsabilidade sobre o próprio destino; pelo incentivo, apoio e ajuda, por me ensinar a caminhar pela vida com força e garra.

A meu marido, companheiro, melhor amigo, parceiro, que aceitou embarcar comigo neste trabalho tão complexo, consciente do quanto teria de assumir de responsabilidade sobre os cuidados com nosso filho.

A meu filho, que retribuía com um sorriso quando eu dizia que não podia brincar porque precisava estudar.

A minha irmã e a minha sobrinha, pelo apoio, por me escutarem, incentivarem e perdoarem minhas ausências.

Agradeço a toda minha família, direta ou de coração, por entender minhas ausências, apoiar meu trabalho e incentivar meus estudos.

Aos amigos da AxiaBio, que tanto me ensinaram e compartilharam no período que trabalhamos juntos.

Aos amigos do Sindusfarma, pelas conversas e discussões, foram estudos que tanto contribuíram para a construção deste trabalho.

Aos professores do MPGC, pela dedicação, orientação e apoio.

Enfim, aos colegas de turma – Simone, Amilton, Fitti, Joatan, Luiz, Tiago Cid; Cyrillo, Gabriel, Graziela, Fernando, Fernanda, Jorge, Marcos, Rafaella, Rute, Shirley, Thiago e Valéria, por todos os bons momentos que tivemos, mesmo em meio a um momento tão crítico da vida.

“Só sei que nada sei...”

Sócrates – Atenas (Grécia), 469 a.C. – 399 a.C.

RESUMO

O presente trabalho aplicado teve como objetivo identificar se “os modelos ‘inovadores’ de financiamento são ‘ferramentas’ de acesso para pacientes que necessitam de tratamentos com medicamentos de alto custo”. Além de entender como os modelos inovadores de financiamento em saúde vêm sendo discutidos e implementados na Inglaterra, Itália e Estados Unidos da América, buscou-se analisar o uso dos modelos inovadores como facilitadores do acesso a terapias de alto custo e entender suas possibilidades de adaptação para a realidade brasileira. A pesquisa se concentrará em dois modelos: Contratos de Compartilhamento de Risco e Resseguro. Os Contratos de Compartilhamento de Risco têm como essência a divisão, entre a indústria farmacêutica e os sistemas ou organizações de saúde, dos riscos e das responsabilidades que acompanham a utilização de medicamentos de alto custo no mundo real, condicionando o pagamento aos resultados do tratamento e ao desempenho do medicamento. O Resseguro tem o objetivo de ajudar as seguradoras e/ou as empresas que contratam seguro saúde como um benefício para seus colaboradores, que se antecipam para reduzir o risco e impacto da elevação inesperada dos custos das despesas médicas. O resultado obtido pela utilização da metodologia “Theory Building from Cases”, como estratégia de desenvolvimento, mostrou, em linhas gerais, que há vários requisitos básicos para implementação de projetos inovadores de financiamento e avaliação de tecnologias em saúde, além daqueles mencionados na literatura: banco de dados, definição de desfechos, envolvimento da sociedade e transparência nos processos. Há também diversas barreiras a superar, como dificuldades orçamentárias, financiamento escasso e base de dados não confiável. Pôde-se perceber que há relevante assimetria informacional entre os principais agentes envolvidos no tema, o que torna o debate pragmático um dos pontos centrais para implementação dessas ferramentas.

Palavras-chave: Risco compartilhado. Acessos. Avaliação de tecnologias em Saúde. Contrato de compartilhamento de risco. Modelos inovadores de Financiamento. Financiamento em saúde. Resseguro. Medicamentos de alto custo. Theory Building case.

ABSTRACT

The present study aimed to identify whether "the 'innovative' models of financing are 'tools' of access for patients who need high-cost drug treatments". In order to understand how innovative models of health financing have been discussed and implemented in England, Italy and the United States of America, we sought to analyze the use of innovative models as facilitators of access to high-cost therapies and understand their possibilities of adaptation to the Brazilian reality. The research will focus on two models: Risk Sharing and Reinsurance Agreements. Risk Sharing Contracts are essentially divided between the pharmaceutical industry and health systems or organizations of the risks and responsibilities that accompany the use of high-cost drugs in the real world, conditioning the payment to the results of treatment and the performance of the drug. Reinsurance aims to help insurers and/or companies that hire health insurance as a benefit to their employees, who anticipate to reduce the risk and impact of unexpectedly rising medical expenses costs. The result obtained using the methodology "Theory Building from Cases ", as a development strategy, showed, in general terms, that there are several basic requirements for the implementation of innovative projects for financing and evaluation of health technologies, in addition to those mentioned in the literature: database, definition of outcomes, involvement of society and transparency in processes. There are also several barriers to overcome, such as budget difficulties, scarce funding and an unreliable database. It was possible to notice that there is relevant informational asymmetry between the main agents involved in the theme, which makes the pragmatic debate one of the central points for the implementation of these tools.

Keywords: Shared risk. Access. Evaluation of health technologies. Risk sharing contract. Innovative Financing Models. Health financing. reinsurance. High-cost drugs. Theory Building case.

LISTA DE ILUSTRAÇÕES

Figura 1 - Estrutura DGTIS.....	45
Figura 2 - Fluxo de Incorporação de Tecnologia	46
Figura 3 - Fluxo das Etapas de Atualização do Rol.....	47
Figura 4 - Fluxo de elaboração/atualização de Protocolos e Diretrizes.....	49
Gráfico 1 - Principais itens judicializados em segunda Instância (%) – Dados 2019.....	32
Gráfico 2 - Processos de Saúde em primeira instância (em milhares) – Variação de 2009 – 2017 (aumento de 198%)	32
Gráfico 3 - Porcentagem das despesas totais com medicamentos paga por fonte em 2014.	41
Gráfico 4 - Porcentagem de respostas de acordo com o número de vezes que foram mencionadas pelos entrevistados	62
Quadro 1 - Modelos Inovadores de Financiamento segundo ICER (2016)	25
Quadro 2 - Critérios para Avaliação Econômica e Tecnológica	37
Quadro 3 - Componentes da Assistência Farmacêutica no Brasil	43
Quadro 4 - Síntese das respostas	66

LISTA DE TABELAS

Tabela 1 – Principais dificuldades	61
Tabela 2 - Principais impactos com a incorporação de terapias de alto custo	63
Tabela 3 – Dificuldade para a implementação dos novos modelos de financiamento	64

LISTA DE ABREVIATURAS E SIGLAS

ACA	– Affordable Care Act
AHRQ	– Agency for Healthcare Research and Quality
Aifa	– Agência Italiana de Medicamentos
AMA	– American Medical Association
AME	– Atrofia Muscular Espinhal
ANS	– Agência Nacional de Saúde Suplementar
Anvisa	– Agência Nacional de Vigilância Sanitária
ATS	– Avaliação de Tecnologia em Saúde
CAP	– Coeficiente de Adequação de Preços
CGATS	– Coordenação Geral de Avaliação de Tecnologias em Saúde
CGGTS	– Coordenação – Geral de Gestão de Tecnologias em Saúde
CGITS	– Coordenação - Geral de Inovação Tecnológica na Saúde
Cipe	– Comitato Interministeriale per la Programmazione Economica
Citec	– Coordenação de Incorporação de Tecnologias
CMATS	– Coordenação de Monitoramento e Avaliação de Tecnologias em Saúde
CMED	– Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos
CMS	– Centros de Serviços Medicare e Medicaid
Conitec	– Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS
COSAÚDE	– Comitê Permanente de Regulação da Atenção à Saúde
CPCDT	– Coordenação de Gestão de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas
CPR	– Comitato Prezzi e Rimborso
Decit	– Departamento de Ciência e Tecnologia
DGITIS	– Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde
Dicol	– Diretoria Colegiada da ANS
DMRI	– Degeneração macular relacionada à idade
EMA	– European Medicines Agency
FDA	– Food and Drug Administration
FY	– Ano fiscal
HCFA	– Health Care Financing Administration
HHS	– Health and Human Services

HIV/Aids	– Vírus da imunodeficiência humana / Síndrome da Imunodeficiência Adquirida
Icer	– Institute for Clinical and Economic Review
IESS	– Instituto de Estudos de Saúde Suplementar
Inahta	– International Network of Agencies for Health Technology Assessment
Inspere	– Instituto de Ensino e Pesquisa
IR	– Imposto de Renda
LLA	– Leucemia Linfoblástica Aguda
NHS	– National Health Service
Nice	– National Institute for Health and Care Excellence
OCDE	– Organização para Cooperação e Desenvolvimento Econômico
OTA	– Office of Technology Assessment
PAS	– Patient Access Scheme
PCDT	– Protocolo Clínico de Diretrizes Terapêuticas
PFN	– Prontuario Farmaceutico Nazionale
PNAF	– Política Nacional de Assistência Farmacêutica
PNM	– Política Nacional de Medicamentos
PPACA	– Patient Protection and Affordable Care Act
QALY	– Quality Adjusted Life Years
Rename	– Relação Nacional de Medicamentos Essenciais
SUS	– Sistema Único de Saúde
Susep	– Superintendência de Seguros Privados
VGBL	– Vida Gerador de Benefício Livre

SUMÁRIO

1	INTRODUÇÃO	15
2	PERGUNTA E OBJETIVOS.....	17
2.1	PERGUNTA DE PESQUISA	17
2.2	OBJETIVO GERAL.....	17
2.3	OBJETIVOS ESPECÍFICOS	17
3	BASES TEÓRICAS.....	18
3.1	AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS EM SAÚDE.....	18
3.2	TERAPIAS DE ALTO CUSTO	20
3.2.1	Terapias de Alto Custo em Oncologia	21
3.2.2	Terapia Gênica.....	21
3.2.3	Car – T Cell.....	21
3.3	MODELOS INOVADORES DE FINANCIAMENTO	22
3.3.1	Compartilhamento de Risco	26
3.3.2	Resseguro	27
3.3.3	Resseguro no Brasil.....	30
3.4	JUDICIALIZAÇÃO	30
3.5	MODELOS INTERNACIONAIS	33
3.5.1	Inglaterra	33
3.5.1.1	Precificação	34
3.5.1.2	Patient Access Scheme (PAS)	35
3.5.2	Itália	35
3.5.2.1	Compartilhamento de Risco na Itália	37
3.5.3	Estados Unidos da América	38
3.6	BRASIL.....	41
3.6.1	Incorporação de Medicamentos ao SUS	44
3.6.2	Rol da ANS	46
3.6.3	Protocolo Clínico de Diretrizes Terapêuticas (PCDT)	48

3.6.4	Precificação	50
3.6.5	Compras Públicas de Medicamentos	51
4	METODOLOGIA	53
4.1	PESQUISA BIBLIOGRÁFICA.....	54
4.2	EXEMPLOS INTERNACIONAIS	54
4.3	ENTREVISTAS.....	54
5	RESULTADOS	56
5.1	EXEMPLOS DE MODELOS INOVADORES NOS PAÍSES DE REFERÊNCIA	56
5.1.1	Caso 1 - Exemplo de Contrato de Compartilhamento de Risco na Inglaterra Medicamento Lucentis (Novartis) para Degeneração Macular Relacionada à Idade	56
5.1.2	Caso 2 - Exemplo de Contrato de Compartilhamento de Risco na Itália.	58
5.1.3	Caso 3 - Exemplo de Resseguro nos Estados Unidos da América	59
5.2	INICIATIVAS BRASILEIRAS	59
5.3	RESULTADOS DAS ENTREVISTAS	60
5.3.1	Questão 1 – Na sua visão, quais as principais dificuldades para a incorporação das terapias de alto custo nos sistemas de saúde brasileiros? ..	61
5.3.2	Questão 2 – Que tipo de impacto a incorporação de novas tecnologias de alto custo causam no financiamento da saúde?	62
5.3.3	Questão 3 e 4	63
5.3.4	Questão 5 - A não incorporação das terapias de alto custo resultam em processos judiciais? Em caso afirmativo, qual o impacto destas ações judiciais nos sistemas de saúde?	65
6	DISCUSSÃO	67
7	CONCLUSÃO	70
8	LIMITAÇÕES	72

REFERÊNCIAS.....	73
------------------	----

APÊNDICE A - QUESTIONÁRIO DE ENTREVISTAS	85
--	----

1 INTRODUÇÃO

Com da vez mais rapidez são disponibilizadas ao mercado novas tecnologias na área da saúde que proporcionam melhores tratamentos e qualidade de vida aos pacientes. Parte relevante desses novos tratamentos apresentam precificação que os enquadram como “Alto Custo”, cuja elevação em comparação aos tratamentos já estabelecidos se baseia na utilização de recursos mais modernos e caros. Todavia persistem incertezas relacionadas com a eficácia, segurança e efetiva capacidade de cura dessas terapias avançadas (Organização Pan-Americana da Saúde, 2009).

Por conseguinte, surge a necessidade de uma inovação no sistema de financiamento da área de saúde, sejam eles públicos ou privados de forma que os novos modelos possam auxiliar na diminuição das incertezas e, consequentemente, ampliar o acesso dos pacientes aos tratamentos.

Nesse contexto, a busca por soluções que auxiliem nesta adaptação tem gerado várias discussões entre os diversos *stakeholders* envolvidos, desde debates acadêmicos até pauta presente nas reuniões de negócios dos prestadores de serviços de saúde. Os modelos inovadores de financiamento vêm a auxiliar nesse processo, para tanto, oferecendo alternativas que auxiliem desde a diminuição nas incertezas até o aumento no acesso dos pacientes que necessitam dessas terapias de alto custo (ICER, 2016).

Vários países têm discutido e implementado novos modelos de financiamento, buscando assim compartilhar as incertezas sobre a eficácia e segurança, e os riscos dos tratamentos de alto custo, colaborando com o acesso aos pacientes (Garattini & Casadei, 2011; Drake *et al.*, 2019). Neste trabalho foram selecionados os três principais países que empregam novas modalidades de financiamento em saúde. São eles: Inglaterra, Itália e Estados Unidos da América.

No Brasil, há algumas iniciativas utilizando esses modelos de financiamento, no sistema privado de saúde e no sistema público. Uma das primeiras tentativas foi instituída a partir de um projeto piloto para uso de contrato de compartilhamento de risco para um medicamento usado no tratamento de Atrofia Muscular Espinhal 5q, firmado entre o Ministério da Saúde e a indústria farmacêutica responsável pelo produto (Jota.Info, 2021)¹. No entanto, a Advocacia Geral da União (AGU, 2018) deu um parecer negativo sobre esse projeto piloto, alegando insegurança jurídica (6).

Outro modelo inovador - resseguro, mais utilizado por seguradoras e operadoras de saúde. Em 2020, a Susep/Coordenadoria de Assuntos Administrativos (n.º 50.104/2008) (SUSEP, 2020) alterou a legislação sobre a contratação de resseguro, permitindo que as operadoras de saúde pudessem ter acesso a este tipo de contrato. Em 2 de março de 2021, foi publicado o Projeto de Lei 667/21, que busca diminuir a insegurança jurídica que inviabilizou a continuidade do projeto piloto do Nusinersena - Spinraza® pela Advocacia Geral da União.

Posto isso, torna-se evidente que é imprescindível estudar novas formas para fortalecer o financiamento na saúde, com isso, gerando sua sustentabilidade e oferecendo os melhores tratamentos para os pacientes que realmente precisam. Assim, a pergunta que norteou este trabalho foi: “modelos inovadores de financiamento na Saúde são ferramentas de acesso para pacientes que necessitam de tratamentos com medicamentos de alto custo?”

Os objetivos deste trabalho foram entender como estes modelos têm sido utilizados nos países que são referência (Inglaterra, Itália e Estados Unidos da América), analisar o uso dos modelos inovadores como facilitadores ao acesso de terapias de alto custo e entender suas possibilidades de adaptação para a realidade brasileira.

2 PERGUNTA E OBJETIVOS

2.1 PERGUNTA DE PESQUISA

Modelos Inovadores de Financiamento em Saúde são ferramentas de acesso para pacientes que necessitam de tratamentos com medicamentos de alto custo?

2.2 OBJETIVO GERAL

Avaliar a possibilidade de os modelos inovadores de financiamento auxiliarem nos processos de incorporação de medicamentos no sistema de saúde brasileiro.

2.3 OBJETIVOS ESPECÍFICOS

- Entender os desafios do acesso de medicamentos de alto custo no Brasil.
- Analisar como os modelos inovadores de financiamento em saúde auxiliam o acesso a medicamentos de alto custo para os pacientes do sistema de saúde brasileiro.
- Entender como os países selecionados (Inglaterra, Itália e Estados Unidos da Américas) estão utilizando os modelos inovadores e avaliar a viabilidade de implementar modelos semelhantes no Brasil.

3 BASES TEÓRICAS

3.1 AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS EM SAÚDE

No final de década de 1940, houve um intenso processo de desenvolvimento científico e tecnológico na área de saúde no mundo. Nesse contexto, inseriu-se a criação de instâncias responsáveis pela vigilância sanitária e avaliação de tecnologias em saúde, nos países desenvolvidos da época, com a implementação de um plano estratégico buscando garantir segurança, eficácia e efetividade nos tratamentos aos pacientes (Novaes, 2006).

A Avaliação de Tecnologia em Saúde (ATS) foi reconhecida como prática científica primeiramente nos países desenvolvidos, a partir da década de 1960. Entre os exemplos mais conhecidos estão a Inglaterra e os Estados Unidos da América, com a formação do *Office of Technology Assessment* (OTA) (Kuncle, 1995). Neste início da ATS, as atividades eram centradas em produtos como medicamentos, materiais e equipamentos. A partir de 1980, as avaliações de tecnologia em saúde integraram as políticas de saúde e tornaram-se prática disseminada na Europa, nos Estados Unidos da América, na Austrália e, mais tardiamente, em países em desenvolvimento (Banta & Almeida, 2009).

No início, a avaliação de tecnologias em saúde foi direcionada para o desenvolvimento de metodologias de utilização do conhecimento científico para viabilizar sua imediata aplicação no suporte à gestão dos sistemas de saúde. O uso adequado e inovador do conhecimento científico e técnico seria a garantia necessária para legitimar as decisões com relação aos potenciais conflitos de interesse existentes e explorar ao máximo os benefícios (Novaes, 2006) para os pacientes e os sistemas de saúde. No decorrer do processo e diante de dificuldades encontradas pelos responsáveis pela produção e pela disseminação dos estudos de ATS, fez-se necessário reconhecer que as decisões não poderiam ser apoiadas apenas em bases científicas, mas deveriam buscar equilíbrio entre outros tipos de conhecimento, tais como éticos, políticos, culturais e econômicos (Fournier, 2012; Tetroe, 2005).

Os sistemas de saúde dos países que compõem a Organização para Cooperação e Desenvolvimento Econômico (OCDE), como, por exemplo, Austrália, Canadá, Chile, Colômbia, França, Alemanha, Grécia, Irlanda, Israel, Itália, Japão, Coreia do Sul, México, Países Baixos, Nova Zelândia, Portugal, Espanha, Estados

Unidos (Brasil, 2021a)¹, e a maioria dos “países de renda média” passaram a utilizar a ATS nos processos de decisão para incorporação de novas tecnologias nos sistemas de saúde, a partir da metade da década de 1990. Cada um criou sua própria agência: como por exemplo: *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE) – Reino Unido; e *Agency for Healthcare Research and Quality* (AHRQ) nos Estados Unidos da América, com características e regras próprias (Torbica *et al.*, 2018).

As denominadas agências, que diferem, no escopo de atividades, na metodologia para avaliação da tecnologia em saúde, nos componentes dos programas, na autoridade na tomada de decisão e nas partes envolvidas neste processo (Instituto de Estudos de Saúde Suplementar [IESS], 2021), assumiram a tarefa de subsidiar os gestores com avaliações apoiadas em conhecimento científico disponível em cada momento sobre a eficácia, efetividade e eficiência de tecnologias oferecidas para o sistema de saúde (Benoit & Gorry, 2017).

Estas agências, entidades que regulamentam e normatizam atividades de interesse coletivo e público, têm papel fundamental no processo de fornecer informações científicas e considerar também as questões políticas no processo de avaliação, fornecendo respostas embasadas no conhecimento aos questionamentos feitos pela sociedade (Gauvin *et al.*, 2010). Os principais objetivos são: garantir que os investimentos sejam de benefício para a sociedade, avaliar de forma isenta e transparente a melhor evidência científica disponível, prever bons indicadores de custo-efetividade, assegurar o envolvimento da sociedade, implementar de forma correta as tecnologias para proporcionar melhor acesso, trabalhar em rede com demais grupos envolvidos.

Ao mesmo tempo, houve um processo de internacionalização da ATS, como pode ser observado pela criação de redes multinacionais e pelo progressivo aumento do número de agências integrantes da *International Network of Agencies for Health Technology Assessment* (INAHTA) (2021).²

As evidências utilizadas para a avaliação de uma nova tecnologia, seja para prevenção, diagnóstico ou tratamento de uma condição, devem considerar o perfil epidemiológico da população, a frequência e a gravidade da doença e as tecnologias

¹ <https://www.gov.br/pt-br/noticias/educacao-e-pesquisa/2020/07/brasil-recebe-aprovacao-da-ocde-de-novos-instrumentos-legais-na-area-de-ciencia-e-tecnologia>. – acessado em março/2021

² Relação de agências que compõem o INAHTA - https://www.inahta.org/members/members_list/ - acessado em março/2021.

já disponíveis, nessa perspectiva, analisando os requisitos relacionados ao benefício clínico (sobretudo, segurança e eficácia), inovação e potencial impacto socioeconômico. Este fato gerou uma aproximação com a prática médica, mormente ao considerar os estudos clínicos, etapa fundamental e de caráter obrigatório principalmente para que medicamentos e tecnologias invasivas pudessem ser aprovados pela regulação sanitária e comercializados. A ATS e a medicina baseada em evidências tornaram-se parceiras essenciais tanto na pesquisa quanto na atuação política – em particular, para criação e desenvolvimento de protocolos clínicos para os serviços e sistemas de saúde (Novaes, 2006; Drummond, 2013).

Recentemente, agências de ATS têm organizado sua atuação de formas distintas, e o peso da visão técnico-científica tem uma participação mais relativa, à medida que há ampliação na participação da sociedade e que são apresentadas também considerações de natureza ética e social (Velasco Garrido *et al.*, 2008). Os benefícios passam a ser avaliados nos resultados obtidos por meio dos estudos clínicos, complementados pelos impactos reais na qualidade de vida do paciente e seus reflexos na sociedade.

3.2 TERAPIAS DE ALTO CUSTO

As terapias de alto custo são tratamentos para doenças de grande impacto social e/ou com grave risco de morte tais como HIV/Aids e doenças oncológicas ou que acometem uma população-alvo muito pequena (medicamentos órfãos, doenças raras)³. Sem uma definição uniforme, suas características encontram-se determinadas por diversos fatores. Na maioria dos casos, o pagamento desses tratamentos constitui-se em uma grande carga para o financiamento dos sistemas de saúde (no ano de 2020, o Ministério da Saúde gastou mais de quatro bilhões de reais com componente especializado e mais de 49 bilhões com a atenção a saúde da população para procedimentos em média e alta complexidade)⁴ e/ou para o gasto direto de famílias e indivíduos (Organização Pan-Americana da Saúde, 2009).

³ A definição empregada pela Anvisa para "**medicamentos órfãos**" diz que estes são **medicamentos** "utilizados em **doenças raras**, cuja dispensação atende a casos específicos". – acessado em maio/2021

⁴ Promoção da assistência farmacêutica por meio da disponibilização de medicamentos do componente especializado R\$4.164.728.257,18 e atenção à saúde da população para procedimentos em média e alta complexidade - R\$49.382.744.289,98 - <http://www.portaltransparencia.gov.br/funcoes/10-saude?ano=2020> – acessado em março/2021.

3.2.1 Terapias de Alto Custo em Oncologia

Além das abordagens terapêuticas já bem estabelecidas para bloquear os sinais de crescimento e formação de vasos sanguíneos dentro dos tumores (angiogênese tumoral), outros receptores ou marcadores foram identificados como pontos de partida para o desenvolvimento de terapias inovadoras. Isso inclui influenciar células-tronco tumorais, que muitas vezes são o ponto de partida para a recidiva ou nova formação tumoral, que caracteriza o retorno da doença, bem como influenciar importantes mecanismos celulares. As substâncias que atuam nas alterações gênicas do tumor são atualmente objeto de muitos estudos, especialmente em relação à superação da resistência às terapias estabelecidas. Finalmente, as terapias que utilizam vírus oncolíticos, ou seja, vírus com capacidade de eliminar as células oncológicas, estão passando por uma nova fase. Os tratamentos oncológicos serão incrementados com novos medicamentos e opções de terapias em um futuro imediato, desse modo, melhorando a sobrevida dos pacientes (Malek & Bitzer, 2014).

3.2.2 Terapia Gênica

A terapia gênica é "uma nova abordagem para o tratamento, cura ou, em última instância, prevenção de doenças alterando a expressão dos genes de uma pessoa" (AMA, 2016)⁵. Os genes são compostos de DNA que contêm as informações necessárias para produzir proteínas vitais para o funcionamento ideal do corpo humano. Um gene específico, identificado por doença, sofre mutações resultando na produção incorreta de proteínas ou falha na sua produção, causando as doenças genéticas. A terapia gênica funciona reparando, desativando ("desligando") ou substituindo os genes disfuncionais que causam doenças com o objetivo de restabelecer a função normal (AMA, 2016; Genetics Home Reference, 2016; MedlinePlus, 2016).

3.2.3 Car – T Cell

⁵ <http://www.ama-assn.org/ama/pub/physicianresources/medical-science/genetics-molecular-medicine/current-topics/gene-therapy> - acessado em março/2021

São células de defesa do organismo extraídas do paciente e moldadas em laboratório para combaterem o tumor, depois, infundidas de volta no paciente. Ou seja, elas agem reprogramando as próprias células do paciente contra a doença (Accamargo, 2021)⁶. Representam uma nova abordagem para o tratamento de alguns tipos de câncer, e têm as mesmas possibilidades para casos de infecções crônicas e doenças autoimunes. Os princípios da biologia sintética, avanços na imunologia e na engenharia genética tornaram possível gerar células do sistema imune humano, chamadas de células T, que exibem especificidades desejadas e funcionalidades aprimoradas.

As perspectivas para a ampla disponibilidade de células T modificadas possibilitaram o desenvolvimento de terapias pelas indústrias farmacêuticas neste segmento. Ao mesmo tempo, esses dispositivos celulares são difíceis de manipular, fabricar e controlar. A experiência clínica ajudou a definir os principais desafios que devem ser enfrentados para tornar as células T geradas pela engenharia genética em uma terapia confiável, segura e eficaz para que possa ser implantada contra uma ampla gama de tumores (Lim & June, 2017).

3.3 MODELOS INOVADORES DE FINANCIAMENTO

As autoridades de saúde enfrentam várias incertezas quando incorporam um novo medicamento no sistema de saúde – e consequentemente na lista de reembolso (Yu *et al.*, 2017) pelos gestores em saúde, no Brasil e nos países com regulação para o acesso e pagamento de medicamentos de alto custo. Existem questionamentos sobre o tamanho da população a ser beneficiada com o tratamento, a duração dos tratamentos e o número correto de doses, bem como de que maneira esses aspectos afetarão os orçamentos e a previsibilidade de gastos.

Para lidar com essas incertezas foram apresentadas várias propostas de novas modalidades de financiamento da saúde, que receberam nomes diferentes na literatura (acordos de compartilhamento de risco, pagamento baseado em resultados, resseguro, amortização de terceiros, financiamento gerado pelo fabricante, são alguns

⁶ <https://www.accamargo.org.br/sobre-o-cancer/noticias/video-entenda-terapia-car-t-cells-que-reprograma-celulas-do-paciente-contras#:~:text=As%20CAR%2DT%20Cells%20s%C3%A3o,do%20paciente%20contra%20a%20doen%C3%A7a> - acessado março/2021

exemplos) (Garrison *et al.*, 2013; Gottlieb & Carino, 2014; Tapestry Networks⁷, 2016). Em essência, esses modelos, como o resseguro, visam mitigar os riscos financeiros e clínicos decorrentes da incorporação de uma terapia inovadora e que envolvem os contratos firmados entre as empresas farmacêuticas e os gestores de saúde.

Esta abordagem difere da prática tradicional em que os gestores de saúde, públicos e privados, assumem quase todos os riscos financeiros, de eficácia e de segurança. Em alguns sistemas de saúde, essas inovações no que tange ao financiamento, podem facilitar o acesso do paciente a novas tecnologias que, de outra forma, não seriam autorizadas ou estariam sujeitas a grandes restrições de prescrição por causa de seus preços e das incertezas em torno de variáveis-chave, como eficácia e segurança (Antonanzas *et al.*, 2019).

Medicamentos de alto custo como terapias-alvo, imunoterapias e terapias gênicas contribuíram para o crescimento recente de despesas com medicamentos. Apesar dos benefícios que os novos modelos disponibilizam para os pacientes, os tomadores de decisão de saúde estão apenas começando a lidar com questões de como avaliar, pagar e o equilíbrio da relação entre o custo e efetividade de tais tratamentos.

Várias estratégias foram usadas para gerenciar o impacto financeiro gerado pelos tratamentos de alto custo. Essas estratégias incluem a negociação de descontos ou abatimentos (redução de preço acordada entre comprador e vendedor para que ocorra o pagamento do tratamento) no custo total do tratamento, identificação das populações mais beneficiadas ou elegíveis e a criação de linhas de tratamento, pelas quais são escolhidos tratamentos estabelecidos e conhecidos e com custos mais baixos nas primeiras linhas. Em caso de insucesso, o paciente teria a aprovação para utilizar terapias ou tratamentos inovadores com custos mais elevados. Também foram implementados acordos baseados em resultados, nos quais o pagamento está vinculado aos resultados do tratamento.

Estratégias alternativas de pagamento e financiamento para terapias inovadoras podem ser necessárias para gerenciar o acesso e garantir a sustentabilidade do sistema.

⁷ http://www.tapestrynetworks.com/initiatives/healthcare/upload/Curative-Therapies_ViewPoints-Building-a-sustainable-health-system-for-curative-therapies-May-2016.pdf - acessado em março/2021.

O quadro a seguir resume os principais modelos inovadores e seus pontos fortes e fracos:

Quadro 1 - Modelos Inovadores de Financiamento segundo ICER (2016)

	Acordos baseados em resultados/Compartilhamento de Risco	Resseguro	Empréstimo ao Consumidor	Financiamento de terceiros	Financiamento gerenciado pelo fabricante	Financiamento governamental
Características	Pagamento por resultados	Pagador compra resseguro para reduzir o risco financeiro de ter que pagar custos extremamente altos para pacientes individuais	O paciente obtém um empréstimo pessoal para viabilizar o pagamento antecipado do tratamento fora do seguro de saúde regular e paga o empréstimo em parcelas periódicas. Os pagamentos param se o paciente morrer ou o tratamento falhar	O pagador recebe um empréstimo de uma instituição financeira para viabilizar o pagamento antecipado ao fabricante, com reembolso de empréstimos em parcelas periódicas. Os pagamentos param se o paciente morrer ou o tratamento falhar	O fabricante oferece uma opção de pagamento parcelado permitindo que o pagador pague o custo do tratamento em parcelas periódicas. Os pagamentos param se o paciente morrer ou o tratamento falhar	O pagador recebe um empréstimo do governo para viabilizar o pagamento antecipado e quita o empréstimo em parcelas anuais. Os pagamentos param se o paciente morrer ou o tratamento falhar
Pontos fortes	Aborda a incerteza sobre benefícios clínicos Pode ser combinado com métodos de amortização	Alivia a pressão orçamentária de curto prazo	Aborda a incerteza sobre benefícios clínicos Move o pagamento antecipado para taxa anual de desempenho	Aborda a incerteza do pagador sobre benefícios clínicos Move o pagamento antecipado para taxa anual de desempenho	Aborda a incerteza do pagador sobre benefícios clínicos Move o pagamento antecipado para taxa anual de desempenho	Aborda a incerteza do pagador sobre benefícios clínicos Move o pagamento antecipado para taxa anual de desempenho
Fraquezas	Dificuldade de medir resultados Dificuldade de concordar com critérios para "sucesso"	Podem ser prêmios substanciais para pagar Espalha o risco, mas não aborda a sustentabilidade a longo prazo	Mecanismo não testado Muitas pessoas não têm condições de pagar O paciente está assumindo custos de financiamento, a menos que o fabricante ofereça um preço mais baixo	Mecanismo não testado Necessidade de atender troca de paciente da seguradora de saúde Pagador está assumindo custos de financiamento	Mecanismo não testado Precisa lidar com a troca de pacientes da seguradora de saúde Negociação de responsabilidade por custos de financiamento	Mecanismo não testado Necessidade de atender troca de paciente da seguradora de saúde Pagador está assumindo custos de financiamento

Fonte: ICER (2016)

Este trabalho aplicado limitou-se a individualizar exemplos de contratos de compartilhamento de risco e resseguros, pois no Brasil já existem algumas iniciativas com esses dois modelos.

3.3.1 Compartilhamento de Risco

O compartilhamento de risco é um acordo – convênio entre duas ou mais partes, geralmente firmado entre gestores de saúde e a indústria farmacêutica, por meio do qual, realizando acompanhamento dos resultados de um tratamento com determinado medicamento, em condições reais de uso e não em um estudo clínico, determinarão o valor a ser cobrado por ele. A incerteza que cerca a eficácia do tratamento é compartilhada pelas partes, bem como os riscos financeiros que o acompanham.

A essência desses acordos está na divisão, entre a indústria farmacêutica e os sistemas ou organizações de saúde, dos riscos que acompanham a utilização de determinados medicamentos no mundo real, condicionando o pagamento aos resultados do tratamento. A indústria farmacêutica terá o preço do tratamento associado ao desempenho do medicamento. Apesar de a indústria farmacêutica deter conhecimento prévio sobre o medicamento, adquirido durante as etapas de desenvolvimento e estudo clínico, o tratamento realizado em ambiente, sem os controles que caracterizam a pesquisa clínica, causa incertezas sobre o desempenho e os resultados esperados. Perante tal realidade, a coleta de dados e o acompanhamento do paciente que faz uso do medicamento são fundamentais para caracterizar um desfecho positivo ou negativo do tratamento (Adamski *et al.*, 2010).

Os dados coletados são considerados complementares a informações geradas pelos estudos clínicos e são fundamentais para a caracterização do compartilhamento de risco, pois a coleta dos dados é uma das razões para um contrato ser firmado. As variáveis de desfecho podem considerar incapacidade, desconforto, custo, morbidade e mortalidade (Towse & Garrison, 2010).

Diante dos resultados dos tratamentos são realizados os pagamentos, que podem ser de quatro formas (Stafinski *et al.*, 2010):

- 1) A fonte pagadora de saúde paga pelo tratamento com base em um número de doses ou por um período definido em contrato; caso não ocorra sucesso ou o desfecho acordado não se caracterize, o fabricante reembolsará o pagador.

- 2) Pagamento com valores reduzidos no início do tratamento, que continua durante todo o tratamento dos pacientes que obtiveram a resposta ou o desfecho previsto no contrato.
- 3) A indústria farmacêutica reduz o preço do medicamento após prazo determinado e em circunstâncias definidas no contrato, na tentativa de criar um limite custo efetivo para ambas as partes, também predefinido no acordo.
- 4) Recebimento das primeiras doses do tratamento sem custos para os sistemas; o pagamento das demais doses será efetivado apenas para os pacientes que atingirem determinada condição clínica.

Aparentemente, as razões que levam ao compartilhamento se baseiam em três justificativas: o dever dos gestores em oferecer acesso a novas tecnologias, a necessidade de a indústria farmacêutica gerar novos negócios e a oportunidade de reduzir os riscos por meio da avaliação de tecnologias em saúde (Walker *et al.*, 2012).

3.3.2 Resseguro

O resseguro é uma ferramenta comum usada no setor de seguros. Funciona da seguinte forma: uma empresa cede uma parte de seu risco de seguro para outra seguradora que fornece proteção necessária contra sinistros catastróficos inesperados. O resseguro, nos Estados Unidos da América, tem recebido atenção dos formuladores de políticas estaduais e federais, que buscam enfrentar a atual instabilidade no mercado individual de seguros de saúde (Drake *et al.*, 2019), porém não se trata de uma ideia nova. A *Affordable Care Act* (ACA), lei de reforma abrangente do sistema de saúde, promulgada em março de 2010 (também conhecida como ACA, PPACA ou “Obamacare”)⁸, incluiu um programa temporário de resseguro de 2014 a 2016 para atender à instabilidade prevista no mercado individual com a implantação do novo mercado de Seguros de Saúde (Drake *et al.*, 2019).

Os Centros de Serviços Medicare e Medicaid (CMS) – planos de saúde oferecidos para um grupo específico de cidadãos norte-americanos, atualizaram seu programa de ajuste de riscos – outro programa para proteger as seguradoras contra os riscos de cobrir os beneficiários que necessitam de atendimento, adicionando um

⁸ Public Law 111–148. 111th United States Congress. Washington, D.C.: United States Government Printing Office. 23 de março de 2010. – acessado em março/2021.

componente de resseguro. Este programa agrupava os mercados individuais e de pequenos grupos em todos os estados e pagava 60% das reclamações que excedem um milhão de dólares. Os custos eram distribuídos em todos os estados e pagos por meio de uma adaptação na transferência de ajuste de risco (Jost, 2016).

O resseguro privado tem o objetivo de ajudar as seguradoras e/ou os empregadores, empresas que contratam seguro saúde, como um benefício para seus colaboradores, que se antecipam e assumem o risco das incertezas sobre os custos das despesas médicas. A incerteza sobre os custos ocorre porque vários de seus custos podem intensificar-se de forma inesperada e porque determinados grupos de segurados podem ter sinistralidade muito alta (eventos catastróficos). O resseguro ajuda a proteger-se de situações nas quais tendências históricas ou a "lei de grandes números" não são tão acuradas como os atuários previram.

Pode-se elencar, pelo menos, três tipos de resseguros. O resseguro mais simples é realizado para subsidiar os custos dos cuidados de saúde a fim de viabilizar preços mais baixos, para que mais pessoas possam pagar pelos planos de saúde (Swartz, 2006) (modelo estadunidense). Mais sofisticado é usar o resseguro para alterar a dinâmica do mercado, atenuando os efeitos adverso da seleção de risco. O resseguro faz isso protegendo as seguradoras contra perdas em função de beneficiários não saudáveis. Finalmente, o governo, às vezes, usa o resseguro para aliviar as ansiedades do mercado criadas por novos programas que alteram o mercado básico com condições que poderiam assustar seguradoras. Nesse cenário, o resseguro normalmente só é necessário até que as seguradoras tenham experiência suficiente para adaptar seus modelos de negócios e dados atuariais às novas condições de mercado (Hall, 2010).

Há outra modalidade de resseguro específica para aposentados precoces. Este programa é um exemplo bastante simples de resseguro público. Os empregadores são encorajados a continuar oferecendo benefícios de saúde aos aposentados precoces durante os três primeiros anos de acordo com a legislação. A lei prometia que se os empregadores documentassem as reivindicações anuais para uma pessoa no valor de US\$15.000 a US\$90.000, o governo federal americano reembolsaria 80% dos custos. Este programa surgiu na legislação de reforma sanitária da Câmara dos Deputados dos Estados Unidos da América, e foi apoiado por uma apropriação de US\$ 10 bilhões. O projeto de lei assinado em março de 2010 limitava a dotação em

US\$5 bilhões. Seu objetivo declarado é incentivar os empregadores privados e governamentais a manterem os benefícios de saúde dos colaboradores.

No Brasil, existe uma iniciativa semelhante, o VGBL (Vida Gerador de Benefício Livre) Saúde⁹, seguro com cobertura por sobrevivência (ou seja, que é pago em vida), aprovado na Câmara dos Deputados, em agosto de 2015, permite que as empresas ofereçam aos seus empregados um plano de acumulação de recursos para uso no pagamento de despesas com saúde após a aposentadoria, quando geralmente os colaboradores perdem o direito ao uso do plano antes custeado pela empresa (Marsh, 2021)¹⁰. Semelhante ao VGBL, produto financeiro oferecido por seguradoras e distribuído por essas próprias instituições financeiras, além de banco, corretoras de valores, distribuidoras de valores mobiliários e gestoras de recursos, um plano de previdência complementar aberta, com incentivos fiscais para estimular a formação de poupança de longo prazo¹¹. Esse projeto de lei visa à criação da modalidade de planos individuais e de planos empresariais. Ao contratar e contribuir no VGBL Saúde junto com o empregado, a empresa terá benefícios fiscais.

Para o aposentado, haverá uma isenção de Imposto de Renda (IR) ao utilizar os recursos financeiros acumulados para pagar despesas médicas. Assim que decidir usar o dinheiro acumulado, ele deve informar à seguradora onde seus recursos estão sendo acumulados. Esta pagará diretamente à operadora do plano de saúde, fiscalizada pela Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS). Para se ter o benefício de isenção do IR, o dinheiro acumulado não pode “passar” pela conta do aposentado, e sim ir diretamente da seguradora para a operadora do plano de saúde. Se, por acaso, a pessoa decida resgatar o dinheiro para outros fins que não o pagamento de despesas de saúde, estará sujeito ao pagamento de impostos correspondentes.

O produto pode beneficiar as empresas e o trabalhador uma vez que tanto as empresas quanto os colaboradores estão mais preocupados com os custos da saúde no futuro em decorrência do envelhecimento. Segundo projeções do Instituto de Estudos de Saúde Suplementar (IESS, 2020)¹², o Brasil passa por uma expressiva

⁹ <https://www.camara.leg.br/proposicoesWeb/fichadetramitacao?idProposicao=944251> – acessado em março/2021.

¹⁰ <https://www.marsh.com/br/insights/research/plano-vgbl-para-despesas-com-saude.html> - acessado em março/2021.

¹¹ <http://www.susep.gov.br/menuatendimento/VgblPgbl/vgblindividual> - acessado em março/21.

¹² https://www.iless.org.br/cms/rep/panorama_dos_idosos.pdf - acessado em março/2021.

mudança demográfica, pois o brasileiro está vivendo mais e já sente os efeitos da longevidade, pois os gastos com saúde avançam com o envelhecimento (Marsh, 2021)¹³. No caso das empresas, a ordem é a revisão de sua gestão, buscando eficiência nos programas de benefícios para auxiliar seus colaboradores no planejamento e cuidados com a saúde no longo prazo. O Projeto de Lei 10/15 VGBl Saúde encontra-se aguardando apreciação do Senado Federal desde 2 de setembro de 2015¹⁴.

3.3.3 Resseguro no Brasil

Em junho de 2009, a Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS) publicou posicionamento da Superintendência de Seguros Privados (Susep), órgão regulador de seguros e resseguros no Brasil, sobre os efeitos da Lei Complementar n.º 126, de 15 de janeiro de 2007, e quanto à possibilidade de contratação de resseguro por operadoras de planos privados de assistência à saúde. Segundo a Susep, somente as operadoras constituídas sob a forma de sociedades seguradoras especializadas em saúde estão autorizadas a contratar resseguro.

Apenas sociedades seguradoras podem ceder riscos para os resseguradores, devendo esta autarquia orientar aos resseguradores locais, admitidos e eventuais, a somente aceitarem riscos de sociedades seguradoras, sob pena de terem tais operações serem consideradas inválidas na forma do ordenamento brasileiro. (SUSEP, 2008)

Porém, diante das mudanças no cenário da saúde, em março de 2020, a Susep publicou normativa que viabiliza a contratação de resseguro por entidades de previdência complementares e por operadoras de planos privados de assistência à saúde.

3.4 JUDICIALIZAÇÃO

No Brasil, o acesso ao medicamento é parte do direito à saúde. Trata-se de um pilar importante para o cuidado, em razão do seu potencial para prevenir e curar

¹³ <https://www.marsh.com/br/insights/research/plano-vgbl-para-despesas-com-saude.html> - acessado em março/2021.

¹⁴ <https://www.camara.leg.br/proposicoesWeb/fichadetramitacao?idProposicao=944251> - acessado em março/2021.

doenças e até auxiliar na manutenção da vida (Wannmacher, 2010). A garantia do acesso, contudo, é uma questão complexa que depende dos contextos econômico, político e social (Oliveira, 2007).

As dificuldades de acesso explicam, em parte, o recurso dos usuários do SUS ao Poder Judiciário, cuja intervenção, mediante determinações da Administração Pública, almeja, primordialmente, a concretização dos direitos previstos na Constituição (Farias, 2010). Essa intervenção pode ser chamada de judicialização quando, por sua relevância ou amplitude, implica a transferência para o Judiciário de decisões que caberiam aos Poderes Executivo e Legislativo (Machado *et al.*, 2010).

As ações judiciais que pleiteiam o acesso a medicamentos vêm ganhando espaço importante e causando impactos significativos na estruturação, no financiamento e na organização do sistema de saúde. Tiveram início com ações que exigiam o fornecimento de medicamentos para o tratamento da Aids, estratégia bem-sucedida que se estendeu, a seguir, para as mais variadas doenças (Sant'ana *et al.*, 2011). Esse tema envolve questões legais, éticas, políticas, econômicas e sociais no que se refere ao dever do Estado, à escassez dos recursos e ao conflito entre direitos individuais e direitos coletivos (Vieira & Zucchi, 2007; Pepe *et al.*, 2010).

Segundo Wang *et al.* (2020):

[...] os direitos legais e a responsabilidade judicial foram descritos como fundamentais para os países alcançarem a cobertura universal de saúde, que é uma meta dos Objetivos de Desenvolvimento Sustentável das Nações Unidas. No entanto existem preocupações de que os tribunais possam ser usados para forçar os governos a gastarem desproporcionalmente mais em tratamentos caros para aqueles que podem contratar advogados e litigar questões, às custas de intervenções mais econômicas que beneficiam segmentos maiores da população. Esses resultados podem ser particularmente prejudiciais em contextos de orçamento restrito e grandes desigualdades na saúde.

Em consonância à constitucionalização do direito à saúde, de 1988, permite que os cidadãos brasileiros processem o Sistema Único de Saúde (SUS) na busca de obter o tratamento do qual necessitem e de cujo acesso lhe é negado, geralmente, por não constar na lista de reembolso (incorporação no Sistema Único de Saúde). Os tribunais tendem a aceitar, pois a solicitação está embasada em uma solicitação médica (Wang *et al.*, 2020).

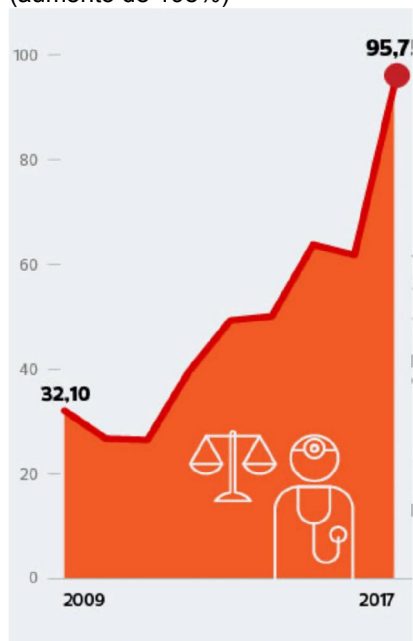
Em 2019, o Conselho Nacional de Justiça contratou o Instituto de Ensino e Pesquisa (Insper) para realizar uma pesquisa; e os gráficos 1 e 2, que seguem abaixo dão uma amostra dos resultados obtidos (Insper, 2019):

Gráfico 1 - Principais itens judicializados em segunda Instância (%) – Dados 2019



Fonte: Insper – (2019)

Gráfico 2 - Processos de Saúde em primeira instância (em milhares) – Variação de 2009 – 2017 (aumento de 198%)



Fonte: Insper – (2019)

O litígio aumenta a desigualdade e a ineficiência, pois as decisões no tocante à alocação dos recursos orçamentários da saúde estão sendo tomadas pelos tribunais sem considerar as evidências científicas disponíveis. E tal fato resulta em um acesso privilegiado, com financiamento público, de uma população restrita, que tem conhecimento jurídico suficiente para utilizar a judicialização como uma via de acesso, sem considerar os conhecimentos de custo-benefício, a equidade e as necessidades de saúde da população, assim, aumentando a desigualdade.

3.5 MODELOS INTERNACIONAIS

No desenvolvimento deste trabalho aplicado foram considerados os sistemas de saúde da Inglaterra, Itália e Estados Unidos da América para compará-los com o Sistema Único de Saúde do Brasil. Os países foram escolhidos de acordo com a similaridade dos sistemas de saúde, no caso da Inglaterra e Itália; os Estados Unidos foram selecionados por utilizar o resseguro, ferramenta que vem sendo discutida no mercado privado brasileiro (ANS, 2020)¹⁵.

3.5.1 Inglaterra

O *National Health Service* (NHS) oferece serviços de saúde para todos os que vivem legalmente na Inglaterra. É apontado como um dos mais completos do mundo. Seu financiamento é considerado misto, assim como a maioria dos sistemas de saúde na Europa, onde há o financiamento por parte do Estado e por parte da população, que realiza sua contribuição por meio dos impostos (Longtermplan.nhs, [s.d.])¹⁶ e copagamentos para medicamentos.

O sistema de incorporação de novas tecnologias em saúde é complexo e depende da recomendação das agências nacionais. Autoridades distintas participam da decisão sobre alocação do orçamento público em termos de tecnologias em saúde (Hauegen, 2014). A mais importante autoridade pública sanitária britânica, de natureza especial, não governamental, fundada pelo Departamento de Saúde, envolvida no processo de incorporação, é o *National Institute for Health and Care*

¹⁵ <http://www.ans.gov.br/aans/noticias-ans/sobre-a-ans/5922-ans-apresenta-oportunidade-de-contratacao-de-resseguros-por-operadoras-de-planos-de-saude> - acessado em março/2021.

¹⁶ <https://www.longtermplan.nhs.uk/> - acessado em março/2021.

Excellence, o NICE (Hauegen, 2014). Ele é responsável por promover avaliações de tecnologias em saúde que são tratadas como recomendações para apoiar as decisões do NHS quanto ao uso de tecnologias em saúde, novas e existentes (Hauegen, 2014). Também é responsabilidade do Nice desenvolver protocolos clínicos referentes aos tratamentos, com uso de medicamentos e produtos para a saúde, com o objetivo de aprimorar a qualidade da saúde nos limites orçamentários do NHS (Drummond & Banta, 2009). O *quality adjusted life years* (QALY) (Hauegen, 2014) é o principal critério utilizado pelo NICE para avaliar as tecnologias e significa a unidade de resultado da atenção à saúde que ajusta os ganhos (ou perdas) em anos de vida subsequentes a uma intervenção em saúde pela qualidade de vida durante esses anos. Este indicador pode fornecer uma unidade comum para a comparação de custo-utilidade entre intervenções e problemas de saúde diferentes. A recomendação do Nice é baseada, portanto, em limites sustentados na medida do QALY e tem efeito mandatório, ou seja, o *National Health Service* é obrigado a financiar as tecnologias em saúde recomendadas pelo Nice (Hauegen, 2014).

3.5.1.1 Precificação

O atual processo para a precificação de medicamentos na Inglaterra é o denominado *Voluntary Scheme for Branded Medicines Pricing and Access* – Modelo Voluntário para Preços de Medicamentos de Marca e acesso a eles, vigente desde 2019. Ao avaliar novos medicamentos e tratamentos, considera-se o custo do tratamento e as evidências de como o tratamento funciona em comparação com as alternativas disponíveis. Em seguida, a decisão dá-se em relação a se eles representam ou não vantagem para o NHS. É pouco provável que os medicamentos ou tratamentos caros e que não tragam benefício significativo em relação aos tratamentos existentes sejam aprovados pelo Nice para uso no NHS (Nice, 2021)¹⁷.

A incorporação de novas tecnologias, tais como medicamentos e produtos para a saúde, garantindo que os pacientes possam receber os tratamentos, é baseada em acordos de preços propostos por empresas farmacêuticas e firmados com o NHS. O Departamento de Saúde solicitou ao Nice a criação do *Patient access schemes liaison Unit* (PASLU, que é responsável pelo aconselhamento sobre a viabilidade de

¹⁷ <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/patient-access-schemes-liaison-unit> - acessado em março/2021.

propostas de esquemas de acesso de pacientes por parte das farmacêuticas. O objetivo principal desta unidade é trabalhar com empresas que estão considerando um esquema de acesso do paciente para seu medicamento ou tratamento. O PASLU analisa a proposta da empresa e verifica sua viabilidade para o sistema de saúde. As empresas podem enviar uma proposta de esquema de acesso do paciente para qualquer tecnologia que esteja passando pelo processo de avaliação do Nice¹⁸.

3.5.1.2 Patient Access Scheme (PAS)

PAS é um esquema de acesso simplificado em que acordos podem ser um contrato de preço fixo inferior, de desconto simples ao preço de lista do tratamento ou um desconto percentual sobre preço de lista. Como esses tratados são de menor complexidade e são mais fáceis de implementar no NHS (quando comparados com esquemas mais complexos), a revisão do Paslu pode ser levada adiante com menor necessidade de consulta ao NHS. Como resultado, a revisão pode ser conduzida pelo Paslu, geralmente, em quatro semanas (Nice, 2021)¹⁹.

As negociações mais complexas incluem limites de dose baseados em resultados, descontos e doses de início de tratamento. Devido à complexidade desses métodos, a revisão da Paslu deve ser levada adiante para esferas mais altas de decisão e aprovação do NHS. O painel de especialistas do Paslu se reúne por um período mínimo de oito semanas após o recebimento da solicitação ao Paslu e considera se o esquema é viável para implementação no NHS. O Paslu envia seu parecer ao NHS England, comumente, no prazo de quatro semanas após a reunião do painel de especialistas, com um período total de revisão de pelo menos 12 semanas, sendo oito semanas para o painel de especialistas e mais quatro até o envio para o NHS.

3.5.2 Itália

¹⁸ <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/patient-access-schemes-liaison-unit> - acessado em março/2021.

¹⁹ <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/patient-access-schemes-liaison-unit> - acessado em março/2021.

O sistema de saúde italiano, denominado *Servizio Sanitario Nazionale* (SSN), é universal, considerando a saúde como um direito de todos, protegido pela Constituição italiana. Ele se baseia em três princípios fundamentais, desde a sua criação, que decorreu com a Lei n.º 833, de 1978: a universalidade, a igualdade e a equidade (Salute.gov, 2021)²⁰. Ele é composto de estruturas e de serviços que visam garantir a todos os cidadãos, em condições de igualdade, o acesso universal à prestação equitativa dos serviços de saúde, em cumprimento ao artigo 32 da Constituição, que dispõe:

As avaliações e incorporação de novas tecnologias ficam sob a responsabilidade da Agência Italiana de Medicamentos – AIFA, um órgão público que opera de forma independente, transparente e econômica, sob a direção do Ministério da Saúde e a supervisão do Ministério da Saúde e do Ministério da Economia. A AIFA trabalha em colaboração com as Regiões, o Instituto Superior de Saúde, os Institutos de Hospitalização e Assistência Científica, Associações de Pacientes, Médicos e Sociedades Científicas, o mundo da produção e distribuição. Ela garante o acesso aos medicamentos e o seu uso de forma segura e apropriada, promove a unidade nacional do sistema farmacêutico em acordo com as regiões e garante a troca de informações com outras agências internacionais e a European Medicines Agency (EMA) (AIFA, 2021)²¹. (Tradução livre)

Em razão de ser a principal agência de regulação de tecnologias em saúde da Itália, apoia as atividades administrativas e regulatórias, garantindo assim a efetividade e a eficácia das soluções em saúde, fortalecendo o conhecimento científico, gerando uma base de dados confiáveis e imprescindíveis para a tomada de decisões administrativas e estratégicas (Haugen, 2014). As etapas que compreendem o registro e a autorização para acesso ao mercado e de incorporação do medicamento ao sistema público de saúde ou ao *Prontuario Farmaceutico Nazionale* (PFN), como é denominado na Itália, são separadas. Para a incorporação, o preço do medicamento é resultado de negociação entre AIFA – por meio do *Comitato Prezzi e Rimborso* (CPR) – e as companhias farmacêuticas, tendo como mediador o *Comitato Interministeriale per la Programmazione Economica* (CIPE) (Haugen, 2014).

²⁰

<http://www.salute.gov.it/portale/lea/dettaglioContenutiLea.jsp?lingua=italiano&id=5073&area=Lea&menu=vuoto> – acessado em março/2021.

²¹ <https://www.aifa.gov.it/web/guest/innovazione-e-programmazione> - acessado em março/2021.

O governo italiano promove uma avaliação econômica e tecnológica para as negociações quanto ao preço do medicamento, que inclui os critérios apresentados no quadro a seguir (Haugen, 2014).

Quadro 2 - Critérios para Avaliação Econômica e Tecnológica

Custo-efetividade	Cálculo do custo-efetividade dos produtos farmacêuticos quando não houver alternativa terapêutica
Relação Risco-Benefício	Comparação entre produtos farmacêuticos para a mesma indicação
Custo Diário de Tratamento	Comparação entre produtos com mesma eficácia
Impacto Econômico	Avaliação do impacto econômico no sistema nacional de saúde
Participação do Mercado	Porcentagem de participação no mercado
Preços e Dados de Consumo	Referência de outros países
Medicamentos não reembolsáveis	Preços dos produtos

Fonte: adaptado de Haugen (2014)

Os termos da incorporação e o preço do medicamento, acordados entre o governo e a indústria farmacêutica, são subordinados ao Conselho de Gestão da AIFA ratificados em deliberação final (Haugen, 2014).

3.5.2.1 Compartilhamento de Risco na Itália

Algumas medidas consideradas inovadoras foram implementadas no sistema de saúde italiano com a finalidade de controlar gastos e otimizar a oferta de medicamentos eficientes. Estes modelos compreendem as medidas alternativas para incorporação e precificação de tecnologias, como o acordo de compartilhamento de riscos.

A Itália tem implementado diversas modalidades de medidas alternativas. A capacidade do governo italiano não se restringe à avaliação de tecnologias, mas ele também negocia com as indústrias o preço final incluindo, nesse processo, um acordo de compartilhamento de risco como uma possibilidade (Carlson *et al.*, 2014), sendo destaque a utilização do registro e monitoramento do uso de medicamentos como ferramenta a dar suporte a essas medidas.

O Registro de Monitoramento de Medicamentos depende de estrutura em tecnologia da informação e o comprometimento dos profissionais da saúde. As

medidas alternativas, chamadas, na Itália, de acordos baseados em desempenho, são planejadas com base no Registro de Monitoramento de Medicamentos (*Registri Farmaci sottoposti a Monitoraggio*) (Garattini & Casadei, 2011). Esse registro é o instrumento mais importante na estruturação das medidas alternativas de gestão de medicamentos e tem por objetivo rastrear e avaliar o critério de seleção de pacientes, coletar dados epidemiológicos, incluindo informações sobre segurança, coletar informações adicionais não obtidas durante a primeira avaliação do medicamento e verificar o uso do medicamento na prática clínica. Essa última ação é considerada o elemento mais importante para o contrato.

O Registro Nacional de Monitoramento de Medicamentos Oncológicos foi criado em dezembro de 2005, como instrumento de avaliação de desempenho de novos medicamentos disponibilizados no mercado italiano, um dos motivos para maior número de contratos de compartilhamento de risco oncológicos na Itália (Hauengen, 2014), pois os contratos se baseiam em bases de dados. Com o acesso a um volume maior de informações em oncologia, um maior número de contratos pode ser firmado. São objetivos do Registro de Medicamentos italiano monitorar o uso apropriado de determinados medicamentos e obter informações a respeito do valor terapêutico em reais condições de uso (Gallo & Deambrosis, 2008).

A relação de medicamentos oncológicos sob monitoramento na Itália, em 2014, alcançava 165 medicamentos (Agenzia Farmaco, 2014)²².

3.5.3 Estados Unidos da América

O *Health and Human Services* (HHS) é a principal agência do governo dos Estados Unidos para proteger a saúde de todos os americanos e fornecer serviços essenciais, especialmente para aqueles que têm menos condições econômicas. O Congresso dos Estados Unidos determina seu orçamento.

O orçamento definido pelo Congresso americano para o ano fiscal (FY) de 2021 apoia a missão do HHS, priorizando os principais investimentos que visam cumprir os compromissos da administração para facilitar o atingimento de uma saúde centrada no paciente, proteger vidas, promover a independência e apoiar a gestão e

²²http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/Lista_aggiornata_nuovi_registri_07.11.2014.pdf.- acessado em março/2021

administração eficazes e eficientes (HHS, 2021)²³. Esses investimentos têm a responsabilidade de fazer com que os programas do departamento funcionem bem para os cidadãos estadunidenses. O orçamento propõe 94,5 bilhões de dólares em autoridade orçamentária discricionária e 1,3 trilhão de dólares em financiamento obrigatório para HHS. Isso reflete o compromisso do HHS em tornar o governo federal mais eficiente e eficaz, concentrando os gastos nas áreas de maior impacto (HHS, 2021)²⁴.

O governo federal é um provedor direto de serviços de saúde para militares (por meio do Departamento de Defesa), veteranos com deficiência devido à sua atividade profissional (por meio do U.S. *Department of Veterans Affairs*), americanos nativos (índios americanos e nativos do Alasca) por meio do *Indian Health Organization Pan-American* e presidiários encarcerados em prisões federais. Por meio de um programa conhecido como Medicare, o governo federal oferece cobertura para os problemas de saúde mediante um seguro saúde, para todos os americanos com mais de 65 anos de idade, pacientes renais crônicos e portadores de determinadas deficiências. Os Centros de Serviços Medicare e Medicaid (CMS, departamento anteriormente conhecido como *Health Care Financing Administration* ou HCFA), uma divisão do HHS, administram o Medicare, que é financiado por meio de duas contas de fundo fiduciário mantidas pelo Tesouro dos EUA e que só podem ser utilizadas nesta atividade.

O governo federal, por meio do CMS, também trabalha com os governos estaduais para fornecer um seguro saúde, conhecido como Medicaid, para os cidadãos mais necessitados. O Medicaid é um seguro de saúde federal-estadual financiado conjuntamente, voltado para a parcela da população de mais baixa renda ou mais vulnerável (Medicare, 2021)²⁵.

Ao contrário de outras nações, os EUA não regulam diretamente os preços dos medicamentos. Nos Estados Unidos, as empresas farmacêuticas definem o preço dos produtos introduzidos no mercado norte-americano. Para a maioria dos medicamentos para pacientes ambulatoriais reembolsados pelo Medicaid, os fabricantes de medicamentos devem fornecer descontos ao governo, mas a maioria dos custos dos medicamentos é paga diretamente pelo Medicare ou por seguradoras

²³ <https://www.hhs.gov/about/budget/index.html> - acessado em março/2021

²⁴ <https://www.hhs.gov/about/budget/index.html> - acessado em março/2021

²⁵ <https://www.medicare.gov/about-us/how-is-medicare-funded> - acessado em março/2021

privadas de saúde. Quando os benefícios de medicamentos prescritos foram adicionados ao Medicare por meio de uma lei de 2003, a indústria farmacêutica fez um *lobby* bem-sucedido para proibir o governo federal de usar seu enorme poder de compra para negociar os preços dos medicamentos. Os pagadores privados normalmente contam com gerentes de benefícios farmacêuticos terceirizados para negociar descontos. Frequentemente, eles fazem acordos exclusivos com os fabricantes de medicamentos, o que limita a escolha dos pacientes. No gráfico 3 mostra a porcentagem das despesas com medicamentos de acordo com a fonte pagadora.

Food and Drug Administration (FDA) é uma agência do Departamento de Saúde e Serviços Humanos (FDA, 2021)²⁶, equivalente à Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) no Brasil. É a mais antiga agência abrangente de proteção ao consumidor do governo federal dos Estados Unidos.

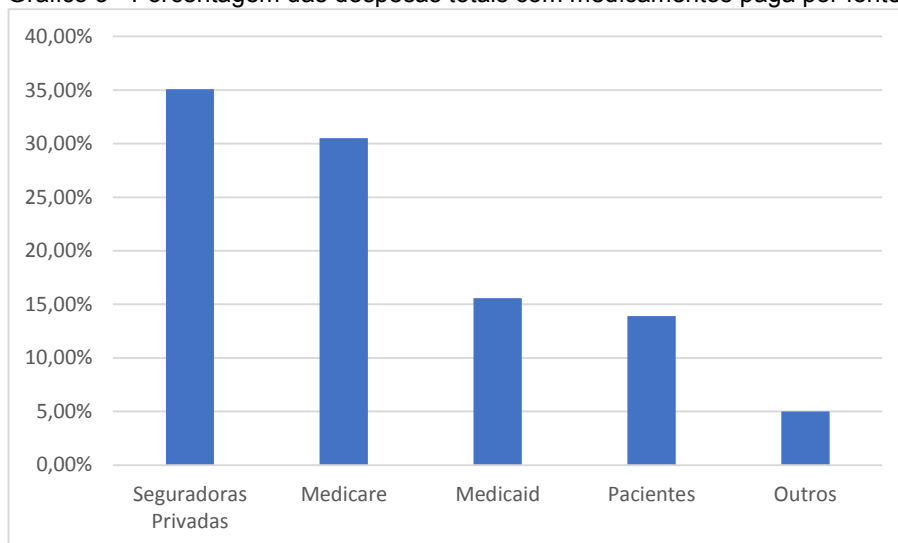
A partir de 31 de março de 2019, o FDA começou a implementação operacional de uma reorganização, que reflete o compromisso em modernizar sua estrutura para avançar em sua missão de proteger e promover a saúde pública e enfrentar os desafios da inovação rápida em todas as indústrias por ela regulamentadas. Esta reorganização realinhará várias entidades em toda a agência para promover prioridades estratégicas.

Embora não fosse conhecido por seu nome atual até 1930, as funções regulatórias modernas do FDA começaram com a aprovação da Lei de Alimentos e Drogas Puras de 1906, uma lei que proibia o comércio interestadual de alimentos e medicamentos adulterados e com marcas erradas. Desde então, o FDA mudou junto com as mudanças sociais, econômicas, políticas e legais nos Estados Unidos. O exame da história dessas mudanças ilumina o papel que o FDA tem desempenhado na promoção da saúde pública e oferece lições a serem consideradas ao avaliar os desafios regulatórios atuais (FDA, 2021)²⁷.

²⁶ <https://www.fda.gov/about-fda> - acessado em março/2021.

²⁷ <https://www.fda.gov/about-fda/history-fdas-fight-consumer-protection-and-public-health> - acessado em março/2021.

Gráfico 3 - Porcentagem das despesas totais com medicamentos paga por fonte em 2014.



Fonte: Departamento de Saúde e Serviços Humanos dos EUA (2014)

3.6 BRASIL

Brasil – Sistema Único de Saúde

A Constituição promulgada em 1988 institui a saúde como direito de todos e atribui ao Estado o dever de implementar políticas sociais e econômicas para reduzir os riscos de doença e outros agravos à saúde e garantir aos cidadãos acesso universal, com equidade e integralidade, às medidas e aos serviços de promoção, proteção e recuperação da saúde. O Sistema Único de Saúde (SUS), previsto na Constituição Federal de 1988 e regulamentado pelas Leis 8080/1990 e 8142/1990, tem por objetivo possibilitar que o Estado cumpra com tais deveres. O artigo 196 da Constituição Federal define o SUS e trata de suas principais diretrizes. As ações e serviços públicos de saúde integram uma rede regionalizada e hierarquizada e constituem um sistema único, organizado de acordo com as seguintes diretrizes:

- I. Descentralização, com direção única em cada esfera de governo (federal, estadual e municipal).
- II. Atendimento integral, com prioridade para as atividades preventivas, sem prejuízo dos serviços assistenciais.
- III. Participação da comunidade.

O Sistema Único de Saúde brasileiro contempla os instrumentos jurídicos, administrativos, institucionais e financeiros para que o Estado brasileiro desenvolva

as atividades necessárias para a garantia do direito à saúde no país (Aith, 2007). A Lei 8080, de 19 de setembro de 1990, estabelece condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes por meio de diversas instituições jurídicas de direito público, como Ministério da Saúde, Secretarias Estaduais e Municipais de Saúde, Agências Regulatórias e participação social.

De acordo com o disposto no artigo 6º da Lei 8080/90, compõem o campo de atuação do Sistema Único de Saúde (SUS), entre outras, a execução de ações de assistência terapêutica integral, inclusive, farmacêutica. Os conceitos e objetivos da assistência farmacêutica no Brasil foram definidos por meio da publicação de duas Políticas - a Política Nacional de Medicamentos (PNM) em 2001 (Brasil, 2001) e da Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF) em 2004 (Brasil, 2004).

A assistência farmacêutica é definida, na Política Nacional de Medicamentos, como um grupo de atividades relacionadas com o medicamento, destinadas a apoiar as ações de saúde demandadas por uma comunidade. Envolve o abastecimento de medicamentos em todas e em cada uma de suas etapas constitutivas, a conservação e o controle de qualidade, a segurança e a eficácia terapêutica dos medicamentos, o acompanhamento e a avaliação da utilização, a obtenção e a difusão de informação sobre medicamentos e a educação permanente dos profissionais de saúde, do paciente e da comunidade para assegurar o uso racional de medicamentos (Brasil, 2001)²⁸. A assistência farmacêutica no Brasil está organizada em três componentes – Básico, Estratégico e Especializado, de acordo com o quadro 3.

²⁸ http://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/politica_medicamentos.pdf – acessado abril/2021

Quadro 3 - Componentes da Assistência Farmacêutica no Brasil

BÁSICO	ESPECIALIZADO	ESTRATÉGICO
Medicamentos e insumos essenciais	Medicamentos para assistência integral à saúde	Medicamentos para tratamento de doenças endêmicas e epidemias
Destinação	Destinação	Destinação
Assistência a doenças e agravos mais prevalentes	Linhas de cuidado conforme Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)	Tratamento de doenças epidêmicas e endêmicas como HIV/AIDS, tuberculose, hanseníase, malária, leishmaniose, doença de Chagas
Âmbito	Âmbito	Âmbito
Atenção primária em saúde, em nível ambulatorial Unidades básicas de saúde Programa Saúde da Família	Tratamento de doenças conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas. Os pacientes devem cumprir com os Critérios de Inclusão	A estratégia de controle da doença concentra-se no tratamento de seus portadores

Fonte: Ccates (2021)²⁹

A Saúde Suplementar é a atividade que envolve a operação de planos ou seguros de saúde. Essa operação é regulada pelo poder público, representado pela Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS) e as operadoras compreendem seguradoras especializadas em saúde, medicinas de grupo, cooperativas, instituições filantrópicas e autogestões.³⁰

Regulamentada no final da década de 1990, com a entrada em vigor da lei 9.656/98, que dispõe sobre os planos de saúde. No ano seguinte, por meio da lei 9.961/2000 criou-se a Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS) para regulamentar, criar e implementar normas, controlar e fiscalizar as atividades do segmento. Antes disso, as seguradoras de saúde eram reguladas pela Superintendência de Seguros Privados (SUSEP).

É importante esclarecer que os planos de saúde fornecem assistência à saúde de forma suplementar, de modo que o cidadão não perde o direito de ser atendido pelo SUS ao contar com a cobertura do plano privado. Com relação ao funcionamento, a indústria de insumos de saúde e seus distribuidores fornecem medicamentos, materiais, equipamentos e gases medicinais, entre outros produtos, aos prestadores

²⁹ <http://www.ccates.org.br/areas-tematicas/assistencia-farmaceutica/> – acessado abril/2021.

³⁰ <https://limc.jusbrasil.com.br/artigos/208442559/a-saude-suplementar-no-brasil-entenda-um-pouco#:~:text=A%20Sa%C3%BAde%20Suplementar%20%C3%A9%20a,planos%20ou%20seguros%20de%20sa%C3%BAde.&text=Estes%2C%20por%20sua%20vez%2C%20utilizam,da%20mensali dade%20do%20plano%20contratado.> – acessado abril/2021.

de serviços de assistência à saúde. Estes, por sua vez, utilizam os insumos comprados para ofertar serviços aos beneficiários de planos de saúde, que pagam pelos serviços usufruídos por meio da mensalidade do plano contratado.

Há dois tipos de planos de saúde. Os planos individuais que são aqueles contratados diretamente por uma pessoa física junto à operadora, com a possibilidade de contemplar os dependentes do beneficiário titular, tornando-se, neste caso, um plano familiar. E os planos coletivos, que podem ser contratados por adesão (com vínculo do beneficiário a uma entidade de classe ou sindicato) ou por meio de empresas, através de vínculo empregatício.

É de suma importância distinguir plano de saúde e seguro saúde, eis que muitas pessoas confundem:

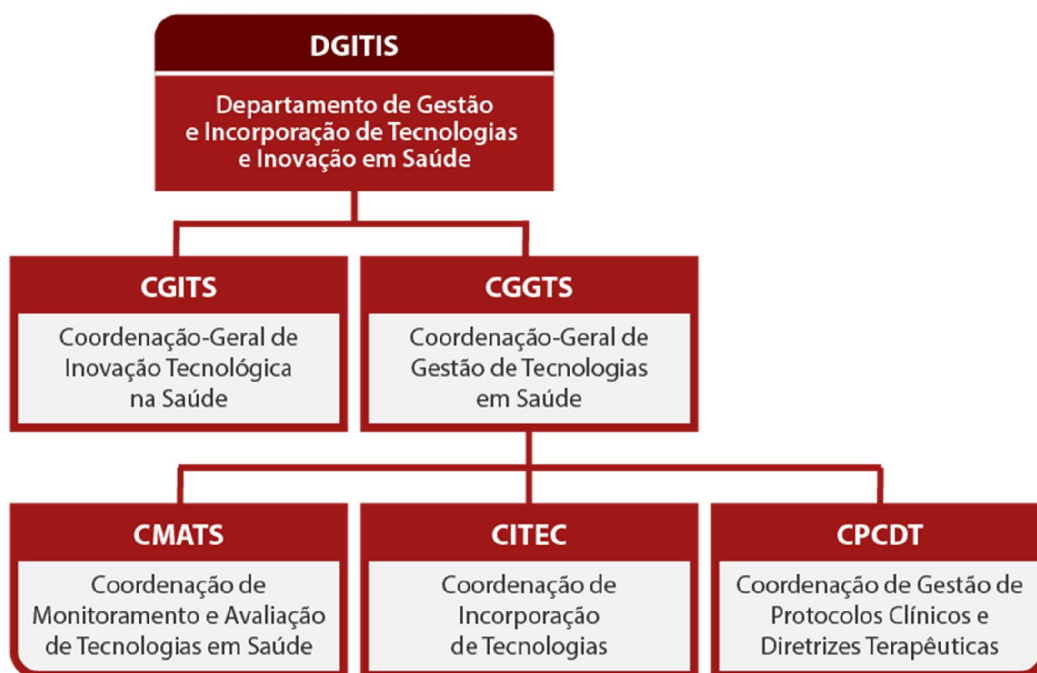
- Plano de saúde: deve oferecer serviços por rede assistencial própria ou credenciada e pode ou não oferecer a garantia de cobertura mediante reembolso.
- Seguro saúde: só pode ser oferecido por uma seguradora especializada em saúde. Garante a cobertura em regra por reembolso (característica própria) ou por rede referenciada, uma vez que o beneficiário pode ou não aceitar a indicação feita pela seguradora.

3.6.1 Incorporação de Medicamentos ao SUS

A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (Conitec) no SUS foi criada em 2011, por meio de Lei Federal n.º 12.401, de 28 de abril de 2011, e regulamentada por Decreto Presidencial, estabelecendo novas regras para incorporação de tecnologias em saúde no SUS e é responsável por assessorar o Ministério da Saúde na incorporação, alteração ou exclusão de novas tecnologias em saúde, bem como na constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (BVSMS, 2021)³¹. Ela faz parte do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITIS), que é subordinado à Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde.

³¹ http://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/entendendo_incorporacao_tecnologiasenvolver.pdf – acessado em abril/2021.

Figura 1 - Estrutura DGTIS



Fonte: Conitec (2021)³²

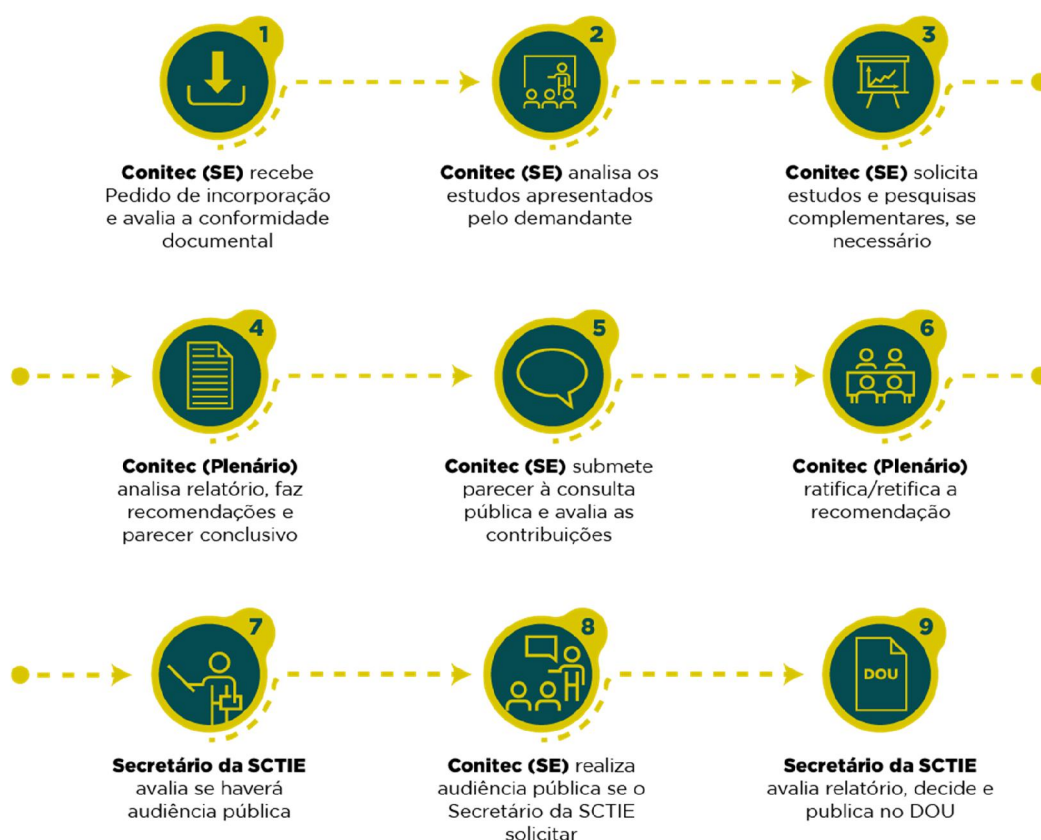
A Coordenação Geral de Avaliação de Tecnologias em Saúde (CGATS) do Departamento de Ciência e Tecnologia (Decit) apoia a tomada de decisão dos gestores no âmbito do SUS, inclusive, por meio de estudos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) e monitoramento da utilização de tecnologias já incorporadas e das emergentes (Brasil, 2012). As avaliações da Conitec são fundamentais para o processo de avaliação de tecnologias, incorporação e para a atualização da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (Rename), que é referência para o sistema público de saúde brasileiro e base para o orçamento dos estados, pois, de acordo com a política de assistência farmacêutica brasileira, os estados são obrigados a fornecer os medicamentos que constam na Rename.

Para serem incorporados a essa lista e, por conseguinte, à política de assistência farmacêutica, os produtos farmacêuticos têm de ser analisados pela Conitec. Esta somente analisa produtos devidamente registrados na Anvisa, criando uma relação direta entre os dois órgãos, não só no que se refere à necessária troca de informações como, principalmente, no que se refere à incorporação de novas tecnologias em saúde no sistema de saúde brasileiro (Dallari *et al.*, 2014).

³² <http://conitec.gov.br/entenda-a-conitec-2> - acessado em abril/2021.

A decisão quanto à incorporação de uma tecnologia, portanto, é balizada pela política, mas ela tem de ser fundamentada em bases técnico-científicas e em aspectos econômicos e sociais. Assim, para o setor público, um grande comprador e dispensador de medicamentos, o papel da Conitec na política de regulação de medicamentos adquire especial destaque (Brasil, 2012).

Figura 2 - Fluxo de Incorporação de Tecnologia



Fonte: Conitec (201)³³

3.6.2 Rol da ANS

Na saúde suplementar, a incorporação de novas tecnologias em saúde, bem como a definição de regras para sua utilização, regulamentada pela Resolução Normativa n.º 439/2018, é definida, pela ANS, por meio dos sucessivos ciclos de atualização do Rol de Procedimentos e Eventos em Saúde, que ocorrem a cada dois

³³ <http://conitec.gov.br/entenda-a-conitec-2> - Acessado em abril/2021.

anos. O ciclo de atualização do Rol inicia com ato de deliberação da Diretoria Colegiada da ANS (Dicol), que define um cronograma, fixando prazo para apresentação das propostas de atualização, mediante o preenchimento do formulário eletrônico FormRol.

Figura 3 - Fluxo das Etapas de Atualização do Rol



Fonte: ANS (2020)³⁴

Todos os interessados podem enviar proposta de atualização do Rol: tanto pessoas físicas quanto pessoas jurídicas podem encaminhar suas propostas, para o Comitê Permanente de Regulação da Atenção à Saúde (Cosaúde), de caráter

³⁴ <http://www.ans.gov.br/participacao-da-sociedade/atualizacao-do-rol-de-procedimentos/fluxo-das-etapas-de-atualizacao-do-rol> - Acessado em abril/2021.

consultivo, que é um fórum por meio do qual se estabelece o diálogo permanente com os agentes da saúde suplementar e com a sociedade (ANS, 200)³⁵.

3.6.3 Protocolo Clínico de Diretrizes Terapêuticas (PCDT)

Os Protocolos e Diretrizes do Ministério da Saúde são documentos que visam garantir as melhores práticas para o diagnóstico, tratamento e monitoramento dos pacientes no âmbito do SUS. Os PCDTs incluem recomendações de condutas clínicas, medicamentos, produtos e procedimentos nas diferentes fases evolutivas da doença ou do agravo à saúde (Conitec, 2021)³⁶.

A saúde informada por evidências norteia a elaboração de recomendações nestes documentos envolvendo um rigoroso processo de elaboração baseado nas recomendações das Diretrizes Metodológicas para elaboração de diretrizes clínicas. O processo de elaboração dos protocolos e diretrizes cumpre diversas etapas: tem início com a definição do tema pelas áreas internas do Ministério da Saúde, passa pelas fases de escopo, busca na literatura, seleção e análise de evidências científicas, e posterior definição de recomendações.

As etapas de elaboração dos Protocolos e Diretrizes envolvem a participação de diversos atores. Compõem os Grupos Elaborador e Comitê Gestor profissionais de diversas instituições de saúde, especialistas no tema, especialistas em metodologia, representantes de sociedades médicas e de associações de pacientes que auxiliam o Ministério da Saúde na elaboração desses documentos. Conforme a complexidade de cada tema e o conjunto de evidências identificadas, pode ser necessária a análise de tecnologias e procedimentos, situações que irão corresponder às particularidades de cada um destes protocolos.

Na figura 4, constam todas as etapas que podem ser inclusas no processo de elaboração de Protocolos e Diretrizes. Esta figura reflete o fluxo do processo seguido por muitas diretrizes (Conitec, 2021)³⁷.

³⁵ <http://www.ans.gov.br/aans/noticias-ans/sobre-a-ans/5922-ans-apresenta-oportunidade-de-contratacao-de-ressseguros-por-operadoras-de-planos-de-saude> - Acessado em abril/2021.

³⁶ <http://conitec.gov.br/pcdt-em-elaboracao> - Acessado em abril/2021.

³⁷ <http://conitec.gov.br/pcdt-em-elaboracao> - acessado em abril/2021.

Figura 4 - Fluxo de elaboração/atualização de Protocolos e Diretrizes



Fonte: Conitec (2021)³⁸

³⁸ <http://conitec.gov.br/pcdt-em-elaboracao> - acessado em abril/2021.

Algumas operadoras e seguradoras de saúde também desenvolvem manuais ou diretrizes terapêuticas a partir de câmaras técnicas ou grupos de medicina baseada em evidências. Estas publicações são utilizadas como balizadores para o uso de novas tecnologias, auxiliando na tomada de decisão dos gestores sobre as melhores opções terapêuticas e as melhores indicações clínicas. Algumas operadoras de saúde têm estruturada uma câmara técnica para auxiliar seus cooperados no uso de novas tecnologias (Unimed, 2021)³⁹.

3.6.4 Precificação

A Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED) é responsável por regular o setor farmacêutico. Ela é o órgão interministerial responsável por, além de regular o mercado, estabelecer critérios para a definição e o ajuste de preços de medicamentos. A CMED, criada pela Medida Provisória n.º 123, de 26 de junho de 2003, convertida na Lei n.º 10.742, de 6 de outubro de 2003, que define normas de regulação econômica para o setor farmacêutico, tem a finalidade de promover a assistência farmacêutica à população por meio de mecanismos que estimulem a oferta de medicamentos e a competitividade do setor (Brasil, 2021b)⁴⁰. Trata-se de um Conselho Federal formado pelo Ministro da Saúde, Chefe da Casa Civil da Presidência da República, Ministro da Justiça e Ministro da Fazenda, a quem as empresas produtoras informam a pretensão de comercialização de produtos em saúde. Definição do preço público de medicamentos está entre as competências da CMED, dentre as quais se destacam aquelas relacionadas com a regulação do mercado:

- I - definir diretrizes e procedimentos relativos à regulação econômica do mercado de medicamentos;
- II - estabelecer critérios para fixação e ajuste de preços de medicamentos;
- III - definir, com clareza, os critérios para a fixação dos preços dos produtos novos e novas apresentações de medicamentos, nos termos do artigo 7º;

³⁹ <https://www.unimed.coop.br/web/unimedrs/recomendacoes-de-medicina-baseada-em-evidencias/recomendacoes-de-medicina-baseada-em-evidencias> - Acessado em abril/2021.

⁴⁰ <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed> - Acessado em abril/2021.

- IV - decidir pela exclusão de grupos, classes, subclasses de medicamentos e produtos farmacêuticos da incidência de critérios de estabelecimento ou ajuste de preços, bem como decidir pela eventual reinclusão de grupos, classes, subclasses de medicamentos e produtos farmacêuticos à incidência de critérios de determinação ou ajuste de preços, nos termos dessa Medida Provisória.

A definição de critérios de precificação de medicamentos é tarefa atribuída à CMED (Medida Provisória n.º 123, de 26 de junho de 2003), sendo de sua responsabilidade o cálculo do Coeficiente de Adequação de Preços (CAP) ((Resolução CMED n.º 4, de 18 de dezembro de 2006), que é um desconto mínimo obrigatório, atualizado anualmente, a ser aplicado sempre que forem realizadas vendas de medicamentos constantes do rol divulgado pela CMED e nas compras de todos os medicamentos, por força de decisão judicial, destinados aos entes da Administração Pública direta e indireta da União, dos estados, do Distrito Federal e dos municípios (Brasil, 2021b)⁴¹.

O principal objetivo da criação do CAP foi uniformizar o processo de compras públicas de medicamentos e tornar mais efetivo o acesso universal e igualitário, princípio fundamental do SUS. O CAP é calculado a partir da média da razão entre o Índice do PIB *per capita* do Brasil e os Índices de outros países: Austrália, Canadá, Espanha, Estados Unidos, França, Grécia, Itália, Nova Zelândia, Portugal, ponderada pelo PIB. Este índice foi extraído do Relatório do Índice de Desenvolvimento Humano – IDH das Nações Unidas e é atualizado anualmente (Brasil, 2021b)⁴². O CAP é aplicado sobre o Preço Fábrica (PF), que resultará no Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG). O valor do CAP, em 2021, está em 21,53%, conforme Resolução n.º 05, de 21 de dezembro de 2020.

3.6.5 Compras Públicas de Medicamentos

⁴¹<https://www.gov.br/anvisa/pt/acessoainformacao/perguntasfrequentes/medicamentos/cmed/precocap#:~:text=O%20CAP%20%C3%A9%20calculado%20a,%2C%20Portugal%2C%20ponderada%20pe%20PIB> – acessado em abril/2021.

⁴²<https://www.gov.br/anvisa/pt.br/acessoainformacao/perguntasfrequentes/medicamentos/cmed/precocap#:~:text=O%20CAP%20%C3%A9%20calculado%20a,%2C%20Portugal%2C%20ponderada%20pelo%20PIB> – acessado em abril/2021.

A Lei de Licitações n.º 8666/93 estabelece normas gerais sobre licitações e contratos administrativos pertinentes a obras, serviços, inclusive, de publicidade, compras, alienações e locações no âmbito dos Poderes da União, dos estados, do Distrito Federal e dos municípios. Sendo assim, a aquisição de medicamentos no sistema de saúde do Brasil deve obedecer às regras quanto às licitações e contratos administrativos (Brasil, 1993).

Com o intuito de garantir o uso mais adequado do orçamento público, a Administração Pública é limitada no direito de livre contratação, que se vincula às restrições estabelecidas pela legislação. A licitação consiste em um procedimento mandatório às entidades administrativas para estabelecerem relações de conteúdo patrimonial. Para tanto, devem garantir igualdade de condições entre concorrentes e escolher a melhor proposta dentre as oferecidas pelos interessados (Marc, 2014). Há diferentes modalidades de licitação, ou seja, formas de condução do procedimento licitatório, conforme critérios estabelecidos na Lei de Licitações e Contratos Administrativos (Lei n.º 8666/1993) (Hauegen, 2014). O principal critério para a determinação do modelo de licitação é o valor do contrato.

A definição legal de bem-comum está contida no parágrafo único, do artigo 1º da Lei 10520/2002, que reza: “Consideram-se bens e serviços comuns, para os fins e efeitos deste artigo, aqueles cujos padrões de desempenho e qualidade possam ser objetivamente definidos pelo edital, por meio de especificações usuais no mercado” (Plataformamaisbrasil, 2002)⁴³. Para a compra de medicamentos, o procedimento mais comum e considerado bem-sucedido pelas autoridades administrativas (Ministério da Saúde, 2006) é o pregão, regulado pela Lei 10.520/2002, considerando que medicamento faz parte de um conceito amplo da noção legal de bem-comum e que esse procedimento é notadamente mais simples que os demais tipos licitatórios. Escolher pregão eletrônico ou presencial é uma das estratégias para a aquisição com menores preços e maior agilidade (Hauegen, 2014).

⁴³ <http://plataformamaisbrasil.gov.br/legislacao/leis/lei-n-10-520-de-17-de-julho-de-2002> - acessado em abril/2021.

4 METODOLOGIA

O presente trabalho aplicado adotou o método abordagem qualitativa analítica, delimitando o estudo dos sistemas de saúde de quatro países: Itália, Inglaterra, Estados Unidos da América e Brasil, com o objetivo de entender como modelos de financiamento inovadores podem contribuir para o acesso dos pacientes aos tratamentos de alto custo.

Foi utilizada a metodologia *Theory Building from Cases*, que é uma estratégia de pesquisa que envolve o estudo de um ou mais casos para criar teorias ou proposições a partir de evidências empíricas deles retiradas (Eisenhardt & Graebner, 2007). Neste estudo, ao invés de criar uma teoria, buscou-se desenvolver uma argumentação para responder à pergunta de pesquisa: Modelos Inovadores de Financiamento na Saúde são ferramentas de acesso para pacientes que necessitam de tratamentos com medicamentos de alto custo?

Utilizou-se a lógica indutiva para desenvolver a resposta à pergunta a partir de argumentos fornecidos pelos estudos dos casos. Como complemento, foram realizadas entrevistas com gestores da área pública e privada, representantes da academia, consultores da área de saúde, representantes das indústrias farmacêuticas, representantes de organização que representam as indústrias farmacêuticas, representante do Ministério da Saúde – CONITEC – e representante de associação de pacientes para melhor entendimento da atual situação do acesso dos pacientes às terapias avançadas e a possibilidade de adaptar modelos inovadores aos sistemas de financiamento da saúde. Foram selecionados *stakeholders* que têm a possibilidade de observar, ou ter como desafio, a incorporação dos medicamentos no sistema de saúde. As entrevistas foram consideradas um complemento importante para o entendimento da literatura, trazendo as observações e experiências de profissionais que atuam de forma direta ou indireta com os processos de avaliação e incorporação de medicamentos de alto custo no sistema de saúde brasileiro.

A maior parte das entrevistas foi realizada por meio de ferramentas para reuniões on-line (*Zoom* e *Teams*), sendo que apenas um entrevistado enviou as respostas por escrito.

No momento da entrevista, a primeira questão foi customizada, de acordo com o envolvimento do entrevistado no processo de incorporação de tecnologias em saúde. Houve especial atenção em identificar quais eram diretamente ligados ao

processo de incorporação e quais exerciam papéis indiretos neste processo ou são apenas observadores. Os entrevistados não serão identificados, apenas suas respostas serão utilizadas no documento.

Como complemento dos resultados foram inclusos exemplos de contratos inovadores de financiamento em saúde ou iniciativas que envolvam estes modelos, colaborando nas análises dos resultados e auxiliando na construção da discussão.

4.1 PESQUISA BIBLIOGRÁFICA

As referências bibliográficas foram obtidas por meio de levantamento nas bases de dados indexadas, academicamente reconhecidas: EBSCO, SCIELO, LILACS, CAPES, BIREME (MEDLINE) e PUBMED, que são as mais utilizadas na área de saúde. Também foram utilizados os *sites* (páginas *web*) da Organização Mundial de Saúde, Ministério da Saúde do Brasil, agências de ATS e agências reguladoras dos países estudados.

Palavras-chave: Risco compartilhado. Acessos. Avaliação de tecnologias em Saúde. Contrato de compartilhamento de risco. Modelos inovadores de Financiamento. Financiamento em saúde. Resseguro. Medicamentos de alto custo. Theory Building case.

4.2 EXEMPLOS INTERNACIONAIS

Foram estudados casos com **exemplos de contratos** de compartilhamento de riscos e propostas de resseguros, executados na Inglaterra e Itália – compartilhamento de risco e resseguro – Estados Unidos da América.

4.3 ENTREVISTAS

Foram realizadas entrevistas buscando o entendimento sobre a avaliação e incorporação de novas tecnologias nos subsistemas de saúde público e privado no Brasil, as principais dificuldades enfrentadas pelos gestores de saúde e representantes da indústria farmacêutica para oferecer o acesso de terapias de alto custo aos pacientes, o impacto das novas tecnologias nos sistemas e se os modelos

inovadores são considerados como ferramentas para promover o acesso (Apêndice A).

A análise das respostas foi feita agrupando as respostas por pergunta e por grupo de entrevistados. Os entrevistados foram divididos em quatro grupos – gestores, representantes das indústrias farmacêuticas, academia/consultoria, associações de pacientes/organização sindical. As respostas do representante da Conitec foram consideradas como um consultor. No total foram realizadas 14 entrevistas, com duração média de 20 minutos. O roteiro encontra-se no Apêndice A.

5 RESULTADOS

5.1 EXEMPLOS DE MODELOS INOVADORES NOS PAÍSES DE REFERÊNCIA

5.1.1 Caso 1 - Exemplo de Contrato de Compartilhamento de Risco na Inglaterra Medicamento Lucentis (Novartis) para Degeneração Macular Relacionada à Idade

Este exemplo foi selecionado pois é relativo a um tratamento de alto custo e o contrato foi baseado no número de doses, e não na dosagem do medicamento ou tempo de tratamento.

De acordo com o Protocolo Clínico de Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde, a degeneração macular relacionada à idade (DMRI) é uma doença degenerativa e progressiva que acomete a mácula (área central da retina), levando à perda da visão central.

O Ranibizumabe, com nome comercial de Lucentis, é um fator inibidor de crescimento endotelial para um tipo de degeneração da mácula. O Reino Unido adotou um protocolo clínico que definiu sua administração na modalidade de injeção intravítrea (diretamente no olho) uma vez por mês, durante três meses. Após esses três ciclos de administração, o paciente deve ser monitorado mensalmente, sendo sua acuidade visual avaliada. Caso ocorra uma perda da capacidade visual, em uma mensuração específica, uma ulterior injeção é necessária (Neumann *et al.*, 2011).

O produto foi aprovado com base em estudos clínicos e simulação de modelagem que demonstrou benefício seguindo o protocolo clínico, iniciando o tratamento com três injeções mensais e com injeções subsequentes quando os pacientes apresentarem nova perda de visão (Klemp *et al.*, 2011). O alto custo do medicamento representou o principal empecilho para sua incorporação, visto que sua efetividade estava aparentemente comprovada pelos dados disponibilizados nos estudos. Ficou registrado o uso do tratamento por um ou dois anos, com uma média de oito doses no primeiro ano e seis no segundo (Neumann *et al.*, 2011). A primeira avaliação realizada pelo Nice concluiu que o tratamento com Lucentis R não era custo-efetivo, que considerou tanto os custos do medicamento e da sua administração aos pacientes como as despesas e os prejuízos causados pela perda da visão (Paris & Belloni, 2013). Na análise do Nice, preponderou a incerteza quanto ao número de

doses necessárias para a eficácia do tratamento em condições reais de uso (Klemp *et al.*, 2011). As autoridades sanitárias do Reino Unido, por sua vez, preocuparam-se, especialmente, com o potencial impacto orçamentário da incorporação do medicamento (Neumann *et al.*, 2011).

Em 2007, Nice e Novartis passaram a discutir um acordo para permitir a incorporação do Lucentis R, respeitando a razão custo-efetividade. Esse acordo, utilizando mecanismos de avaliação de tecnologias, definiu 14 injeções por olho como o limite de dosagens suportadas pelo sistema público de saúde a fim de tornar aceitável a relação entre o preço e o benefício clínico do medicamento. Em 2008, o NHS do Reino Unido e a empresa Novartis estabeleceram um acordo pelo qual o medicamento foi incorporado ao Sistema Público de Saúde com a indicação e obrigação do Estado de pagar o máximo de 14 injeções por olho tratado.

A empresa, em contrapartida, assumiu o compromisso de entregar o medicamento sem custo para o Estado se houvesse demanda de mais injeções para a efetividade do tratamento, também, estruturou-se para manter o registro com informações sobre a dose e acuidade visual de cada paciente e para reembolsar hospitais diretamente para quaisquer doses a partir da 15ª dose. Esse tipo de compartilhamento de risco pode ser utilizado na gestão pública, com a incorporação de tecnologias em áreas nas quais a resposta ao tratamento, o número de doses e a duração do tratamento são variáveis, como, por exemplo, os tratamentos oncológicos (Carlson *et al.*, 2010).

O benefício está em permitir o acesso ao tratamento e tentar controlar o exagero no uso ou na prescrição, atribuindo responsabilidades com consequências financeiras para a empresa. Dessa forma, mais pacientes foram beneficiados com o tratamento e uma base de dados sobre os benefícios do tratamento pôde ser criada (Haugen, 2014).

Em resumo, trata-se de um contrato de aquisição pública de medicamento com cláusula especial vinculando o pagamento a um evento futuro que se refere à incerteza sobre número de doses necessárias para efetividade do tratamento. A evidência desejada nesse acordo se refere ao volume, em especial ao número total de injeções que garantam a efetividade do tratamento e à razoabilidade da relação custo-efetividade. Não está vinculada diretamente ao desfecho, mas ao número de doses utilizado e à necessidade de diferentes dosagens em cada paciente. A análise de desempenho é obtida indiretamente. A definição do número ideal de doses – 14

injeções – como marco dependeu de estudos de desempenho. O desfecho baseado em tratamentos reais, e não apenas em dados obtidos em estudos clínicos, será a medida para definir o valor do pagamento e a quantidade de medicamentos de fato utilizada será comparada aos resultados apurados nos estudos de fase III, confirmando ou não a efetividade do tratamento (Carlson *et al.*, 2010).

5.1.2 Caso 2 - Exemplo de Contrato de Compartilhamento de Risco na Itália

Este contrato foi selecionado como exemplo pois utiliza a base de dados de monitoramento.

Iclusig (ponatinibe) é indicado em pacientes adultos com leucemia linfoblástica aguda positiva para o cromossomo Filadélfia (Ph + ALL), resistente ou intolerante ao dasatinibe e para os quais o tratamento subsequente com imatinibe não é clinicamente apropriado, ou em pacientes aos quais foi identificado o T315I, mutação da leucemia mieloide crônica positiva para o cromossomo Filadélfia (CML Ph +), acelerada ou resistente a blastos ou intolerante ao dasatinibe ou nilotinibe e para os quais o tratamento subsequente com imatinibe não é clinicamente apropriado, ou pacientes nos quais foi identificada a mutação T315I,

A Leucemia Linfoblástica Aguda (LLA) é o câncer mais frequente na faixa etária pediátrica. Cerca de 2% a 3% de todas as crianças e adolescentes com LLA apresentam a translocação t(9;22), também conhecida como cromossoma Philadelphia (Ph+). Altas taxas de falha indutora são relacionadas com essa mutação, configurando-se como fator de risco para o insucesso terapêutico (Aricò *et al.*, 2000; Oudot *et al.*, 2008).

Para aplicar corretamente o procedimento, alguns detalhes importantes são relatados:

A ativação no *site* de monitoramento ocorreu em 19/2/2019. E o acordo prevê o reembolso de tratamentos, mesmo nos casos de progressão a doença, caracterizando um acordo, baseado em desfecho, sendo que esses casos serão analisados e geridos mediante um procedimento extrassistema, o pagamento dos tratamentos em progressão não seguirá o mesmo fluxo, serão renegociados entre as partes envolvidas.

5.1.3 Caso 3 - Exemplo de Resseguro nos Estados Unidos da América

- Possibilidade de Resseguro para Terapias Avançadas

Indústrias farmacêuticas têm procurado estabelecer parceria com empresas de resseguros globais para ajudar os sistemas de saúde a arcarem com os custos de terapias personalizadas de nova geração. A ideia de trabalhar com a indústria de resseguros surge quando grandes companhias farmacêuticas buscam financiar medicamentos com alto potencial, mas com preços elevados. Diversas empresas farmacêuticas investem em terapias celulares e genéticas especializadas – que oferecem a perspectiva de curar pacientes de doenças antes incuráveis. A Novartis é uma das empresas que estão considerando um modelo de resseguro no qual um terceiro assume o risco em uma condição de alto custo (Beckers Hospital Review, 2021)⁴⁴.

Um modelo de resseguro pode ser atraente tanto para a indústria de seguros quanto para a farmacêutica. As resseguradoras, que já fornecem uma proteção para os planos de saúde dos empregadores, poder-se-iam beneficiar dessa nova receita e diferenciar-se da concorrência.

5.2 INICIATIVAS BRASILEIRAS

- Compartilhamento de risco no Brasil

Em fevereiro de 2019, o Ministério da Saúde anunciou que uma nova modalidade de compra seria implementada no Sistema Único de Saúde, no que tange ao compartilhamento de risco (Conitec, 2019)⁴⁵.

Em junho de 2019, pelo despacho do então Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde, instituiu-se o Projeto Piloto de Acordo de Compartilhamento de Risco para incorporação de tecnologias em saúde visando oferecer acesso ao medicamento Spinraza® (Nusinersena), para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III no âmbito do SUS. A nota técnica definia:

⁴⁴ <https://www.beckershospitalreview.com/pharmacy/novartis-may-partner-with-reinsurers-to-cut-cost-of-gene-therapies-for-health-systems.html> - acessado em abril/2021.

⁴⁵ <http://conitec.gov.br/acordos-de-compartilhamento-de-risco-sao-possiveis-no-sistema-unico-de-saude-brasileiro> - acessado em abril/2021.

Parágrafo único. A definição dos termos e condições do compartilhamento de risco de que trata o caput deverá ser devidamente movida por manifestação da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde - SCTIE/MS que apresente os fundamentos técnicos para os critérios utilizados.

Art. 4º Os pacientes terão acesso ao medicamento Spinraza® em centros de referência para o tratamento da AME 5q, com a disponibilização de cuidados multidisciplinares.

Parágrafo único. Os centros serão selecionados pela SCTIE/MS entre os Serviços de Referência em Doenças Raras e os Hospitais Universitários Estaduais e Federais.

Art. 5º O monitoramento dos pacientes e a avaliação dos desfechos clínicos nos centros de referência serão coordenados por instituição de pesquisa indicada pela SCTIE/MS, observados os termos acordados entre o Ministério da Saúde e a empresa farmacêutica.

Parágrafo único. Caberá à SCTIE/MS acompanhar e fiscalizar as atividades realizadas pela instituição de pesquisa de que trata o caput.

Art. 6º As evidências adicionais produzidas por meio deste projeto piloto de acordo do compartilhamento de risco deverão ser submédias, em até 3 anos, à Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC, para reavaliação da incorporação do medicamento Nusinersena para o tratamento da AME 5q, no âmbito de sua competência de assessorar o Ministério da Saúde na incorporação de tecnologias no SUS.

Art. 7º A Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos para a Saúde - SCTIE/MS deverá realizar avaliações periódicas deste projeto piloto, com o objetivo de subsidiar a futura edição de norma geral acerca do compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde no âmbito do SUS.

Estabelece também os centros de referência, prazo de acompanhamento dos tratamentos, monitoramento dos pacientes e desfechos clínicos.

Contudo a Advocacia Geral da União (AGU) considerou grave insegurança jurídica na condução do projeto piloto em parceria com a fabricante do medicamento Spinraza® (Nusinersena), portanto, inviabilizando a sua continuidade, principalmente relacionada com a aquisição de medicamentos mediante processo de licitação (AGU, 2018). A legislação vigente que rege as compras públicas, preconiza a compra através de processo licitatório, onde a escolha se dará pelo menor preço, sem condicionar o pagamento a qualquer tipo de desfecho ou resultado, inviabilizando assim os contratos de compartilhamento de risco.

5.3 RESULTADOS DAS ENTREVISTAS

Os resultados obtidos com a realização das entrevistas são, na continuidade deste trabalho, apresentados de forma agrupada, de acordo com as perguntas aplicadas.

5.3.1 Questão 1 – Na sua visão, quais as principais dificuldades para a incorporação das terapias de alto custo nos sistemas de saúde brasileiros?

As principais respostas para a primeira questão – uma mesma resposta foi mencionada por mais de uma vez, o que gerou um valor superior ao número de entrevistados. Os dados foram tabulados por resposta, e não por entrevistado:

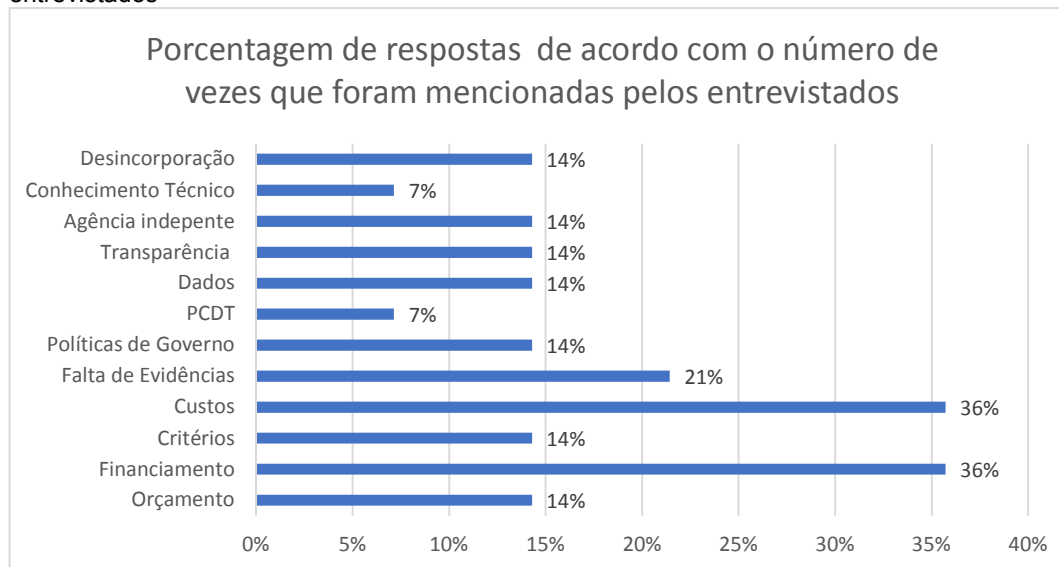
Tabela 1 – Principais dificuldades

Principais Dificuldades	N.º de vezes que foram mencionadas
Orçamento	2
Financiamento	5
Critérios	2
Custos	5
Falta de Evidências	3
Políticas de Governo	2
PCDT	1
Dados	2
Transparência	2
Agência Indep	2
Conhecimento Técnico	1
Desincorporação	2

Fonte: Elaboração própria

O gráfico a seguir permite visualizar melhor as dificuldades mais mencionadas pelos entrevistados.

Gráfico 4 - Porcentagem de respostas de acordo com o número de vezes que foram mencionadas pelos entrevistados



Fonte: Elaboração própria

5.3.2 Questão 2 – Que tipo de impacto a incorporação de novas tecnologias de alto custo causam no financiamento da saúde?

Na tabela que segue, constam as principais respostas:

Tabela 2 - Principais impactos com a incorporação de terapias de alto custo

Principais impactos com a incorporação de terapias de alto custo	
Negativos	Positivos
Aumento dos custos - Terapias mais caras e que mantêm o paciente em tratamento por mais tempo	Sobrevida do paciente
Competição pelo mesmo recurso financeiro	No médio prazo, podem gerar economia
Falta de informações sobre população que realmente precisa destas terapias (critérios/protocolos de tratamento)	Geram a necessidade de criar protocolos estaduais e municipais
Impacto no orçamento	Valor para os pacientes

Fonte: Elaboração própria

Apenas um entrevistado respondeu que não há impacto, pois, quando ocorre a avaliação para a incorporação de novas tecnologias, é feita uma avaliação econômica e orçamentária.

5.3.3 Questão 3 e 4

A questão de número 3 – “Na sua opinião, os modelos inovadores de financiamentos (compartilhamento de riscos, resseguro, amortização, etc.) podem auxiliar no processo de incorporação de novas tecnologias?” e a questão de número 4 – “No sistema de saúde brasileiro, há possibilidades de utilizarmos os modelos inovadores em saúde? Se sim, quais são os mais próximos de nossa realidade?” foram respondidas por 71,4% dos 14 entrevistados como se fossem única questão. No momento de responder à pergunta 3, mencionavam as possibilidades de utilização dos modelos inovadores no Brasil.

A viabilidade de implementação dos novos modelos de financiamento no sistema brasileiro foi considerada positiva em 100% das respostas, porém todos os entrevistados mencionaram pontos importantes a serem avaliados para o sucesso

dessas ferramentas. Na tabela 3 são apresentadas as principais dificuldades para a implementação dos modelos no sistema de saúde brasileiro. A falta de uma base de dados confiável, políticas públicas e controle das informações foram alguns dos pontos mencionados e que precisam ser modificados para que os contratos sejam viáveis no mercado público

O uso dos modelos inovadores no mercado privado parece ter uma aceitação maior, os entrevistados em sua maioria concordam que o compartilhamento de risco pode ser uma boa ferramenta. Com relação ao resseguro, um representante da indústria, dois gestores e dois representantes da academia e consultorias consideram também uma boa alternativa.

Tabela 3 – Dificuldade para a implementação dos novos modelos de financiamento

Dificuldade para a implementação dos novos modelos de financiamento
Necessidade de políticas públicas bem-definidas
Definição dos desfechos
Variáveis incontroláveis
Dificuldade na garantia dos resultados
Adequação para a realidade brasileira
Mudança na atual legislação
Previsibilidade
Auditoria dos dados
Controle das informações
Falta de estrutura
Falta de equipes treinadas
Resistência de ambas as partes
Base de dados confiável
Transparência nos processos/Confiança
Acompanhamento dos pacientes
Como controlar o desfecho quando o paciente muda de operadora/seguradora

Fonte: Elaboração própria

5.3.4 Questão 5 - A não incorporação das terapias de alto custo resultam em processos judiciais? Em caso afirmativo, qual o impacto destas ações judiciais nos sistemas de saúde?

Para 100% dos entrevistados a judicialização causa impactos negativos no sistema e prejudica o orçamento, bem como a financiamento da saúde.

Os impactos considerados mais prejudiciais foram:

- Maior custo de aquisição
- Ausência de previsibilidade
- Sobrecarga no sistema
- Aumento da desigualdade
- Falta de dados sobre a utilização dos produtos
- Ausência de critérios para a utilização – como saber se o medicamento é o mais indicado para o tratamento do paciente
- Não é garantia de acesso à informação
- Falta de confiança

- SÍNTESE DAS RESPOSTAS

Diante das respostas obtidas, pôde-se entender que a judicialização, conquanto seja um direito do paciente, onera o sistema de forma desigual e prejudicial. Na sequência, coloca-se um resumo das principais respostas por grupo de entrevistados:

Quadro 4 - Síntese das respostas

Principais Respostas por Grupo de Entrevistados				
Questões	Grupo Gestores	Grupo Consultores/Academia	Grupo Indústria Farmacêutica	Grupo Entidades e Assoc.
1º	Financiamento, Critérios, falta de evidências, Financiamento, Custos, PCDT, Agência Independente de Incorporação	Financiamento, Transparência, Orçamento, Financiamento, Falta de Evidências	Dados, Custos, Financiamento, Conhecimento Técnico	Políticas de Públicas, Financiamento, Dados
2º	Aumento dos Custos, Economia no médio prazo, necessidade de criar protocolos, Impacto no orçamento	Valor para o paciente, sobrevivência para o paciente, aumento dos custos, impacto orçamentário	Economia no médio prazo, Valor para o paciente, Competição pelos mesmos recursos	Competição pelos mesmos recursos, Valor para o paciente, Economia no médio prazo
3º	Políticas Públicas, Variáveis incontornáveis, Controle das Informações	Auditoria dos dados, falta de estrutura, falta de equipes treinadas	Previsibilidade, base de dados confiável, acompanhamento do paciente	Políticas de Públicas, confiança, acompanhamento dos pacientes
4º	Políticas Públicas, Desfecho, Auditoria dos dados, Falta de estrutura	Transparência nos processos, confiança, Acompanhamento do paciente	Base de dados confiável, auditoria dos dados, legislação brasileira	Políticas de Públicas, acompanhamento dos pacientes,
5º	Impacto no orçamento, sobrecarga no sistema	Impacto no orçamento, ausência de previsibilidade	Impacto no orçamento, sobrecarga no sistema, Falta de confiança	Impacto no orçamento, aumenta desigualdade, ausência de previsibilidade

Fonte: Elaboração própria

6 DISCUSSÃO

Na construção da discussão foram utilizadas, por meio da triangulação, as informações obtidas da base teórica, os exemplos internacionais e as respostas às entrevistas.

No Brasil, os processos para a incorporação de novas tecnologias estão bem-definidos, apesar de seguirem fluxos separados nos subsetores público e privado, de acordo com as regras da Conitec (Brasil, 2012; ANS, 2021). As avaliações de tecnologia em saúde têm como pilar importante os estudos clínicos e a medicina baseada em evidências, parceiros essenciais tanto na pesquisa quanto na atuação política, principalmente para a criação e desenvolvimento de protocolos clínicos para os serviços e sistemas de saúde (Drummond, 2013; Novaes, 2006).

Todavia, ao analisar as repostas apresentadas, identificou-se a necessidade de maior transparência nos processos de decisão sobre a incorporação de novas tecnologias no sistema e saúde e confiabilidade dos gestores em saúde. As agências de ATS, mormente as mais independentes, podem aumentar a transparência dos processos e gerar maior confiabilidade na tomada de decisões sobre incorporações de tecnologias (IESS, 2021). Os países estudados como exemplo na utilização de compartilhamentos de riscos no âmbito do setor público, Inglaterra e Itália, também apresentam esses processos de ATS bem-definidos e contam com o apoio das agências de ATS (Hauengen, 2014).

Para a maior parte dos entrevistados, o impacto dos custos e do financiamento é o entrave fundamental para a incorporação de terapias de alto custo. Entretanto existe concordância sobre os benefícios que as terapias oferecem e entendimento de que, ao longo do tempo, podem resultar em diminuição de custos, considerando que os medicamentos reduzem outras despesas, tais como hospitalização, gastos com diagnóstico e dispositivos médicos; apenas um gestor da indústria e um gestor do mercado público não concordaram com essa perspectiva. A Inglaterra, país com sistema de saúde semelhante ao brasileiro, adotou o QALY como balizador para as incorporações de novas tecnologias em saúde, demonstrando que, ao longo do tempo, a tecnologia promoverá benefícios aos pacientes e ao sistema (Hauengen, 2014).

Ao examinar a origem dos orçamentos dos países que foram referência para este trabalho, foi possível perceber uma semelhança entre eles, visto que os impostos

parecem ser a base para a maior parte do financiamento da saúde. Mesmo nos Estados Unidos, onde o sistema de saúde não é universal, há uma composição no financiamento, sendo que parte também tem sua origem na arrecadação de impostos. O financiamento do sistema único de saúde brasileiro, conforme a literatura, é muito semelhante ao dos sistemas de saúde da Inglaterra e da Itália. A verba originada da arrecadação de impostos está presente nos quatro países (Brasil, 2001; Longtermplan, 2021; Salute, 2021; HHS, 2021)⁴⁶.

O preço dos medicamentos de alto custo é um ponto fundamental. No Brasil, a regulação do mercado de medicamentos é feita pela CMED. Grande parte dos medicamentos de alto custo são considerados como inovação e, de acordo com as regras da CMED, tem um sistema de cálculo específico para a precificação na tentativa de criar uma metodologia de precificação justa aos gestores da saúde (Brasil, 2021b)⁴⁷.

Com relação aos modelos inovadores é imprescindível avaliação e correto entendimento sobre sua implementação, seu controle e apuração de seus resultados. Para isso, é necessária a criação de uma base de dados confiável, com dados sobre a jornada do paciente, um acompanhamento sobre os resultados dos tratamentos e seus desfechos. Na Itália, buscaram desenvolver metodologias e ferramentas para gerar dados e controlar a atualização das informações de forma precisa e segura (Carlson *et al.*, 2014; Towse & Garrison, 2010). Na descrição do compartilhamento de risco, também se detectou, na literatura (Adamski *et al.*, 2010), a necessidade da base de dados para acompanhamento dos desfechos dos tratamentos.

A necessidade de um aprimoramento das políticas de saúde foi mencionada pelos entrevistados.

No Brasil, a Susep alterou a legislação sobre a contratação de resseguros em 2020, justamente para possibilitar os contratos de resseguro firmados por operadoras de saúde, e não mais só por seguradoras de saúde, como descrito na legislação de 2013 (Susep, 2020)⁴⁸. O projeto piloto de compartilhamento de risco instituído em

⁴⁶http://bvsmis.saude.gov.br/bvsmis/publicações/politica_medicamentos.pdf; <https://www.longtermplan.nhs.uk>; <http://www.salute.gov.it/portale/lea/dettaglioContenutiLea.jsp?lingua=italiano&id=5073&area=Lea&menu=vuoto>; <https://www.hhs.gov/about/budget/index.html> - acessado em abril/2021.

⁴⁷ <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed> - acessado em abril/2021.

⁴⁸<http://www.susep.gov.br/setores-susep/noticias/noticias/susep-autoriza-a-contratacao-de-resseguro-por-entidades-de-previdencia-complementar-e-por-operadoras-de-planos-privados-de-assistencia-a-saude> - acessado em abril/2021.

2019 foi impedido de seguir avante devido a um parecer da AGU sobre a insegurança jurídica e o processo de aquisição de medicamentos utilizados no Brasil. A base teórica aqui utilizada remeteu à necessidade de um processo licitatório para aquisição de bens e serviços que permita a utilização dos modelos inovadores pelas instituições públicas, mesmo no caso de fornecedor único a AGU considerou que ao não utilizar o processo convencional da licitação para as compras públicas, poderia gerar uma insegurança jurídica (Brasil, 1993)

Ainda sobre resseguros, pode-se mencionar a criação de um modelo de resseguro a ser ofertado para colaboradores aposentados. Nos Estados Unidos da América foi necessária uma alteração na legislação para favorecer os aposentados com essa modalidade de resseguro. No Brasil está em tramitação um projeto de lei a partir do qual as empresas poderão oferecer/pagar um seguro de saúde ou resseguro para os colaboradores para que, quando esses profissionais se aposentarem, possam ter direito a um seguro de saúde confiável (Marsh, 2021)⁴⁹.

O efeito provocado pela judicialização no sistema de saúde é percebido por todos, quase sempre como negativo, embora exista um entendimento de que se trata de um direito do paciente (Sant'ana *et al.*, 2011; Wannmacher, 2010). O impacto nos custos do sistema, conforme se observou no gráfico referente às respostas da questão n.º 2, que consta nos resultados, confirma a opinião dos entrevistados. Os protocolos clínicos de diretrizes terapêuticas são desenvolvidos com base em estudos e são utilizados como um guia para o correto uso dos tratamentos. Nos processos judiciais, estas diretrizes são ignoradas, gerando maior risco para o paciente e sobrecarga ainda maior para o sistema, pois o tratamento não será o mais adequado para o paciente (Conitec, 2021)⁵⁰.

Conquanto o presente trabalho tenha-se aprofundado em dois modelos inovadores de financiamento, existem mais opções sendo discutidas e utilizadas em outros países, o que reforça a necessidade de incentivar as discussões no Brasil, bem como realizar mais projetos pilotos. A rigor, como o mercado privado tem legislação e é mais flexível, o desenvolvimento desses projetos poderia ocorrer nesse âmbito, dessa forma, permitindo desenvolver melhores opções para o mercado brasileiro que, depois, seriam transferidas para o setor público (autor, 2016).

⁴⁹ <https://www.marsh.com/br/insights/research/plano-vgbl-para-despesas-com-saude.html> - acessado em abril/2021.

⁵⁰ <http://conitec.gov.br/pcdt-em-elaboracao> - acessado em abril/2021.

7 CONCLUSÃO

O objetivo deste estudo era entender como os modelos inovadores de financiamento a terapias de alto custo são conduzidos nos países que os implementaram na área de saúde, as reais necessidades de acompanhamento (desfecho dos tratamentos), se auxiliam no acesso dos medicamentos de alto custo e quais as possibilidades de serem utilizados no Brasil.

Utilizamos como exemplos dois países com sistemas universais de saúde (Inglaterra e Itália) além dos Estados Unidos da América, cujo sistema privado de saúde remete ao modelo de saúde suplementar brasileiro. Ao estudarmos os países com saúde universal, foi possível perceber como eles viabilizam os contratos de compartilhamento de risco e o quanto estes facilitam o acesso dos pacientes às terapias de alto custo. O resseguro, mais utilizado nos Estados Unidos da América, também é considerada uma ferramenta facilitadora do acesso, principalmente nos países onde há contratação de medicinas de grupo ou seguradoras de saúde. O resseguro se mostrou útil nos contratos de empresas que oferecem o seguro saúde para seus colaboradores.

Ao analisarmos os requisitos para implementarmos projetos de modelos inovadores, principalmente compartilhamento de risco e resseguro, no sistema brasileiro, entende-se que há necessidade de algumas condições específicas para sua correta utilização. Por exemplo, banco de dados, definição de desfechos, envolvimento da sociedade, transparência nos processos foram mencionados pelos nossos entrevistados, stakeholders envolvidos neste processo.

Além disso, nos achados das entrevistas, foram mencionadas diversas particularidades do sistema de saúde brasileiro que funcionam como barreiras a serem superadas, como os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas para o correto aproveitamento dos potenciais benefícios trazidos pelos modelos inovadores. Entre elas, dificuldades orçamentárias, financiamento escasso, bases de dados não confiáveis foram considerados relevantes e características do SUS.

Podemos concluir que os modelos são ferramentas de acesso a medicamentos de alto custo por parte dos pacientes, auxiliando nos processos de incorporação deste tipo de medicamento, mesmo no Brasil, com as mencionadas barreiras de orçamento, financiamento, custos, informações e até envolvimento dos pacientes.

Respeitadas as especificidades do sistema brasileiro, o investimento em projetos pilotos é uma alternativa benéfica, uma vez que seria possível analisar a condução e corrigir as rotas previamente à sua implantação. Podemos nos apoiar no Planejamento Estratégico Situacional (PES), de Carlos Matus, onde os projetos são avaliados com frequência, em função das diferentes situações em que são aplicados e os ajustes necessários podem e devem ser refeitos. O PES pressupõe ajustes durante a condução dos projetos facilitando, assim, maior aderência e melhores resultados. As etapas (ou momentos) de implementação dos projetos que utilizam a metodologia de Carlos Matus⁵¹ tendem a oferecer maior flexibilidade. Na medida que os resultados são coletados e analisados, é possível e/ou necessário reescrever os próximos passos.

Disponibilidade de recursos para projetos pilotos também são imprescindíveis para melhor entendimento do uso dos modelos, da real necessidade de sua utilização e de sua aplicabilidade ao sistema de saúde brasileiro.

⁵¹ http://www.rc.unesp.br/igce/newpos/new_geo/downloads/2002/planejamento.pdf

8 LIMITAÇÕES

O número de entrevistados foi um fator limitante, uma amostra pequena de representantes de cada grupo de atuação.

Apenas uma associação de paciente foi entrevistada, portanto não temos uma base para entendermos com precisão a visão deste grupo.

O estudo se limitou a dois tipos de modelos inovadores de financiamento.

REFERÊNCIAS

- Accamargo. (2021). <https://www.accamargo.org.br/sobre-o-cancer/noticias/video-entenda-terapia-car-t-cells-que-reprograma-celulas-do-paciente-contratando-a-doenca-do-paciente-contra-a-doenca>
- Adamski, J., Godman, B., Ofierska-Sujkowska, G., Osińska, B., Herholz, H., Wendykowska, K., Laius, O., Jan, S., Sermet, C., Zara, C., Kalaba, M., Gustafsson, R., Garuolienė, K., Haycox, A., Garattini, S., & Gustafsson, L. L. (2010). Risk sharing arrangements for pharmaceuticals: Potential considerations and recommendations for European payers. *BMC Health Services Research*, 10, 153. <https://doi.org/10.1186/1472-6963-10-153>
- Agenzia Farmaco. (2014). http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/Lista_aggiornata_nuovi_Registri_07.11.2014.pdf
- AGU. (2018). <https://sapiens.agu.gov.br/login>—(NUP) 25000013521201895 e da chave de acesso—4b1e42f3.
- Aifa. (2021). <https://www.aifa.gov.it/web/guest/innovazione-e-programmazione>
- Aith, F. M. A. (2007). Políticas Públicas de Estado e de governo: Instrumentos de consolidação do Estado Democrático de Direito e de promoção e proteção dos direitos humanos. In: M. P. D. Bucci (Org.), *Políticas Públicas: Reflexões sobre o conceito jurídico* (pp. 217-246). Saraiva.

- AMA. (2016). *Gene Therapy*. [Http://www.ama-assn.org/ama/pub/physicianresources/medical-science/genetics-molecular-medicine/current-topics/gene-therapy](http://www.ama-assn.org/ama/pub/physicianresources/medical-science/genetics-molecular-medicine/current-topics/gene-therapy)
- ANS. (2020). <http://www.ans.gov.br/aans/noticias-ans/sobre-a-ans/5922-ans-apresenta-oportunidade-de-contratacao-de-resseguros-por-operadoras-de-planos-de-saude>
- Antonanzas, F., Juárez-Castelló, C., Lorente, R., & Rodríguez-Ibeas, R. (2019). The Use of Risk-Sharing Contracts in Healthcare: Theoretical and Empirical Assessments. *Pharmaco Economics*, 37(12), 1469-1483. <https://doi.org/10.1007/s40273-019-00838-w>
- Aricò, M., Valsecchi, M. G., Camitta, B., Schrappe, M., Chessells, J., Baruchel, A., Gaynon, P., Silverman, L., Janka-Schaub, G., Kamps, W., Pui, C. H., & Masera, G. (2000). Outcome of treatment in children with Philadelphia chromosome-positive acute lymphoblastic leukemia. *The New England Journal of Medicine*, 342(14), 998-1006. <https://doi.org/10.1056/NEJM200004063421402>
- (2006). *Resolução CMED n.º 4, de 18 de dezembro de 2006*.
- Banta, D., & Almeida, R. T. (2009). The development of health technology assessment in Brazil. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 25 Suppl 1, 255–259. <https://doi.org/10.1017/S0266462309090722>
- Beckers Hospital Review. (2021). <https://www.beckershospitalreview.com/pharmacy/novartis-may-partner-with-reinsurers-to-cut-cost-of-gene-therapies-for-health-systems.html>

Benoit, C., & Gorry, P. (2017). Health Technology Assessment: The Scientific Career Of A Policy Concept. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 33(1), 128-134. <https://doi.org/10.1017/S0266462317000186>

Brasil. (1988). *Constituição da República Federativa do Brasil*. Senado Federal.

Brasil. (1993). *Lei 8666, de 21 de Junho de 1993 — Regulamenta o art. 37, inciso XXI, da Constituição Federal*. Senado.

Brasil. (2001). Ministério da Saúde. *Política nacional de medicamentos*.

https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/1998/prt3916_30_10_1998.html

Brasil. (2003, jun. 27). Medida Provisória n.º 123, de 26 de junho de 2003. *D.O.U.*

Brasil. (2004, maio 20) Conselho Nacional de Saúde. Resolução no 338, de 6 de maio de 2004. Aprova a política Nacional de assistência farmacêutica. *Diário Oficial da União*.

Brasil. (2006). *Aquisição de Medicamentos para Assistência Farmacêutica no SUS. Série A. Normas e Manuais*. MS.

Brasil. (2012). *Nota Técnica 29/2012/ATS/DECIT/SCTIE*. Ministério da Saúde, Secretária de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos.

Brasil. (2021a). <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/acessoainformacao/perguntasfrequentes/medicamentos/cmed/precocap#:~:text=O%20CAP%20%C3%A9%20calculado%20a,%2C%20Portugal%2C%20ponderada%20pelo%20PIB>

Brasil. (2021b). <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed>

Brasil (2021c). <https://www.gov.br/pt-br/noticias/educacao-e-pesquisa/2020/07/brasil-recebe-aprovacao-da-ocde-de-novos-instrumentos-legais-na-area-de-ciencia-e-tecnologia>

Camara. Leg. (2015).

<https://www.camara.leg.br/proposicoesWeb/fichadetramitacao?idProposicao=944251>

Carlson, J. J., Gries, K. S., Yeung, K., Sullivan, S. D., & Garrison, L. P. (2014).

Current status and trends in performance-based risk-sharing arrangements between healthcare payers and medical product manufacturers. *Applied Health Economics and Health Policy*, 12(3), 231–238.

<https://doi.org/10.1007/s40258-014-0093-x>

Carlson, J. J., Sullivan, S. D., Garrison, L. P., Neumann, P. J., & Veenstra, D. L.

(2010). Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. *Health Policy (Amsterdam, Netherlands)*, 96(3), 179–190.

<https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2010.02.005>

Conitec. (2019). <http://conitec.gov.br/acordos-de-compartilhamento-de-risco-sao-possiveis-no-sistema-unico-de-saude-brasileiro>

Conitec. (2021). <http://conitec.gov.br/pcdt-em-elaboracao>

Dallari, S. G., Aith, F. M. A., Cunha, A. C. N. M., *et al.* (2014). Regulação de

medicamentos no Brasil: Desafios no contexto do mundo globalizado. In:

Fernando Aith, & Sueli Dallari (Orgs), *Regulação de medicamentos no mundo globalizado Drugs regulation in a globalized world* (vol. 1., pp. 459-556).

CEPEDISA.

- Drake, C., Fried, B., & Blewett, L. A. (2019). Estimated Costs of a Reinsurance Program to Stabilize the Individual Health Insurance Market: National- and State-Level Estimates. *Inquiry: A Journal of Medical Care Organization, Provision and Financing*, 56, 46958019836060. <https://doi.org/10.1177/0046958019836060>
- Drummond, M. (2013). Twenty years of using economic evaluations for drug reimbursement decisions: What has been achieved? *Journal of Health Politics, Policy and Law*, 38(6), 1081–1102. <https://doi.org/10.1215/03616878-2373148>
- Drummond, M., & Banta, D. (2009). Health technology assessment in the United Kingdom. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 25 Suppl 1, 178–181. <https://doi.org/10.1017/S0266462309090618>
- Eisenhardt, K. M., & Graebner, M. E. (2007). Theory Building From Cases: Opportunities And Challenges. *Academy of Management Journal*, 50(1), 25–32. <https://doi.org/10.5465/amj.2007.24160888>
- Farias, L. C. (2010). *Mínimo existencial: Um parâmetro para o controle judicial para as políticas em saúde* [Dissertação Mestrado]. Universidade Católica do Salvador.
- FDA. (2021). <https://www.fda.gov/about-fda/history-fdas-fight-consumer-protection-and-public-health>
- Fournier, M. F. (2012). Knowledge mobilization in the context of health technology assessment: An exploratory case study. *Health Research Policy and Systems*, 10, 10. <https://doi.org/10.1186/1478-4505-10-10>

Gallo, P. F., & Deambrosis, P. (2008). *Pharmaceutical Risk-sharing and Conditional Reimbursement in Italy. Unit for Monitoring Medicine Utilisation and Expenditure Italian Medicine Agency – AIFA, Italy*. Krakow.

[p://www.ceestahc.org/pliki/symp2008/gallo.pdf](http://www.ceestahc.org/pliki/symp2008/gallo.pdf)

Garattini, L., & Casadei, G. (2011). Risk sharing agreements: What lessons from Italy? *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 27(2), 169–172. <https://doi.org/10.1017/S0266462311000079>

Garrison, L. P., Towse, A., Briggs, A., de Pouvourville, G., Grueger, J., Mohr, P. E., Severens, J. L. H., Siviero, P., & Sleeper, M. (2013). Performance-based risk-sharing arrangements-good practices for design, implementation, and evaluation: Report of the ISPOR good practices for performance-based risk-sharing arrangements task force. *Value in Health: The Journal of the International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research*, 16(5), 703–719. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2013.04.011>

Gauvin, F.-P., Abelson, J., Giacomini, M., Eyles, J., & Lavis, J. N. (2010). “It all depends”: Conceptualizing public involvement in the context of health technology assessment agencies. *Social Science & Medicine* (1982), 70(10), 1518-1526. <https://doi.org/10.1016/j.socscimed.2010.01.036>

Gottlieb, S., & Carino, T. (2014). Establishing new payment provisions for the high cost of curing disease. *AEI Research*.

Hall, M. A. (2010). The three types of reinsurance created by federal health reform. *Health Affairs (Project Hope)*, 29(6), 1168-1172. <https://doi.org/10.1377/hlthaff.2010.0430>

- Hauengen, R. (2014). *Risk Sharing Agreements: Acordos de Partilha de Risco e o Sistema Público de Saúde no Brasil – Oportunidades e Desafios* [Tese Doutorado]. UFRJ/IE.
- HHS. (2021). <https://www.hhs.gov/about/budget/index.html>
- Icer. (2016). Understanding the Science, Assessing the Evidence, and Paying for Value. *International Network of Agencies for Health Technology Assessment. HTA resources.*
- Inspere. (2019). *Judicialização da Saúde: Perfil das Demandas, Causas e Propostas De Solução*. Inspere.
- Instituto de Estudos de Saúde Suplementar - IESS. (2020). *Experiências Internacionais em Avaliação de Tecnologias em Saúde: Implicações para o Brasil*. https://www.iess.org.br/cms/rep/panorama_dos_idosos.pdf
- Jost, T. (2016). CMS Finalizes New Marketplace Payment Rule. *Health Affairs* [Blog]. <https://www.healthaffairs.org/doi/10.1377/hblog20161218.058014/full/>
- Jota. (2018). <https://www.jota.info/wp-content/uploads/2019/01/3a943589db4092d821cc1810e19daa2f.pdf>
- Klemp, M., Frønsdal, K. B., Facey, K., & Htai Policy Forum. (2011). What principles should govern the use of managed entry agreements? *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 27(1), 77–83. <https://doi.org/10.1017/S0266462310001297>
- Kuncle, G. C. (1995). Technology In Society. Vol. 17. No. 2, pp. 175-196. 1995
- Lim, W. A., & June, C. H. (2017). The Principles of Engineering Immune Cells to Treat Cancer. *Cell*, 168(4), 724-740. <https://doi.org/10.1016/j.cell.2017.01.016>

Longtermplan. (2021). <https://www.longtermplan.nhs.uk>

Lucena, S. B. (2021). *Judicialização da Saúde - Ferramenta de gestão de demandas judiciais com vistas à redução dos custos assistenciais: Um exemplo aplicado numa operadora de saúde de autogestão*. Trabalho Aplicado – MPGC

Machado, L. R.; Resende, A. L. R.; Saturnino, L. T. M. (2010). Medicamentos especializados na judicialização da saúde: Uma análise das demandas judiciais no estado de Minas Gerais. In: F. Aith . (Org.), *Direito Sanitário: Saúde e direito, um diálogo possível* (pp. 323-338). ESP-MG.

Malek, N. P., & Bitzer, M. (2014). [New drugs in oncology]. *Der Internist*, 55(4), 359–366. <https://doi.org/10.1007/s00108-013-3414-5>

Marc, A. L. J. F. (2014). *Comentários à Lei de Licitações e Contratos Administrativos*. Revista dos Tribunais. www.livrariacultura.com.br/p/comentarios-a-lei—De—Licitações-e-contratos-administrativos.

Marsh. (2021). <https://www.marsh.com/br/insights/research/plano-vgbl-para-despesas-com-saude.html>

Medicare. (2021). <https://www.medicare.gov/about-us/how-is-medicare-funded>

Neumann, P. J., Chambers, J. D., Simon, F., & Meckley, L. M. (2011). Risk-sharing arrangements that link payment for drugs to health outcomes are proving hard to implement. *Health Affairs (Project Hope)*, 30(12), 2329–2337. <https://doi.org/10.1377/hlthaff.2010.1147>

Nice. (2021). <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/patient-access-schemes-liaison-unit>

- Novaes, H. M. D. (2006). From production to evaluation of health systems technologies: Challenges for the 21st century. *Revista de Saúde Pública*, 40 Spec no., 133-140. <https://doi.org/10.1590/s0034-89102006000400018>
- Oliveira, M. A., Bermudez, J. A. Z., & Osorio-De-Castro, C. G. S. (2007). *Assistência Farmacêutica e acesso a medicamentos*. Fiocruz.
- Organização Pan-Americana da Saúde. (2009). *O acesso aos medicamentos de alto custo nas Américas: Contexto, desafios e perspectivas*. Organização Pan-Americana da Saúde; Ministério da Saúde; Ministério das Relações Exteriores.
- Oudot, C., Auclerc, M.-F., Levy, V., Porcher, R., Piguët, C., Perel, Y., Gandemer, V., Debre, M., Vermeylen, C., Pautard, B., Berger, C., Schmitt, C., Leblanc, T., Cayuela, J.-M., Socie, G., Michel, G., Leverger, G., & Baruchel, A. (2008). Prognostic factors for leukemic induction failure in children with acute lymphoblastic leukemia and outcome after salvage therapy: The FRALLE 93 study. *Journal of Clinical Oncology: Official Journal of the American Society of Clinical Oncology*, 26(9), 1496-1503. <https://doi.org/10.1200/JCO.2007.12.2820>
- Paris, V., & Belloni, A. (2013). *Value in Pharmaceutical Pricing. OECD health working papers*. Economic Co-operation and Development.
- Pepe, V. L. E. et al. (2010). A judicialização da saúde e os novos desafios da gestão da assistência farmacêutica. *Cien. Saúde Coletiva*, 15(5), 2405-2414.
- Plataforma Mais Brasil. (2021). <http://plataformamaisbrasil.gov.br/legislacao/leis/lei-n-10-520-de-17-de-julho-de-2002>

Salute. (2021).

<http://www.salute.gov.it/portale/lea/dettaglioContenutiLea.jsp?lingua=italiano&id=5073&area=Lea&menu=vuoto>

Sant'ana, J. M. B., Pepe, V. L. E., Figueiredo, T. A., Osorio-de-Castro, C. G. S., & Ventura, M. (2011). Rational therapeutics: Health-related elements in lawsuits demanding medicines. *Revista De Saude Publica*, 45(4), 714-721.

<https://doi.org/10.1590/s0034-89102011005000042>

SMS. (2021).

http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/entendendo_incorporacao_tecnologias_sus_envolver.pdf

sociedade/atualizacao-do-rol-de-procedimentos/fluxo-das-etapas-de-atualizacao-do-rol

Stafinski, T., McCabe, C. J., & Menon, D. (2010). Funding the unfundable:

Mechanisms for managing uncertainty in decisions on the introduction of new and innovative technologies into healthcare systems. *PharmacoEconomics*, 28(2), 113-142. <https://doi.org/10.2165/11530820-000000000-00000>

Susep. (2008) Susep/Coordenadoria de Assuntos Administrativos nº 50.104/2008)

Susep. (2020). <http://www.susep.gov.br/setores-susep/noticias/noticias/susep-autoriza-a-contratacao-de-resseguro-por-entidades-de-previdencia-complementar-e-por-operadoras-de-planos-privados-de-assistencia-a-saude>

Susep. (2021). <http://www.susep.gov.br/menuatendimento/VgblPgbl/vgblindividual>

Swartz, K. (2006). *Reinsuring health: The dilemma of the uninsured middle class*.

Russell Sage Foundation.

- Tapestry Networks. (2016). *Building a sustainable health system for curative therapies*.
http://www.tapestrynetworks.com/initiatives/healthcare/upload/Curative-Therapies_ViewPoints-Building-a-sustainable-health-system-for-curative-therapies-May-2016
- Tetroe, J. L. J. (2005). *Conceptualizing and combining evidence for health system guidance*. Canadian Health Services Research Foundation.
- Torbica, A., Tarricone, R., & Drummond, M. (2018). Does the approach to economic evaluation in health care depend on culture, values, and institutional context? *The European Journal of Health Economics: HEPAC: Health Economics in Prevention and Care*, 19(6), 769-774. <https://doi.org/10.1007/s10198-017-0943-1>
- Towse, A., & Garrison, L. P. (2010). Can't get no satisfaction? Will pay for performance help?: toward an economic framework for understanding performance-based risk-sharing agreements for innovative medical products. *PharmacoEconomics*, 28(2), 93–102. <https://doi.org/10.2165/11314080-000000000-00000>
- Unimed. (2021). <https://www.unimed.coop.br/web/unimedrs/recomendacoes-de-medicina-baseada-em-evidencias/recomendacoes-de-medicina-baseada-em-evidencias>
- United States Congress. (2013). *Public Law 111–148*. 111th. United States Government Printing Office.

- Velasco Garrido, M., Kristensen, F., Nielsen, C., & Busse, R. (2008). *Health technology assessment and health policy-making in Europe. Current status, challenges and potential*. WHO Regional Office for Europe.
- Vieira, F. S., & Zucchi, P. (2010). Distorções causadas pelas ações judiciais à política de medicamentos no Brasil. *Rev. Saúde Pública*, 41(2), 214-222.
- Walker, S., Sculpher, M., Claxton, K., & Palmer, S. (2012). Coverage with evidence development, only in research, risk sharing, or patient access scheme? A framework for coverage decisions. *Value in Health: The Journal of the International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research*, 15(3), 570-579. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2011.12.013>
- Wang, D., Vasconcelos, N. P., Poirier, M. J., Chieffi, A., Mônico, C., Sritharan, L., Van Katwyk, S. R., & Hoffman, S. J. (2020). Health technology assessment and judicial deference to priority-setting decisions in healthcare: Quasi-experimental analysis of right-to-health litigation in Brazil. *Social Science & Medicine*, 265, 113401. <https://doi.org/10.1016/j.socscimed.2020.113401>
- Wannmacher, L. (2010). Importância dos Medicamentos Essenciais em Prescrição e Gestão Racionais. In: Brasil, *Uso Racional de Medicamentos: Temas selecionados* (pp. 15-20). Ministério da Saúde.
- Yu, J. S., Chin, L., Oh, J., & Farias, J. (2017). Performance-Based Risk-Sharing Arrangements for Pharmaceutical Products in the United States: A Systematic Review. *Journal of Managed Care & Specialty Pharmacy*, 23(10), 1028-1040. <https://doi.org/10.18553/jmcp.2017.23.10.1028>

APÊNDICE A - QUESTIONÁRIO DE ENTREVISTAS

Basicamente, serão feitas 5 perguntas para os gestores:

- 1) Na sua visão, quais as principais dificuldades para a incorporação das terapias de alto custo nos sistemas de saúde brasileiros?
- 2) Que tipo de impacto a incorporação de novas tecnologias de alto custo causam no financiamento da saúde?
- 3) Na sua opinião, os modelos inovadores de financiamentos (compartilhamento de riscos, resseguro, amortização, etc.) podem auxiliar no processo de incorporação de novas tecnologias?
- 4) No sistema de saúde brasileiro, há possibilidades de utilizarmos os modelos inovadores em saúde? Se sim, quais são os mais próximos de nossa realidade?
- 5) A não incorporação das terapias de alto custo resultam em processos judiciais? Em caso afirmativo, qual o impacto destas ações judiciais nos sistemas de saúde?