

JAV (Jornada Assistencial de Valor) RARAS: uma análise de custo-utilidade com dados de vida real no Sistema Único de Saúde (SUS)

Autores: Marcelo Eidi Nita, Luana Lopes, Camila Azevedo, Myrienne Barbosa, Thiago Godoy, Nunes Altacilio, Temis Felix, RARAS Network

Instituições: MAPESolutions – São Paulo – SP – Brasil, USP RP – Ribeirão Preto – SP – Brasil, HC UFRS – São Paulo – SP – Brasil, RARAS – São Paulo – SP – Brasil

Introdução: O RARAS (Rede Nacional de Doenças RARAS) é um estudo financiado pelo Ministério da Saúde desenvolvido desde 2020 no SUS. O JAV-RARAS, um dos pilares do RARAS, visa compreender e medir a jornada de cuidado baseada em valor dos pacientes no Brasil, medindo parâmetros de valor e custos, e avaliando a relação de custo-efetividade para otimizar a alocação de recursos em diferentes regiões do país. **Objetivo:** O principal objetivo do estudo foi avaliar tanto a qualidade de vida quanto os resultados econômicos associados a doenças raras no âmbito do estudo Jornada Assistencial de Valor para Pacientes com Doenças Raras (JAV-RARAS). **Material e Método:** Os dados foram analisados de pacientes diagnosticados com as seguintes doenças: Osteogênese Imperfeita (OI), Síndrome de Prader-Willi (PWS), Acromegalia (ACRO), Angioedema Hereditário (AHC), Mucopolissacaridose tipo II (MPS2), Homocistinúria Clássica (HC), Fenilcetonúria (PKU) e Polineuropatia Amiloidótica Familiar (PAF). A qualidade de vida foi avaliada usando o questionário EuroQOL 5D (EQ-5D), que avalia a saúde em cinco dimensões: mobilidade, cuidados pessoais, atividades diárias, dor/desconforto e ansiedade/depressão. Os custos foram determinados usando o Custeio Baseado em Atividades Direcionado pelo Tempo (TDABC), um método que, com base nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), mapeia processos de cuidado e custos reais. **Resultados:** Os resultados iniciais sugerem que, utilizando como base o PCDT, os pacientes com diagnóstico de Síndrome de Prader-Willi (SPW) apresentam a maior escore de Anos de Vida Ajustados pela Qualidade (QALY) com 0,851. Já o PAF apresentou o menor escore com 0,562. Com relação aos custos, enquanto a Angioedema (AHC1) tem o maior custo médio de tratamento (R\$ 149.919,20), SPW apresenta menor custo médio de tratamento de R\$787,93. Dentre as doenças avaliadas, SPW destaca-se como doença com maior QALY e menor custo médio de tratamento, apresentando-se mais eficiente em relação aos outros protocolos de tratamentos avaliados com ICER de R\$ 930,77, sendo considerada um ponto de referência para custo-efetividade de protocolos para doenças raras. **Conclusões:** A avaliação dos protocolos de tratamento realizada pelo JAV-RARAS permite classificar a eficiência técnica alocativa dos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDTs) como uma intervenção de política de saúde, através de uma análise de custo-utilidade baseada na relação entre custo e resultados de Anos de Vida Ajustados pela Qualidade (QALY) em um estudo de vida real no SUS. Esta análise pode ser complementar às análises de limiares de custo-utilidade de 3x o PIB per capita.

Palavras-chaves: Gestão saúde; TDABC; VBHC; Limiar custo-efetividade.

Referências Bibliográficas

1. Félix TM, de Oliveira BM, Artifon M, Carvalho I, Bernardi FA, Schwartz IVD, Saute JA, Ferraz VEF, Acosta AX, Sorte NB, Alves D; RARAS Network group. Epidemiology of rare diseases in Brazil: protocol of the Brazilian Rare Diseases Network (RARAS-BRDN). *Orphanet J Rare Dis.* 2022;17(1):84. doi: 10.1186/s13023-022-02254-4.
2. Porter ME. What is value in health care. *N Engl J Med.* 2010;363(26):2477-2481. doi: 10.1056/nejmp1011024
3. Nicod E, Whittal A, Drummond M, Facey K. Are supplemental appraisal/reimbursement processes needed for rare disease treatments? An international comparison of country approaches. *Orphanet J Rare Dis.* 2020;15(1):189. doi:10.1186/s13023-020-01462-0.
4. Ministério da Saúde. Uso de limiares de custo-efetividade nas decisões em saúde: recomendações da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Brasília, DF. 2022; 108p.