



Unidos pela Vida

Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística

CADERNO ESPECIAL

PROCESSO DE INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS NO BRASIL, PARTICIPAÇÃO SOCIAL E ATUAÇÃO DE ASSOCIAÇÕES DE PACIENTES:

Uma breve análise sobre a experiência da Fibrose Cística, Atrofia Muscular Espinhal e Esclerose Múltipla em incorporações de tecnologias no ano de 2020 na Conitec



Brasil, Setembro de 2022

ORGANIZAÇÃO

Unidos pela Vida - Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística

COORDENAÇÃO DE PESQUISA, EXECUÇÃO E CONTEÚDO

Verônica Stasiak
Bednarczuk de Oliveira

COLABORADORES

Adriane Loper
Gabriel da Luz Johnson
Dr. Vinícius Bednarczuk de Oliveira

**Dados Internacionais de Catalogação na Publicação (CIP)
(Câmara Brasileira do Livro, SP, Brasil)**

Caderno especial [livro eletrônico]: processo de incorporação de tecnologias no Brasil, participação social e atuação de associações de pacientes / organização Unidos pela Vida - Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística ; coordenação Verônica Stasiak Bednarczuk de Oliveira. -- Curitiba, PR : Unidos pela Vida - Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística, 2022.

PDF

Vários colaboradores.

Bibliografia.

ISBN 978-65-999475-0-6

1. Assistência à saúde 2. Atrofia Muscular Espinhal 3. Doenças raras 4. Doenças - Tratamento 5. Esclerose múltipla 6. Fibrose cística 7. Pacientes 8. Participação social 9. Saúde - Aspectos sociais 10. Tecnologias de saúde I. Unidos pela Vida - Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística. II. Oliveira, Verônica Stasiak Bednarczuk de.

22-139757

CDD-616.37

Índices para catálogo sistemático:

1. Associações de Pacientes : Participação social :
Saúde 362.1

Henrique Ribeiro Soares - Bibliotecário - CRB-8/9314

COORDENAÇÃO DE PESQUISA, EXECUÇÃO E CONTEÚDO

Ps. Verônica Stasiak Bednarczuk de Oliveira

Mestranda do Programa de Ciências Farmacêuticas com ênfase em avaliação de tecnologias de saúde pela UFPR, é psicóloga, com MBA em políticas públicas e direitos sociais; gestora de projetos sociais pela APMG Internacional. É membro do Grupo Brasileiro de Estudos em Fibrose Cística e fundou o Unidos pela Vida quando recebeu seu diagnóstico para fibrose cística aos 23 anos.

COLABORADORES

Adriane Loper

Engenheira da computação e mestre em educação; Professora universitária e palestrante; Colaboradora na causa da AME/Doenças Raras desde 1997; Fundadora da ABRAME - primeira associação de atrofia muscular espinhal em 2001; Participante da criação da lei de Biossegurança (Células-tronco) em 2005; Certificada no curso Introdutório de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) para Gestores do Sistema Único de Saúde (SUS) em 2020; Presidente do Instituto Fernando Vasconcellos de AME e doenças raras (2022)

Gabriel da Luz Johnson

Coordenador de Projetos e Relações Institucionais do Instituto Unidos pela Vida, trabalha no terceiro setor desde 2016. Formado em Jornalismo e também em Marketing, tem pós-graduação em Marketing Digital e em Gestão de Projetos e é Scrum Master certificado. Trabalha como advocate de pacientes com fibrose cística e doenças raras no Brasil.

Dr. Vinícius Bednarczuk de Oliveira

Doutor em Ciências Farmacêuticas pela UFPR; Farmacêutico; Coordenador do Curso de Farmácia.

SOBRE O UNIDOS PELA VIDA - INSTITUTO BRASILEIRO DE ATENÇÃO À FIBROSE CÍSTICA

Fundado em 2011, com sede em Curitiba, o Unidos pela Vida – Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística tem como missão defender que pessoas com fibrose cística no Brasil tenham conhecimento sobre sua saúde e direitos, equidade no acesso ao diagnóstico precoce e aos melhores tratamentos, contribuindo para melhora na qualidade de vida. Para tanto, desenvolve nacionalmente projetos ligados às ações de acolhimento, conhecimento, empoderamento e articulação, com foco em advocacy em todas suas esferas.

Em 2021, pelo quarto ano consecutivo, o Instituto esteve na lista das 10 Melhores ONGs de Pequeno Porte do Brasil, dentre as 100 Melhores ONGs do país. Além disso, foi eleito como Melhor Prática do 3º Setor do Paraná pelo Instituto GRPCOM em 2019.

CONHEÇA MAIS SOBRE O TRABALHO DO INSTITUTO E SOBRE A FIBROSE CÍSTICA ACESSANDO OS LINKS ABAIXO:



WWW.UNIDOSPELAVIDA.ORG.BR



[@UNIDOSPELAVIDA](https://www.facebook.com/UNIDOSPELAVIDA)



[@INSTITUTOUNIDOSPELAVIDA](https://www.instagram.com/INSTITUTOUNIDOSPELAVIDA)



[@UNIDOSPELAVIDA](https://twitter.com/UNIDOSPELAVIDA)

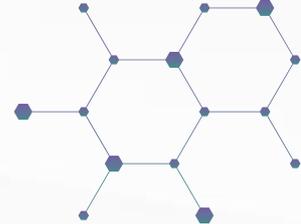


[@INSTITUTOUNIDOSPELAVIDA FIBROSECISTICA](https://www.youtube.com/channel/UC...)



INSTITUTO UNIDOS PELA VIDA

SUMÁRIO



Introdução

02

PARTE I: Sobre Tecnologias de Saúde, Avaliação de Tecnologias de Saúde e Participação Social

03

O que são tecnologias em saúde?

03

O que é avaliação de tecnologia em saúde (ATS)?

04

Como se dá o acesso à tecnologia no mercado público?

06

Fluxo de incorporação de tecnologias no Brasil e as consultas públicas

08

Contexto brasileiro – Conitec

10

Participação social

11

Como uma associação pode participar do processo de ATS?

13

Como uma associação deve se preparar para uma consulta pública?

14

PARTE II: Sobre Doenças Raras, Fibrose Cística, Atrofia Muscular Espinhal e Esclerose Múltipla

15

O que são doenças raras?

15

O que é fibrose cística?

16

Diagnóstico da fibrose cística

17

Tratamento da fibrose cística

17

Moduladores: tratamentos inovadores para a fibrose cística

18

O que é atrofia muscular espinhal (AME)?

18

Diagnóstico da atrofia muscular espinhal

19

Tratamento da atrofia muscular espinhal

19

Os tratamentos medicamentosos para AME

19

O que é esclerose múltipla?

20

Diagnóstico da esclerose múltipla

20

Tratamento da esclerose múltipla

21

Natalizumabe, ocrelizumabe e tetraidrocannabinol+canabidiol

21

PARTE III: Breve análise das consultas públicas de medicamentos para fibrose cística, AME e esclerose múltipla realizadas em 2020 pela Conitec

21

PARTE IV: Breve relato de experiência – atuação de associações de AME e fibrose cística

26

Relato AME - Instituto Fernando Loper Vasconcellos – Por Adriane Loper

26

Relato fibrose cística - Unidos Pela Vida - Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística – Por Verônica Stasiak Bednarczuk de Oliveira

28

Considerações Finais

29

INTRODUÇÃO

Visando amplificar a discussão sobre avaliação de tecnologias de saúde em doenças raras,

especialmente reconhecendo a importância do papel das associações de assistência na qualificação da participação social em consultas públicas na Conitec (Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS), o Unidos pela Vida – Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística, realizou uma breve pesquisa exploratória com base em análise documental, visando descrever como se deu a atuação de associações de pacientes do país durante o preparo para consultas públicas para fibrose cística, esclerose múltipla e atrofia muscular espinhal, apresentando, como resultados, algumas análises e avaliações dentro da temática, e insights para o trabalho de outras associações que possam vir a atuar nesses contextos. Além disso, trazemos também alguns conceitos teóricos para aprofundar o aprendizado e que serão apresentados neste material antes dos resultados da pesquisa.

Qualificar processos, em qualquer esfera, é uma necessidade latente. Resultados são diretamente impactados por processos que são realizados sem qualidade, especialmente quando falamos em saúde. E para que possamos qualificar processos, aprender novos conceitos e evoluir, precisamos seguir em constante aprendizado e troca de experiências.

Esperamos que este material traga novos conceitos, e que contribua para o desenvolvimento do trabalho excepcional das associações de pacientes. Que a leitura seja proveitosa e produtiva!

Bom trabalho,

Verônica Stasiak Bednarczuk de Oliveira - Diretora Executiva
Unidos pela Vida - Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística

PARTE I - Sobre Tecnologias de Saúde, Avaliação de Tecnologias de Saúde e Participação Social

O que são tecnologias em saúde?

Antes de entendermos como se dá o processo de incorporação de tecnologias de saúde e como a sociedade pode e deve participar deste contexto, é importante compreender o que são as chamadas “tecnologias de saúde”.

São consideradas tecnologias em saúde qualquer medicamento, exame, procedimento e dispositivo médico, vacina, dentre outros. De acordo com a Organização Mundial da Saúde (OMS), essas tecnologias são desenvolvidas para resolver um problema e melhorar a qualidade de vida das pessoas, por meio da promoção da saúde, prevenção, diagnóstico, tratamento de doenças e reabilitação de pacientes¹. É possível identificar tecnologias em saúde desde a prevenção de doenças até o tratamento e recuperação da saúde das pessoas, conforme a figura abaixo:



Figura: Instituto de Avaliação de Tecnologias de Saúde

Constantemente, organizações e governos do mundo todo investem em pesquisa e desenvolvimento para tentar resolver desafios na área da saúde por meio de soluções tecnológicas inovadoras para, por exemplo, descobrir curas de doenças ou tratar da melhor forma possível aquelas que ainda não possuem.

O resultado disso são novos produtos frequentemente disponibilizados no mercado global, como por exemplo os medicamentos.

Só que, para que a sociedade tenha acesso a essas novas tecnologias, o caminho é longo: é preciso que as agências regulatórias dos países de origem aprovelem esses produtos, atestem sua eficácia e segurança, seja precificado, para que, então, estejam habilitados para iniciar o processo de incorporação. A avaliação de tecnologias de saúde acontece tanto no sistema público de saúde quanto na saúde suplementar, porém, neste material será apresentado com maior ênfase como se dá este acesso no sistema público.

Na maioria das vezes, os governos e sistemas de saúde não conseguem acompanhar as inovações tecnológicas em saúde produzidas pela ciência, e no Brasil isso não é diferente: pode levar muitos anos para que o processo inteiro se complete e que novas tecnologias sejam disponibilizadas para quem realmente precisa.

¹ BRASIL. Ministério da Saúde. Diretrizes Metodológicas: avaliação de desempenho de tecnologias em saúde, Desinvestimento e Reinvestimento. Brasília (DF), 2016.

O que é Avaliação de Tecnologia em Saúde (ATS)?

É possível notar, graças aos avanços tecnológicos, uma significativa melhora na saúde da população e consequente redução nas taxas de mortalidade de um número considerável de doenças. Entretanto, considerando a grande oferta destas novas tecnologias, torna-se necessário que, além dos benefícios, também seus riscos e custos sejam avaliados no processo de tomada de decisão para disponibilizá-las pelo sistema de saúde. ²

Para tanto, existe o processo de "Avaliação de Tecnologias em Saúde", comumente conhecido pela sigla ATS, que é uma metodologia científica que avalia as consequências da utilização de tecnologias em saúde.

Recentemente, a ATS teve uma nova definição apresentada, desenvolvida por meio de uma colaboração entre as principais redes, sociedades e organizações globais de ATS, co-liderada pelas instituições International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA) e Health Technology Assessment International (HTAi) ³:

"ATS é um processo multidisciplinar que usa métodos explícitos para determinar o valor de uma tecnologia de saúde em diferentes pontos do seu ciclo de vida. O objetivo é informar a tomada de decisões a fim de promover um sistema de saúde equitativo, eficiente e de alta qualidade"

A ATS é também considerado como um processo multidisciplinar baseado em evidências que avalia criteriosamente questões sociais, econômicas, organizacionais e éticas de uma tecnologia em saúde ⁴. Essa avaliação busca, em suma, levantar dados de várias esferas para subsidiar a tomada de decisão sobre a incorporação ou exclusão de uma tecnologia nos sistemas de saúde.

² Capucho, H. C., F. C. R. Salomon, Á. T. Vidal, P. G. Louly, V. C. C. Santos and C. A. Petramale (2012). "Incorporation of Technologies in Health in Brazil: a New Model for the Brazilian Public Health System (Sistema Único de Saúde - SUS)."

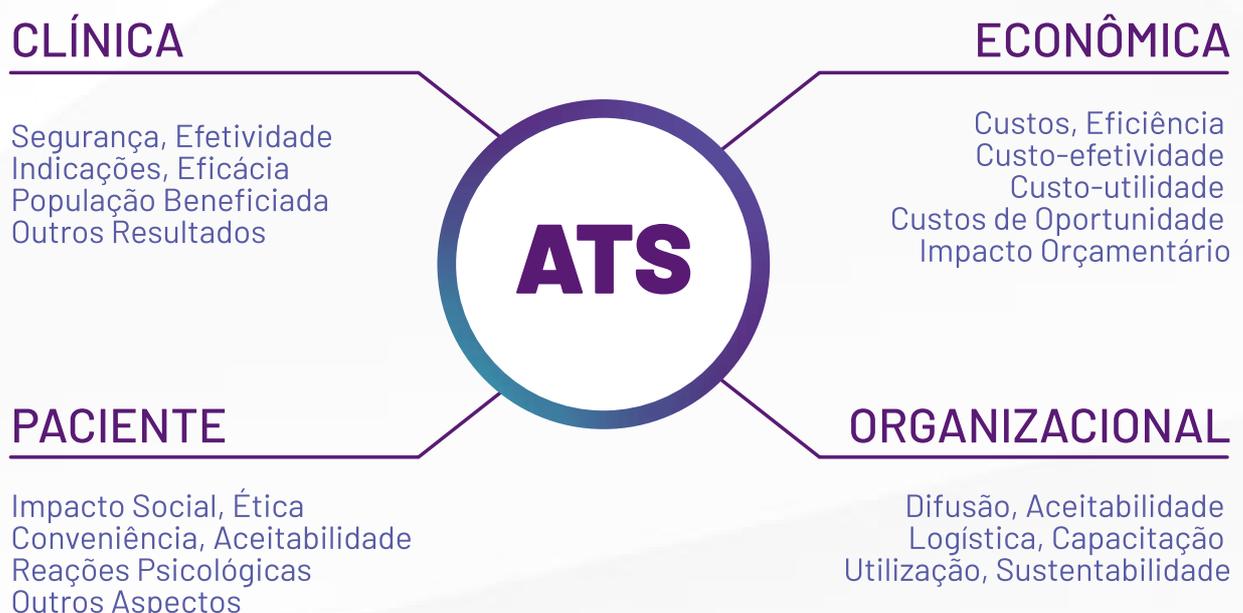
³ Definição, 2020- INAHTA, HTAi, HTAsiaLink, EUnetHTA, RedETSA e ISPOR. Disponível em <https://www.inahta.org/2020/05/announcing-the-new-definition-of-hta/>

⁴ WORLD HEALTH ORGANIZATION. Health product policy and standards. Disponível em: <<https://www.who.int/teams/health-product-policy-and-standards/assistive-and-medical-technology/medical-devices/assessment>>. Acesso em: 22 de junho de 2022.

No Brasil, no que diz respeito ao Sistema Único de Saúde (SUS), quem realiza essa tarefa é a Comissão Nacional de Avaliação de Tecnologias do SUS (Conitec), criada pelo Governo Federal em 2011⁵. O órgão está diretamente ligado ao Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde (DGITIS) do Ministério da Saúde e o assessora, conforme afirmam, “de forma robusta, imparcial, transparente e sistemática”, respondendo a questões como⁶:

- **O tratamento X deve ser oferecido no (ou excluído do) SUS?**
- **A tecnologia apresentada realmente funciona para o seu fim? É eficaz, efetiva?**
- **Que benefício a tecnologia fornece e para quem?**
- **Quanto custa a tecnologia (para os serviços de saúde, para o paciente, etc), incluindo os custos chamados “custos de oportunidade”? Ou seja, o que podemos ganhar se os recursos forem gastos com outros cuidados em saúde comprovadamente eficientes?**
- **A tecnologia funciona naquele contexto de saúde em que se encontra?**
- **Para quais pacientes deve ser fornecida?**
- **Por quanto tempo os pacientes devem receber a tecnologia?**

Essa avaliação leva em consideração diversas evidências e estudos científicos quantitativos e qualitativos, tendo em mente vários aspectos diferentes que circundam a tecnologia como⁷:



Fonte: CONITEC

⁵ A COMISSÃO. Conitec. 2015. Disponível em: <http://conitec.gov.br/entenda-a-conitec-2>. Acesso em: 22 de junho de 2022.

^{6, 7} BRASIL. Ministério da Saúde. Entendendo a incorporação de tecnologias em saúde no SUS: Como se envolver. Brasília (DF), 2016.

Como se dá o acesso à tecnologia no mercado público?



Agora que você já compreendeu o que é uma tecnologia em saúde e o que é o processo de avaliação de tecnologias em saúde, vamos conversar sobre o caminho que uma tecnologia percorre até chegar às mãos de quem precisa.

O primeiro passo para que uma tecnologia seja incorporada ao SUS, como por exemplo um novo medicamento, é o registro da tecnologia na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), que vai avaliar a eficácia e segurança do produto e aprová-lo para ser comercializado no Brasil. Naturalmente, se este medicamento for fabricado em outro país, ele precisa já ter sido registrado e aprovado em seu país de origem (como por exemplo pelo FDA, Food and Drug Administration, para medicamentos fabricados nos EUA).

Na Anvisa, em 2016, entrou em vigor a Lei 13.411/2016 que colocou o prazo máximo de 180 dias para análise de medicamentos prioritários (o que inclui as doenças raras) e 365 dias para os demais⁸. Após a aprovação do registro deste medicamento junto à Anvisa, ele ainda precisa passar por um processo complementar na Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED), organismo da mesma agência⁹, que possui um prazo de até 90 dias para decidir o preço máximo de comercialização.

⁸ BRASIL. Lei nº 13.411, de 28 de dezembro de 2016. Brasília: 2016. Disponível em: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2015-2018/2016/lei/113411.htm. Acesso em: 22 de junho de 2022.

⁹ NUNES, Luana. Fluxo de incorporação de tecnologias no SUS segue etapas criteriosas. Ministério da Saúde, 2020. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/noticias/2020/novembro/fluxo-de-incorporacao-de-tecnologias-no-sus-segue-etapas-criteriosas>. Acesso em: 22 de junho de 2022.

Mesmo após todo esse tempo, o processo ainda não terminou. Para ser disponibilizado para o usuário final do SUS, entretanto, se faz necessário que ele seja submetido à Conitec e isso pode ser feito por meio de um dossiê por qualquer pessoa, empresa ou organização da sociedade civil, desde que todos os documentos solicitados estejam presentes conforme constam no site da Conitec. O processo total dessa avaliação dura até 180 dias e pode ser prorrogado por mais 90 dias¹⁰ e na maioria das vezes é demandado pela indústria fabricante.

Contudo, a demanda de incorporação de uma tecnologia em saúde também pode surgir diretamente de departamentos internos do Ministério da Saúde por motivos diversos, mas o processo é exatamente o mesmo.



¹⁰ FAÇA A SUA PROPOSTA PARA AVALIAÇÃO DA CONITEC. Conitec, 2014. Disponível em: <http://conitec.gov.br/faca-sua-proposta-de-incorporacao>. Acesso em: 22 de junho de 2022.

Fluxo de incorporação de tecnologias no Brasil e as consultas públicas

No Brasil, ainda dentro do exemplo de medicamento, após a droga ter seu registro aprovado junto à Anvisa, ter sido precificado junto à CMED, e de ter o dossiê submetido para a Conitec (que, via de regra, é submetido pela empresa fabricante, mas pode também ser solicitado pela sociedade médica, governo ou até mesmo associação) é que o processo de incorporação realmente começa.

Após o recebimento do dossiê, portanto, a Conitec inicia o processo de avaliação. A apresentação inicial desta tecnologia acontece em uma primeira reunião, onde após a discussão e apresentação dos dados, o respectivo Comitê da Conitec dá uma recomendação favorável ou não favorável à incorporação desta tecnologia.

Após essa reunião, a Conitec disponibiliza em seu site o relatório de recomendação em duas versões - uma, mais didática e reduzida para a sociedade; e outra, mais completa, com todas as informações sobre a tecnologia em avaliação, bem como os motivos que levaram à decisão preliminar - recomendando ou não recomendado a incorporação ao SUS. É também logo após a reunião inicial que se abrirá a Consulta Pública, que ficará disponível por 20 dias para que a sociedade possa contribuir com suas experiências, relatos de vida real, e também com informações técnicas e científicas que possam incidir na tomada de decisão - podendo, na reunião final, reverter a decisão inicial. A sociedade não pode participar destas reuniões, mas, é possível assistir a gravação da reunião posteriormente. Indica-se inclusive que esses vídeos sejam assistidos para que se entenda como se deu a tomada de decisão, e que determinados pontos possam ser contestados, se houver necessidade, durante a consulta pública.

É importante ressaltar que a participação social é extremamente importante. É indispensável que a sociedade, as associações, os profissionais da saúde e todos os demais envolvidos participem das consultas públicas e deem suas contribuições com qualidade.

O termo “participação social” é o modo pelo qual a legislação brasileira se refere ao tema¹¹, e que a participação da sociedade nas decisões em saúde foi incluída como diretriz constitucional desde a criação do Sistema Único de Saúde (SUS), sendo regulamentada no arcabouço legal na forma de Conferências e Conselhos de Saúde, notadamente de forma descentralizada¹². A seguir, voltaremos a falar de modo mais detalhado sobre essa temática.

¹¹ Silva, A.S., et al. Participação social no processo de incorporação de tecnologias em saúde no Sistema Único de Saúde. Rev. Saúde Pública, São Paulo, vol. 53, n.109, 2019..

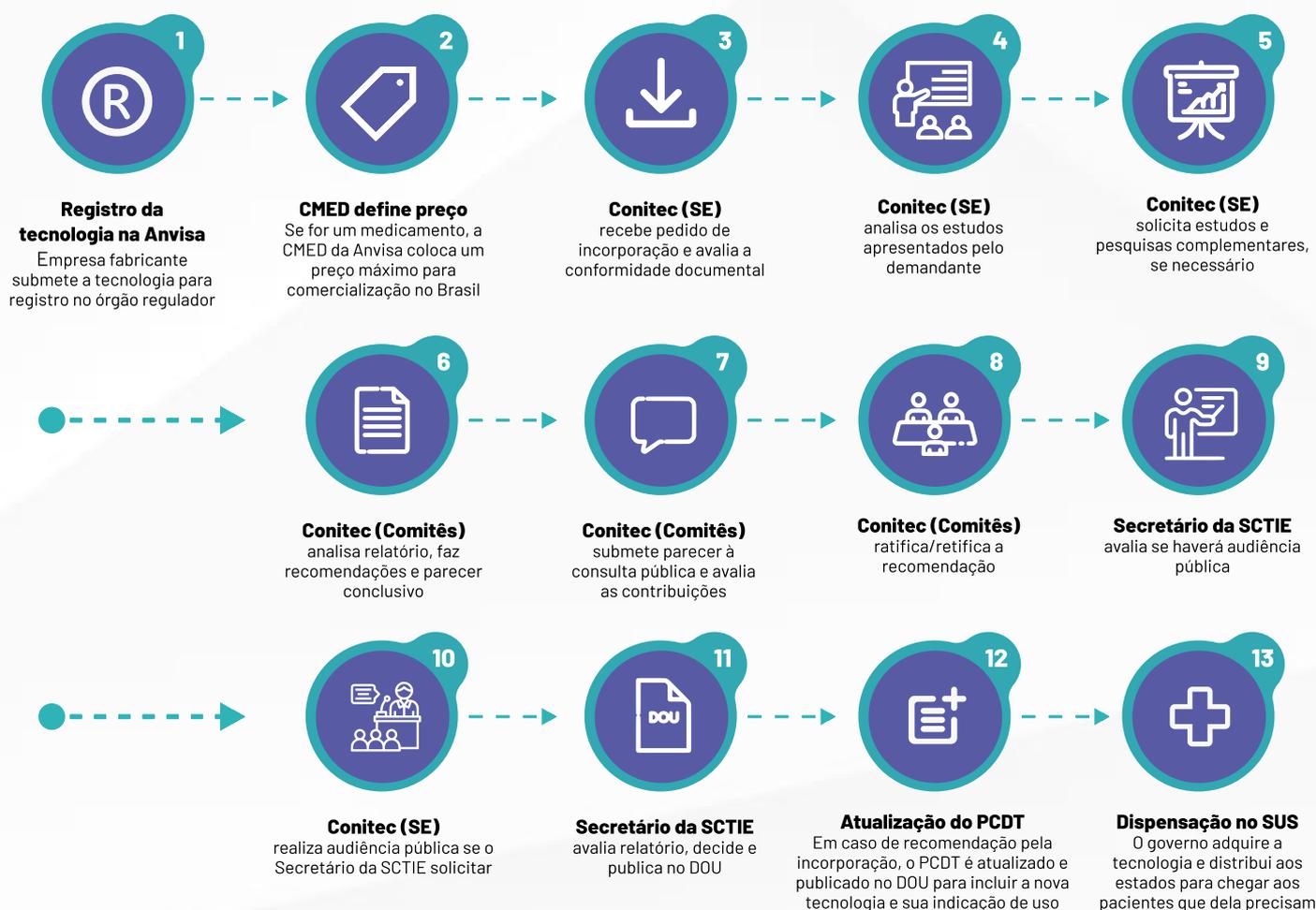
¹² Lopes, A. C. D. F., H. M. D. Novaes and P. C. D. Soárez (2020). "Participação social na gestão de tecnologias em saúde em âmbito federal no Brasil." Revista de Saúde Pública 54: 136.

Após o encerramento da consulta pública e de toda a avaliação das contribuições recebidas, a Conitec agenda a segunda reunião de discussão da tecnologia, onde serão apresentados as contribuições recebidas na consulta pública (negociação de preço, novos dados técnicos, novas evidências científicas, relatos de pacientes, de familiares, etc), e será tomada a decisão final.

Se houver decisão favorável pela incorporação, de acordo com a Lei nº 12.401/2011 e o Decreto nº 7.646 (art. 25): "A partir da publicação da decisão de incorporar tecnologias em saúde, ou protocolo clínico e diretrizes terapêuticas, as áreas técnicas terão prazo máximo de 180 dias para efetivar a oferta ao SUS". Assim, o Ministério da Saúde tem um prazo de 180 dias para disponibilizar a tecnologia incorporada, a partir da data de sua publicação no DOU. Este prazo se faz necessário para os trâmites operacionais de negociação de preço, compra, distribuição e elaboração de protocolo clínico para orientação de uso racional.

O PCDT é um documento-guia com diretrizes e para garantir as melhores práticas diagnósticas e terapêuticas para pacientes do SUS¹³. É um guia individual para cada doença e é atualizado quando houver incorporação, alteração ou exclusão ou novas evidências científicas identificadas a partir de revisões periódicas da literatura. Antes da alteração na legislação, o processo poderia levar até dois anos. Entretanto, esses prazos nem sempre são cumpridos¹⁴.

Observe o infográfico e entenda o processo completo:

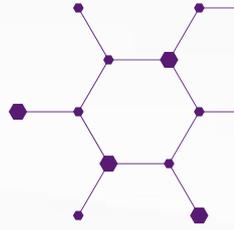


FONTE: CONITEC

¹³ PROTOCOLOS E DIRETRIZES DO MINISTÉRIO DA SAÚDE. Conitec, 2019. Disponível em: <http://conitec.gov.br/pcdt-em-elaboracao>. Acesso em: 24 de junho de 2022.

¹⁴ BRASIL. Decreto nº 11.161, de 4 de agosto de 2022. Brasília: 2022. Disponível em: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2022/decreto/d11161.htm. Acesso em: 08 de novembro de 2022.

Contexto Brasileiro - CONITEC



A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec)

foi criada em 28 de abril de 2011 e regulamentada pelo Decreto 7.646/2011 de dezembro do mesmo ano. O órgão foi criado para executar a tarefa de avaliação de tecnologias em saúde e elaboração ou alteração de protocolos clínicos no âmbito do sistema público de saúde brasileiro com processos mais claros e ágeis¹⁶.

A Comissão tinha, até 2022, uma estrutura simples dividida em dois órgãos: o Plenário e a Secretaria Executiva. A partir de 2022, a Conitec dividiu-se em: Comitê de Medicamentos, Comitê de Produtos e Procedimentos, Comitê de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas e Secretaria-Executiva. Os comitês são compostos por 15 membros, sendo sete membros das secretarias do Ministério da Saúde, um membro do Conselho Federal de Medicina (CFM), um membro do Conselho Nacional de Saúde (CNS), um membro do Conselho Nacional das Secretarias Estaduais de Saúde (CONASS), um do Conselho Nacional dos Secretários Municipais de Saúde (CONASEMS), um da Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS), um da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), um da Associação Médica Brasileira (AMB) e outro do Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde. A Secretaria-Executiva, por sua vez, fica a cargo do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde do Ministério da Saúde

Os Comitês são os órgãos mais importantes: discutem, deliberam e emitem recomendações de recomendação ou não recomendação de incorporação, alteração ou exclusão de tecnologias em saúde a serem utilizadas no SUS e sobre os protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas. Uma tecnologia é pauta de duas reuniões dos Comitês: a de apresentação e decisão da recomendação preliminar e a reunião após a consulta pública, momento em que as contribuições recebidas são analisadas e a decisão final é emitida. A Secretaria Executiva é quem secretaria, coordena e gerencia todas as atividades da Conitec e também emite os relatórios que subsidiam e apoiam os membros dos Comitês.

É sempre importante frisar que a Conitec é um órgão consultivo e não deliberativo: após a emissão do relatório final com a recomendação de incorporação ou não incorporação de uma tecnologia ele é enviado para o Ministério da Saúde, que toma a decisão final.

Durante o processo de avaliação de uma tecnologia para o SUS, existem algumas interfaces de participação social em que sociedade civil organizada - o que inclui associações de pacientes, médicos e profissionais da saúde e também pacientes e cuidadores - é convidada a se pronunciar. Vamos falar sobre cada uma delas em seguida.

¹⁶ A COMISSÃO. Conitec, 2015. Disponível em: <http://conitec.gov.br/entenda-a-conitec-2>. Acesso em: 22 de junho de 2022.

Participação Social

É de suma importância a sociedade participar no processo de ATS, contribuindo com informações de dados de vida real. Desde a criação da Conitec, a ATS foi institucionalizada como uma política de Estado, conferindo critérios definidos e transparência ao processo de incorporação de tecnologias em saúde no SUS.

Uma das atribuições da Secretaria-Executiva da Conitec, exercida pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde (DGITIS), é promover ações que fomentem a participação social no processo de ATS no SUS. Inclusive, é de competência da Conitec promover ações que favoreçam e estimulem a participação social no processo de avaliação das tecnologias em saúde utilizadas no SUS. Na sequência, você confere os principais mecanismos de participação social previstos na Conitec:

A) Consultas Públicas e Enquetes

São espaços criados para coletar opiniões, sugestões, críticas da sociedade sobre determinado processo ou assunto específico. Costuma ficar um tempo limitado no ar e normalmente acontece pela internet. No caso da Conitec, quando uma tecnologia ou PCDT está sendo analisado, em determinado momento, é aberta uma consulta pública por 20 dias corridos ou 10 em caso de urgência¹⁷.

Quando uma consulta pública é aberta, como brevemente citado anteriormente, junto com ela constam dois relatórios para subsidiar as contribuições: o **Relatório Técnico** e o **Relatório para a Sociedade**. O primeiro é completo e o segundo, simplificado e mais palatável para o público leigo. Neles, já constam a decisão preliminar de incorporação, não incorporação ou exclusão do objeto analisado.

Durante a vigência da consulta, pacientes, cuidadores, gestores públicos, profissionais da saúde e especialistas podem contribuir com suas experiências com aquela tecnologia analisada ou PCDT por meio de um formulário eletrônico. Existem dois modelos de formulário: o de Experiência e Opinião e o Técnico-Científico. O primeiro é destinado para pacientes, cuidadores e público geral, enquanto o segundo serve para médicos e profissionais de saúde ou especialistas na tecnologia. Ao final do prazo, essas contribuições são analisadas e servem para compor a análise qualitativa do processo de avaliação e compor o relatório final. As contribuições que serão apresentadas nas reuniões dos Comitês da Conitec para subsidiar a tomada de decisão e emitir a decisão final.

As enquetes, por outro lado, especificamente, coletam informações num momento preliminar de elaboração ou alteração de um protocolo clínico e diretriz terapêutica de alguma patologia. Depois de pronto, o documento é submetido a uma consulta pública tradicional para revisão final da sociedade e coleta das últimas contribuições.¹⁸

¹⁷ CONSULTAS PÚBLICAS. Conitec, 2017. Disponível em: <http://conitec.gov.br/consultas-publicas>. Acesso em: 23 de junho de 2022..

¹⁸ ENQUETES. Conitec, 2015. Disponível em: <http://conitec.gov.br/enquetes>. Acesso em: 23 de junho de 2022.

B) Perspectiva do Paciente

Uma das formas mais recentes criadas pela Conitec de participação social no processo de avaliação de tecnologias chama-se “Perspectiva do Paciente”. Nela, a cada nova tecnologia avaliada, o órgão abre uma chamada pública para que pacientes, cuidadores ou familiares voluntários que tiveram experiência com o objeto de análise sejam ouvidos nas reuniões dos comitês por um período de tempo e possam contar o seu relato de vida real e sua visão como usuário do SUS acerca da tecnologia¹⁹. Contudo, as primeiras experiências demonstraram que 10 minutos é tempo insuficiente para que o paciente possa com qualidade relatar sua história, suas evidências e sua experiência de vida, além do que faz-se necessário um aprimoramento da escuta daqueles que participam da plenária.

C) Audiências Públicas

Audiências públicas são reuniões convocadas pelo poder público para ouvir a sociedade sobre um assunto específico e ampliar a sua discussão²⁰. Bastante comum no poder legislativo em todas as esferas, também pode ser um mecanismo utilizado pela Conitec dentro do processo de ATS. Enquanto que em outras esferas públicas a sociedade civil pode provocar uma audiência pública, quando se diz respeito à Conitec, essa prerrogativa é apenas do Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde (SCTIE) do Ministério da Saúde.

A audiência pública pode ser convocada após dar-se por encerrado todo o processo e o trabalho da Conitec, ou seja, após a emissão do relatório com a recomendação final e a entrega do mesmo ao Ministério da Saúde. A reunião só acontece caso o dirigente da pasta entenda que são necessários mais subsídios para a decisão do Governo Federal, ou seja, se ele vai seguir a recomendação da Conitec ou não sobre determinada tecnologia em saúde. Até novembro de 2022, data da revisão deste caderno, havia informação que somente seis audiências já haviam sido realizadas pela Conitec.

D) Cadastro de pacientes, associação de pacientes e especialistas

Também recentemente, a Conitec criou um banco de dados de pacientes, associações de pacientes e especialistas contínuo para identificar pessoas, profissionais e organizações interessadas no processo de ATS para serem acionadas nos momentos de participação social ou quando não há evidências científicas ou dados de vida real suficientes que ampare a defesa da tecnologia²¹. Ou ainda, para ouvir as experiências clínicas de especialistas para que contribuam na construção de PCDTs ou tragam uma nova prática clínica não explorada numa análise de tecnologia.²²

¹⁹ PERSPECTIVA DO PACIENTE. Conitec, 2021. Disponível em: <http://conitec.gov.br/perspectiva-paciente>. Acesso em: 23 de junho de 2022.

²⁰ AUDIÊNCIAS PÚBLICAS. Conitec, 2021. Disponível em: <http://conitec.gov.br/audiencias-publicas>. Acesso em: 24 de junho de 2022

²¹ CONITEC QUER CONHECER PACIENTES E ASSOCIAÇÕES DO BRASIL. Conitec, 2020. Disponível em: <http://conitec.gov.br/cadastro-pacientes-associacoes>. Acesso em: 23 de junho de 2022.

²² CONITEC QUER CONHECER ESPECIALISTAS EM SAÚDE QUE TENHAM INTERESSE NO SUS. Conitec, 2022. Disponível em: <http://conitec.gov.br/cadastro-especialistas-em-saude>. Acesso em: 23 de junho de 2022.

COMO UMA ASSOCIAÇÃO PODE PARTICIPAR DO PROCESSO DE ATS?

A associação de pacientes não só pode como deve participar de todo o processo de avaliação de tecnologias de saúde em que seus pacientes serão diretamente ou indiretamente impactados, nem que seja monitorando-o minimamente e divulgando ao seu público-alvo a cada nova fase. Aquelas que realmente desejam fazer ainda mais diferença onde o impacto é duradouro, mas de longo prazo, podem iniciar seguindo passos abaixo:

A) Capacite-se

Antes de mais nada, é preciso pesquisar e estudar bastante o processo de ATS para entender os pormenores e tudo o que está em jogo. O primeiro passo você já deu: a leitura deste material é um ótimo ponto de partida. Mas não esqueça que o cenário de ATS também é político e, portanto, é dinâmico. Fique atento aos diversos cursos gratuitos sobre o tema, leia artigos, acompanhe as atualizações de leis, e fique de olho nas atualizações do Instituto Unidos pela Vida, por exemplo.

B) Crie relacionamento com especialistas e atores de interesse

Faça conexões com médicos, demais profissionais de saúde, especialistas de interesse e atores envolvidos, que sejam engajados e estejam sempre atualizados com as tecnologias da sua patologia. Cercar-se de experts que possam lhe auxiliar a entender o processo e a tecnologia em sua minúcia faz parte do seu trabalho e faz com que você permaneça sempre capacitado com as inovações tecnológicas.

É importante que você também crie um relacionamento de duas mãos com a indústria que produz tecnologias em saúde para a patologia que você representa, sempre baseados nos valores do diálogo, colaboração, transparência, independência e ética. São eles os responsáveis por boa parte do processo de ATS e também os mais interessados. Dessa forma, você fica sabendo de todos os passos em primeira mão, ganha tempo para pensar em um plano de ataque e também pode articular e exercer pressão para exigir deles ações mais urgentes, se assim for necessário.

C) Cadastre-se na Conitec como associação interessada

Deixe claro para a Conitec que você existe, monitora e participa do processo de ATS e está à disposição do órgão para eventuais consultas e convocatórias. Para isso, entre no site da Conitec - www.conitec.gov.br - e preencha o formulário eletrônico disponível. Isso, antes de mais nada, é um sinal de que você entrou para o jogo e vai entrar no radar da instituição.

D) Monitore, prepare e encaminhe pacientes para contarem sua perspectiva

Fique atento aos chamamentos públicos da Perspectiva do Paciente. Quando uma tecnologia do seu interesse foi submetida para apreciação na Conitec, antes da primeira reunião de apresentação no comitê, esse chamamento costuma ser aberto. Identifique na sua associação ou rede de atuação um paciente ou cuidador que tenha experiência empírica direta, ou seja, que fez uso da tecnologia apreciada. Após identificá-lo, explique a ele a importância da oportunidade e que ele irá representar todos os pacientes que necessitam daquela tecnologia e então, ajude-o na inscrição.

Caso ele for selecionado como titular ou suplente, prepare-o com tudo o que ele precisa saber sobre a tecnologia e as possíveis respostas para perguntas que a Conitec poderá perguntar. Mas lembre-se: o paciente está lá para contar a sua própria história e experiência e deve ficar livre para tal. Discursos dirigidos, ensaiados e técnicos demais são fortemente desaconselhados e podem causar efeito contrário. Por outro lado, o despreparo pode igualmente causar uma impressão negativa.

E) Contribua e convide toda a sua comunidade a participar das consultas públicas

Um dos momentos mais importantes de participação social é a consulta pública. Durante os 20 dias em que ela fica vigente, é possível mobilizar e engajar toda a comunidade da doença para referendar uma decisão favorável de incorporação da Conitec ou então tentar reverter uma possível decisão desfavorável e tentar virar o jogo. Saiba mais na próxima sessão como você deve se preparar para esse momento.

COMO UMA ASSOCIAÇÃO DEVE SE PREPARAR PARA UMA CONSULTA PÚBLICA?

A) Cumpra seu papel social de unir e engajar comunidade

Para participar de uma consulta pública e mobilizar todo mundo, não poupe esforços para convidar, convocar e divulgar a oportunidade de contribuição para toda a sua rede de contatos interessada. Invista bastante em comunicação e jogue pesado nas mídias sociais.

Mas só isso não basta: junto com o convite, se faz necessário informar brevemente como funciona o processo de ATS e reiterar a importância desse momento decisivo, pois nem sempre isso é de conhecimento geral. Faça passo a passo, lives, campanhas, eventos, ajude individualmente quem não conseguir e seja criativo nas formas de engajamento e participação. Dessa forma, você estará capacitando a sua comunidade e empoderando-a para ser cada vez mais participativa.

Mas por que tanto trabalho? Pois a qualidade das contribuições é muito mais importante do que a quantidade: de nada adianta ter 50 mil contribuições em uma consulta pública da Conitec com a mesma resposta copiada e colada ou com respostas vagas, curtas, pouco qualificada e que não agregam em nada o processo de análise e avaliação sendo conduzido. Instrua sempre que a resposta precisa vir diretamente da experiência do paciente, cuidador ou membro da associação que estiver respondendo e que ele precisa estar minimamente informado.

B) Convoque médicos, profissionais da saúde e especialistas a contribuir

A contribuição técnico-científica é uma das mais importantes no processo de ATS. Por isso, articular uma participação extremamente qualificada de especialistas, sejam eles médicos, demais profissionais da saúde ou outros interessados na tecnologia, se faz extremamente necessário. Afinal, somente eles poderão contribuir com dados de vida real, o que inclui experiências clínicas, desfechos e demais evidências que a bula não mostra. Caso a Conitec analise essas contribuições e entenda que há novos dados que devem ser analisados, existe a possibilidade dela acolher os comentários e alterar sua decisão preliminar.

PARTE II - Sobre Doenças Raras, Fibrose Cística, Atrofia Muscular Espinhal e Esclerose Múltipla

Agora que você já compreendeu o que são as tecnologias de saúde, como são avaliadas e incorporadas no SUS, vamos tratar de forma breve das doenças raras, especialmente três delas: a FC - Fibrose Cística, objeto principal de trabalho do Instituto Unidos pela Vida, a AME - Atrofia Muscular Espinhal, foco de atuação do Instituto Fernando Loper Vasconcellos, e da EM - Esclerose Múltipla, representada também pela Amigos Múltiplos pela Esclerose.

O QUE SÃO DOENÇAS RARAS?

Estima-se que existam em torno de 6 a 8 mil patologias raras mundialmente e que mais de 300 milhões de pessoas vivem com uma doença rara no mundo, número que representa de 3,5 a 5,9% da população mundial.²³ As patologias consideradas raras podem apresentar uma grande diversidade de sintomas e eles variam de doença para doença e de pessoa para pessoa com o mesmo diagnóstico. Isso significa que, quando o assunto é doença rara, cada caso é um caso.

²³ DOENÇAS RARAS - Quais são e por que são chamadas dessa forma?. Pfizer, 2019. Disponível em: <https://www.pfizer.com.br/noticias/ultimas-noticias/doencas-raras-quais-sao-e-porque-sao-chamadas-assim>. Acesso em: 24 de junho de 2022. zil: a New Model for the Brazilian Public Health System (Sistema Único de Saúde - SUS)."

A maioria das patologias raras ainda não tem cura, são crônicas, progressivas e estima-se que 80% delas são causadas por fatores genéticos. Por conta disso, praticamente todas as células do corpo da pessoa diagnosticada têm a alteração, o que torna muito complexo e custoso o desenvolvimento de tratamentos para essas patologias.

A Europa define como doença rara aquela que tem uma taxa de nascimento menor do que 1 para cada 2 mil indivíduos nascidos. Já nos Estados Unidos, o dado é de prevalência na população em um determinado período. Por exemplo, uma doença que afeta menos de 200 mil pessoas é considerada rara nos EUA²⁴. No Brasil, de acordo com o Ministério da Saúde, uma patologia é considerada rara quando afeta até 65 pessoas em um grupo de 100 mil indivíduos e estima-se hoje cerca de 13 milhões de brasileiros possuem uma patologia rara.²⁵

Apesar disso, o país tem uma absoluta falta de dados epidemiológicos exatos sobre as doenças raras. Se os números forem semelhantes aos da Europa, onde cerca de 6% a 8% da população tem uma doença rara, o Brasil teria entre 12 e 16 milhões de pessoas com uma dessas patologias, mas isso é apenas uma estimativa, pois, infelizmente, não sabemos o número certo.

O QUE É FIBROSE CÍSTICA?

A fibrose cística - conhecida como mucoviscidose ou ainda, "Doença do Beijo Salgado" - é uma doença rara, progressiva e ainda sem cura conhecida. Quem carrega a doença tem dificuldades de eliminar a secreção que normalmente o corpo produz e expulsaria, como por exemplo o catarro, o que ocasiona uma série de consequências. A causa da fibrose cística é uma anomalia genética hereditária da proteína CFTR (cystic fibrosis transmembrane conductance regulator) que faz com que toda a secreção fique mais espessa que o normal.

Além do sistema respiratório, suas consequências desencadeiam reações também nos sistemas digestório e reprodutor²⁶. Os principais sintomas da fibrose cística são: tosse crônica, pneumonia de repetição, diarreia, pólipos nasais, baqueteamento digital, suor mais salgado que o normal e dificuldade em ganhar peso e estatura.

²⁴ VINTURELI, Kamila. Doenças raras: realidade e desafios no Brasil. Instituto Unidos pela Vida, 2022. Disponível em: <https://unidospelavida.org.br/doencas-raras-brasil>. Acesso em: 27 de junho de 2022.

²⁵ TEIXEIRA, Raquel. Doenças raras atingem cerca de 13 milhões de brasileiros. Rádio Senado, 2022. Disponível em: <https://www12.senado.leg.br/radio/1/noticia/2022/02/02/doencas-raras-atingem-cerca-de-13-milhoes-de-brasileiros>. Acesso em: 27 de junho de 2022.

²⁶ FIBROSE CÍSTICA. Instituto Unidos pela Vida, 2021. Disponível em: <https://unidospelavida.org.br/fibrose-cistica/>. Acesso em: 27 de junho de 2022.

DIAGNÓSTICO DA FIBROSE CÍSTICA

O diagnóstico da FC pode acontecer nos primeiros dias de vida do recém-nascido, através da realização do Teste do Pezinho, que faz parte do Programa Nacional de Triagem Neonatal. Se o teste vier alterado com indicação para a fibrose cística, é preciso realizar uma coleta, que, se também vier alterada, é necessário o encaminhamento para o teste do suor, visando descartar ou confirmar o diagnóstico.

Esse exame também pode ser feito durante as demais fases da vida da pessoa e é considerado o padrão ouro para o diagnóstico. Ambos os exames estão disponíveis no SUS de forma gratuita. De forma mais profunda, também é possível realizar um exame genético para descobrir se há ou não mutação genética na proteína CFTR. Entretanto, esse exame não é coberto pelo SUS.

De acordo com o Registro Brasileiro de Fibrose Cística de 2019, existem aproximadamente 6 mil pessoas no Brasil convivendo com a patologia²⁷, mas considera-se esse número um caso de subnotificação, pois existem um sem números de pessoas sem diagnóstico ou com diagnóstico errôneo. Estima-se que um a cada 10 mil nascidos vivos nasça com a doença²⁸.

TRATAMENTO DA FIBROSE CÍSTICA

A fibrose cística, apesar de ainda não ter cura conhecida, tem tratamento que objetiva a qualidade de vida e redução dos sintomas, que pode contemplar:

- **Fisioterapia respiratória diária (exercícios para ajudar na expectoração e limpeza do pulmão, evitando infecções);**
- **Realização de atividade física regular (contribui com o aumento da capacidade respiratória e fortalecimento muscular);**
- **Ingestão de enzimas pancreáticas (absorção de gorduras e nutrientes) e suplementos vitamínicos;**
- **Medicamentos: uso de antibióticos (tratamento de infecções bacterianas), antifúngicos (tratamento de infecções fúngicas), corticoides (tratamento de inflamações) e moduladores (regulam a proteína CFTR).**

²⁷ Registro Brasileiro de Fibrose Cística, 2020. Disponível em: http://portalgbefc.org.br/ckfinder/userfiles/files/REBRAFC_2019.pdf. Acesso em: 27 de junho de 2022.

²⁸ FIBROSE CÍSTICA ATINGE 1 A CADA 10 MIL NASCIDOS VIVOS NO BRASIL. Empresa Brasileira de Serviços Hospitalares, 2020. Disponível em: <https://www.gov.br/ebserh/pt-br/comunicacao/noticias/fibrose-cistica-atinge-1-a-cada-10-mil-nascidos-vivos-no-brasil>. Acesso em: 27 de junho de 2022.

MODULADORES: TRATAMENTOS INOVADORES PARA A FIBROSE CÍSTICA

As terapias medicamentosas baseadas na modulação da proteína CFTR corrigem o defeito congênito de algumas das mais de 2 mil mutações da doença. A CFTR controla o fluxo adequado de água e cloreto para dentro e fora das células que revestem os pulmões e outros órgãos. Nas pessoas com fibrose cística, as mutações causam a produção de uma proteína defeituosa ou a ausência de sua produção. Tal situação leva ao acúmulo de muco espesso e viscoso, que pode acarretar infecções nos pulmões, lesões no pâncreas e problemas em outros órgãos do corpo²⁹.

Os quatro moduladores que existem no mercado hoje são: ivacaftor (Kalydeco®), lumacaftor/ivacaftor (Orkambi®), tezacaftor/ivacaftor (Symdeko®) e elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta®). Existem diversos outros moduladores que atualmente encontram-se em fase de pesquisa e desenvolvimento, mas ainda longe do mercado.

O ivacaftor e o lumacaftor/ivacaftor foram objeto de consulta pública da Conitec em 2020. O primeiro teve parecer favorável pela incorporação³⁰ e seguiu para a distribuição no SUS e o segundo, desfavorável³¹. O tezacaftor/ivacaftor foi apreciado pelo órgão em 2022, mas obteve parecer final desfavorável³². O elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor ainda não foi submetido para a Conitec até a produção deste caderno.

O QUE É ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME)?

A atrofia muscular espinhal (AME) é uma doença neurológica rara, genética, progressiva, ainda sem cura conhecida e que atinge 1 a cada 10 mil nascidos vivos³³. A patologia prejudica a capacidade do corpo de produzir uma proteína básica responsável pelos chamados neurônios motores³⁴.

29 CFTR Modulator Therapies. Cystic Fibrosis Foundation. Disponível em: <https://www.cff.org/managing-cf/cftr-modulator-therapies>. Acesso em: 27 de junho de 2022.

30 MINISTÉRIO da Saúde. Relatório de Recomendação - Ivacaftor para pacientes acima de 6 anos que apresentem uma das seguintes mutações de gating (classe III), G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R. Conitec, 2020. Disponível em: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2020/Relatorio_Ivacaftor_FibroseCistica_CP38_2020.pdf. Acesso em: 29 de junho de 2022.

31 MINISTÉRIO da Saúde. Relatório de Recomendação - Lumacaftor/Ivacaftor para tratamento de fibrose cística (FC) em pacientes com 6 anos de idade ou mais e que são homocigotos para a mutação F508del no gene regulador de condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR). Conitec, 2020. Disponível em: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2020/Relatorio_Lumacaftor_Ivacaftor_FibroseCistica_CP37_2020.pdf. Acesso em: 29 de junho de 2022.

32 MINISTÉRIO da Saúde. Relatório de Recomendação - Tezacaftor-ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística com 12 anos de idade ou mais com mutação F508del do gene CFTR em homocigose ou com mutação F508del e uma das seguintes mutações: P67L, D110H, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G, e 3849+10kbC→T. Conitec, 2022. Disponível em: http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2022/20220315_Relatorio_CP05_tezacaftor_ivacaftor_FC.pdf. Acesso em: 29 de junho de 2022.

33 O QUE É AME, Ministério da Saúde, 2020. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/saude-de-a-a-z/a/ame>. Acesso em: 29 de junho de 2022.

34 ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL, Ministério da Saúde, 2020. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/saude-de-a-a-z/a/ame>. Acesso em: 29 de junho de 2022.

A AME afeta a capacidade do paciente de caminhar, falar, comer e respirar em diferentes faixas etárias, sendo a forma mais grave quando aparece em bebês e recém-nascidos³⁵. Os sintomas e sua gravidade variam de acordo com seus cinco tipos, mas costumam ser, de uma forma geral:

- Perda do controle e forças musculares;
- Incapacidade/dificuldade de movimentos e locomoção;
- Incapacidade/dificuldade de engolir;
- Incapacidade/dificuldade de segurar a cabeça;
- Incapacidade/dificuldade de respirar.

DIAGNÓSTICO DA ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL

O diagnóstico de AME pode ser realizado antes dos sintomas ou já com os sintomas apresentados e, normalmente, acontece da suspeita clínica, familiar ou triagem neonatal³⁶. A única forma de confirmar definitivamente o diagnóstico de AME é por meio de um exame genético molecular³⁷.

TRATAMENTO DA ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL

O tratamento de AME envolve terapia medicamentosa combinada e de suporte, que abrange fonoterapia, fisioterapia, terapia ocupacional e psicológica etc. Assim como na fibrose cística, uma mutação genética, nesse caso no gene SMN1, os pacientes com AME não produzem a proteína SMN que alimenta as células dos neurônios motores. Como os neurônios não se regeneram após serem destruídos, eles vão morrendo ao ficarem sem “alimento”.

Alguns tratamentos medicamentosos focam justamente no aprimoramento desse gene, aumentando a quantidade da proteína SMN no corpo ou trabalhando para substituir ou consertar o gene defeituoso.

OS TRATAMENTOS MEDICAMENTOSOS PARA AME

Quando houver orientação médica para tratamento medicamentoso, existem três atualmente disponíveis no mercado brasileiro: nusinersena (Spinraza[®]), risdiplam (Evrysdi[®]) e AVXS-101 IV (Zolgensma[®] intravenoso)³⁸. O primeiro teve seu parecer favorável para a sua incorporação em 2020 e já está sendo dispensado no SUS e funciona produzindo a proteína SMN (vide bula).

³⁵ ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL. Biogen. Disponível em: <https://br.biogen.com/pt_BR/sma.html>. Acesso em: 29 de junho de 2022.

³⁶ ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME): A IMPORTANCIA DO DIAGNÓSTICO PRECOCE. Juntos pela AME, 2020. Disponível em: <https://www.juntospelaame.com.br/pt_BR/home/entender/diagnostico-da-ame/atrofia-muscular-espinhal-a-importancia-do-diagnostico-precoce.html>. Acesso em: 29 de junho de 2022.

³⁷ GENÉTICA E DIAGNÓSTICO. INAME. Disponível em: <<https://iname.org.br/genetica-e-diagnostico-ame>>. Acesso em: 29 de junho de 2022.

³⁸ TRATAMENTOS. INAME. Disponível em: <https://iname.org.br/tratamentos-da-ame/visao-geral/>. Acesso em: 30 de junho de 2022.

O segundo teve parecer favorável publicado em 2022 e atua produzindo a proteína SMN e mantendo seus níveis elevados (vide bula). O terceiro, o mais inovador e conhecido como o medicamento mais caro do mundo, teve sua decisão favorável pela incorporação em dezembro de 2022 e atua fornecendo uma cópia exata funcional do gene SMN, ajudando o corpo a fornecer a proteína (vide bula).

O QUE É ESCLEROSE MÚLTIPLA?

A Esclerose Múltipla é uma doença crônica considerada rara em que o sistema imunológico do paciente ataca o sistema nervoso central (encéfalo e medula espinhal), causando processos inflamatórios em vários locais do corpo, e, por isso, é considerada autoimune. O objeto deste ataque é a bainha de mielina dos neurônios e isso acaba gerando dano na função principal dos neurônios e em sua manutenção³⁹.

Existem dois tipos de EM: a forma clínica remitente-recorrente (EMRR), responsável por 85% dos casos, em que o paciente apresenta um quadro de surto e melhora parcialmente ou completamente sem apresentar novos sintomas e a forma primariamente progressiva (EMPP), responsável pelos restantes dos casos, em que ocorre o acúmulo da incapacidade de forma lenta e contínua.

DIAGNÓSTICO DA ESCLEROSE MÚLTIPLA

As causas da doença ainda são desconhecidas da ciência, mas sabe-se que ela atinge geralmente jovens de 20 a 40 anos e principalmente mulheres. Estima-se que mais de 2,8 milhões de pessoas no mundo tenham EM e no Brasil, 40 mil⁴⁰. Alguns fatores genéticos e ambientais são estudados para tentar entender sua relação com a doença.

Os sintomas podem ser variados e a doença, de difícil diagnóstico. Não existem sintomas típicos e eles precisam durar mais de 24 horas para serem considerados neurológicos. As principais queixas são alterações na visão, fraqueza nos membros, desequilíbrio, descoordenação, alterações de sensibilidade e distúrbios urinários⁴¹. O diagnóstico é realizado por meio de avaliação clínica e teste físico. Uma ressonância magnética pode mostrar locais de desmielinização no cérebro e na medula espinhal, provocado pelo ataque do sistema imunológico⁴².

³⁹ O QUE É ESCLEROSE MÚLTIPLA? Amigos Múltiplos da Esclerose, 2022. Disponível em: <https://amigosmultiplos.org.br/esclerose-multipla/>. Acesso em: 27 de junho de 2022.

⁴⁰ "EU ME CONECTO, NÓS NOS CONECTAMOS": 30/5 - Dia Mundial da Esclerose Múltipla. Biblioteca Virtual em Saúde do Ministério da Saúde, 2020. Disponível em: <https://bvsmis.saude.gov.br/eu-me-conecto-nos-nos-conectamos-30-5-dia-mundial-da-esclerose-multipla>. Acesso em: 27 de junho de 2022.

⁴¹ QUAIS PODEM SER OS SINTOMAS DA ESCLEROSE MÚLTIPLA? Amigos Múltiplos da Esclerose, 2022. Disponível em: <https://amigosmultiplos.org.br/sintomas>. Acesso em: 27 de junho de 2022.

⁴² ESCLEROSE MÚLTIPLA: ENTENDO MAIS SOBRE A DOENÇA? Amigos Múltiplos da Esclerose, 2022. Disponível em: <https://www.pfizer.com.br/noticias/ultimas-noticias/esclerose-multipla-entenda-mais-sobre-doenca>. Acesso em: 28 de junho de 2022.

TRATAMENTO DA ESCLEROSE MÚLTIPLA

A esclerose múltipla ainda não tem cura, mas tem tratamento com objetivo de melhorar a qualidade de vida dos pacientes. Usa-se corticoides para inibir os ataques do sistema imunológico ao corpo do paciente, para alívio dos sintomas, especialmente a perda de visão, coordenação ou força. Medicamentos imunossupressores também são importantíssimos e diminuem os efeitos da doença e podem evitar crises.

Além da terapia medicamentosa, exercícios físicos, fisioterapia e terapias alternativas são indicados para pacientes com esclerose múltipla, pois também auxiliam em diversos processos físicos e psicológicos.

NATALIZUMABE, OCRELIZUMABE E TETRAIDROCANABINOL+CANABIDIOL

Quando houver orientação médica para tratamento medicamentoso, existem algumas opções no mercado brasileiro: o natalizumabe (Tysabri®), o ocrelizumabe (Ocrevus) e o tetraidrocanabinol+canabidiol (Mevatyl®). O primeiro é uma proteína semelhante aos anticorpos que impede a entrada no cérebro das células que provocam inflamação, reduzindo os danos da doença (vide bula). O segundo modula o sistema imunológico do paciente com EM (vide bula). O terceiro atua na melhora da rigidez dos membros relacionada à esclerose múltipla e também na melhora da função motora (vide bula).

PARTE III – Breve Análise das Consultas Públicas de Medicamentos para Fibrose Cística, AME e Esclerose Múltipla Realizada em 2020 pela Conitec

Este caderno também objetiva, além de ampliar o conhecimento teórico sobre ATS e participação social, demonstrar, através de análises reais como se deu o processo de incorporação de tecnologias para Fibrose Cística, Atrofia Muscular Espinhal e Esclerose Múltipla no ano de 2020, pela Conitec.

Os dados abaixo foram obtidos através de análise documental realizada no site da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec).

Buscou-se dentro da sessão de Reuniões da Comissão (<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/reunioes-da-conitec/pautas-e-atas>), o ano de 2020 e na parte "Atas", foram identificadas nove atas de reuniões realizadas. Em cada ata, buscou-se as palavras chaves "fibrose cística", "esclerose múltipla" e "atrofia muscular espinhal", para identificar tecnologias que tenham sido avaliadas para estas patologias. Foram desconsiderados resultados de avaliações e recomendações para Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas. Foram encontradas apresentações de tecnologias para as três patologias em três reuniões de 2020, de número 88, 89 e 92, conforme quadro abaixo:

Quadro 1 – Reuniões de apreciação inicial de tecnologias para FC, AME e EM – DECISÃO PRELIMINAR

| Nº Reunião Inicial | Patologia | Demandante | Tecnologia | Origem da demanda | Demanda / Indicação | Decisão Preliminar |
|--------------------|---------------------------|------------------------------------|---|-------------------|--|-----------------------|
| 88 | Esclerose Múltipla | Biogen | Natalizumabe | Ampliação de uso | Natalizumabe no tratamento de pacientes com esclerose múltipla remitente-recorrente com alta atividade de doença | Não incorporar ao SUS |
| 88 | Esclerose Múltipla | Roche | Ocrelizumabe | Incorporação | Ocrelizumabe para tratamento de pacientes adultos com esclerose múltipla remitente-recorrente (EMRR) em alternativa ou contraindicação ao natalizumabe | Não incorporar ao SUS |
| 88 | Fibrose Cística | Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda | Ivacaftor (Kalydeco®) | Incorporação | Ivacaftor para pacientes acima de 6 anos que apresentem uma das seguintes mutações de gating (classe III), G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R | Não incorporar ao SUS |
| 88 | Fibrose Cística | Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda | Lumacaftor/ Ivacaftor (Orkambi®) | Incorporação | Lumacaftor/Ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística homocigótica para a mutação F508del | Não incorporar ao SUS |
| 89 | Esclerose Múltipla | Beaufour IPSEN Farmacêutica LTDA | Tetraidrocanabinol 27 mg/ml + canabidiol 25 mg/ml (THC+CBD) | Incorporação | Tetraidrocanabinol + canabidiol para melhoria dos sintomas de pacientes adultos com espasticidade moderada a grave devido a esclerose múltipla (EM) que não responderam adequadamente a outra terapia. | Não incorporar ao SUS |
| 92 | Atrofia Muscular Espinhal | Biogen | Nusinersena | Ampliação de uso | Nusinersena para tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5q (AME) tipos 2 e 3. | Não incorporar ao SUS |

FORTE: A AUTORA (OLIVEIRA, VERÔNICA G. S. B; 2022).

Das três tecnologias avaliadas para esclerose múltipla, duas tinham como origem da demanda a incorporação da tecnologia (Ocrelizumabe e Tetraidrocanabinol 27 mg/ml + canabidiol 25 mg/ml (THC+CBD) e uma demanda era relacionada à ampliação de uso (Natalizumabe). Para a atrofia muscular espinhal, a única tecnologia avaliada em 2020 tinha como origem da demanda a ampliação de uso (Nusinersena). Já para fibrose cística, as duas tecnologias avaliadas em 2020 tinham demanda de incorporação (Ivacaftor e Lumacaftor/ivacaftor).

Destas seis tecnologias avaliadas (3 para EM, 2 para FC e uma para AME), todas foram encaminhadas à consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação, conforme motivos descritos abaixo. Observa-se que das seis tecnologias, cinco receberam justificativas ligadas à custo / impacto orçamentário⁴³:

Quadro 2 – Justificativa preliminar para não incorporação

| Patologia | Demanda / Indicação | Justificativa – Relatório para Sociedade |
|---------------------------|--|--|
| Esclerose Múltipla | Natalizumabe no tratamento de pacientes com esclerose múltipla remitente-recorrente com alta atividade de doença | As evidências de superioridade do medicamento em relação às alternativas disponíveis dizem respeito apenas aos casos de alta atividade da doença. Além disso, levou-se em conta o risco de LEMP atrelado ao uso do natalizumabe, bem como o alto impacto orçamentário da sua possível incorporação. |
| Esclerose Múltipla | Ocrelizumabe para tratamento de pacientes adultos com esclerose múltipla remitente-recorrente (EMRR) em alternativa ou contra-indicação ao natalizumabe | O plenário considerou que o ocrelizumabe e o natalizumabe apresentam equivalência terapêutica, mas o primeiro é mais custoso que o segundo . Por isso, a relação custo-efetividade não se mostrou favorável à incorporação do ocrelizumabe para o tratamento da EMRR no SUS. |
| Fibrose Cística | Ivacaftor para pacientes acima de 6 anos que apresentem uma das seguintes mutações de gating (classe III), G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R | O plenário considerou o curto tempo de acompanhamento dos pacientes (48 semanas) e o alto custo do medicamento , atendendo pacientes específicos com mutações G551D, acima de 12 anos. Faz-se necessário, também, realizar exames de genotipagem específicos. |
| Fibrose Cística | Lumacaftor/Ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística homozigótica para a mutação F508del | Além do custo elevado do medicamento , acarretando uma razão de custo-efetividade extremamente alta, considerou-se, também, a necessidade de um exame de genotipagem específico. Foram consideradas ainda as seguintes questões: avaliação de resultados intermédios; pouco tempo de seguimento o que gera incertezas sobre a manutenção do efeito em longo prazo; ausência de critérios de interrupção do medicamento. |
| Esclerose Múltipla | Tetraidrocanabinol + canabidiol para melhoria dos sintomas de pacientes adultos com espasticidade moderada a grave devido a esclerose múltipla (EM) que não responderam adequadamente a outra terapia. | O Plenário realizou a avaliação crítica de estudos de eficácia, segurança, custo-efetividade e impacto orçamentário na perspectiva do Sistema Único de Saúde (SUS) e concluiu que, embora a medicação possa ser considerada segura, o nível de evidência dos desfechos de eficácia é de baixa qualidade, com grau de recomendação fraco a favor da incorporação do medicamento. |
| Atrofia Muscular Espinhal | Nusinersena para tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5q (AME) tipos 2 e 3. | O Plenário considerou a influência de outras intervenções, como os cuidados fisioterapêuticos e uso de órteses e próteses, por exemplo, nos resultados apresentados pelos pacientes, em comparação aos efeitos do medicamento quando usado isoladamente. Assim, alguns membros consideraram que o uso isolado do nusinersena não traria tantos benefícios a ponto de evitar a progressão da doença e, por isso, o alto custo investido não seria justificável diante dos resultados apresentados. |

FORNTE: A AUTORA (OLIVEIRA, VERÔNICA G. S. B.; 2022).

Através da plataforma Conitec em números, **analisou-se os resultados quantitativos relacionados às consultas públicas**. Observa-se aqui que, em absoluto, **o que é relevante em uma consulta pública não é quantidade de contribuições que são enviadas, mas sim a qualidade das mesmas**.

44

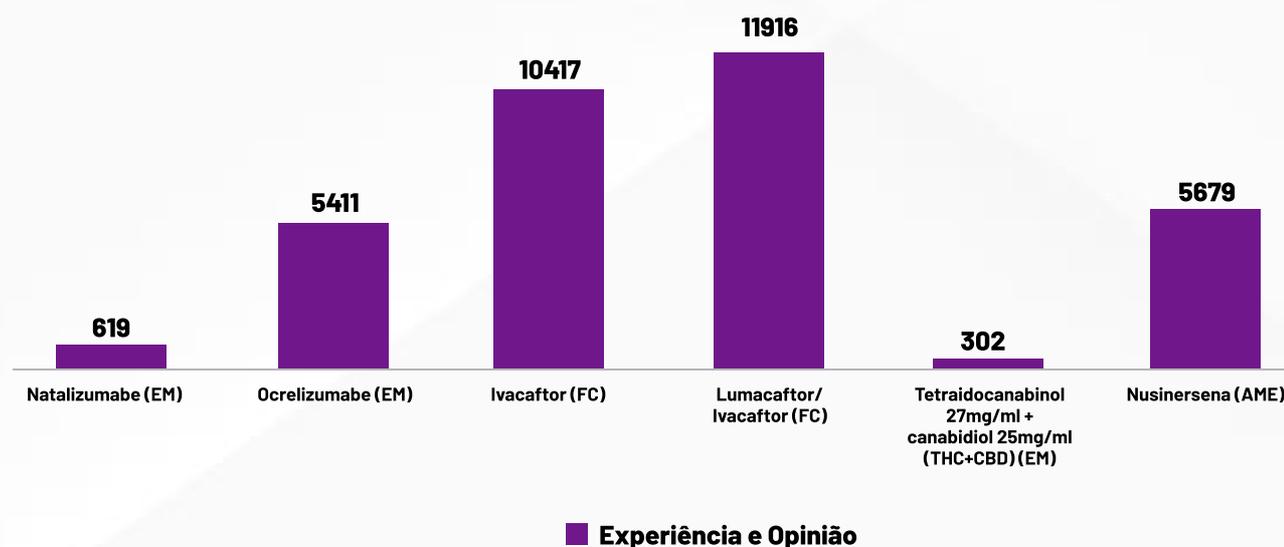
⁴³ Brasil. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Recomendações tecnologias avaliadas 2020. Disponível em: <http://conitec.gov.br/recomendacoes-tecnologias-avaliadas-2020>

⁴⁴ Conitec em Números. Painel de acompanhamento de tecnologias em saúde submetidas à Conitec no Sistema Único de Saúde. 2022. Disponível em: <https://datastudio.google.com/embed/reporting/ed1f017c-58e0-4177-aeb2-61f59d50b183/page/PzCbB>

Uma contribuição dada em consulta pública serve para que o avaliador possa conhecer, através da experiência de quem convive com a doença – seja paciente, familiar, profissional da saúde, amigo, ou outras pessoas – realidades e demais informações que não aparecem em dados quantitativos, por exemplo.

É ideal, portanto, que pessoas que já tenham experiência no uso da tecnologia façam suas contribuições com bastante robustez, conforme apresentamos nos capítulos anteriores. Que seja relatado, por exemplo, como era antes do uso da medicação e como é a realidade agora; ou como é a realidade atual que poderia ser impactada positivamente ao fazer uso da tecnologia e demais questões envolvidas como tempo de tratamento, adesão, qualidade de vida, etc. O relato de vida real precisa, em suma, trazer novas evidências que não tenham aparecido na avaliação preliminar e que possam contribuir para a tomada de decisão.

Gráfico 1 – Quantidade de contribuições recebidas no formulário de experiência e opinião em cada consulta pública



FONTE: A AUTORA (OLIVEIRA, VERÔNICA G. S. B; 2022).

Embora as três patologias sejam consideradas raras, nota-se uma expressiva participação social nos formulários de experiência e opinião, comparado a doenças de maior prevalência. O medicamento lumacaftor/ivacaftor para fibrose cística obteve, das seis consultas públicas avaliadas nesta pesquisa, o maior número de contribuições, com 11.916 contribuições. Na sequência, o medicamento ivacaftor, também para fibrose cística, recebeu 10.417 contribuições, seguido do nusinersena para atrofia muscular espinhal, com 5.679 contribuições; ocrelizumabe para esclerose múltipla com 5.411 contribuições. A tecnologia natalizumabe recebeu 619 contribuições e o tetraidrocannabinol, 302 contribuições.

Considerando que esta pesquisa **não objetivou analisar o conteúdo destas contribuições em específico – dado extremamente válido quando falamos de participação social qualificada** – não serão apresentados aqui resultados relativos à qualidade destas contribuições. Contudo, apresentaremos a seguir a justificativa final de não incorporação. As associações precisam acompanhar e entender como se dão estes processos, compreender como deveriam se dar e então cobrar dos executores a realização adequada dos mesmos, o cumprimento das regras e a transparência indispensável no contexto.

O quadro abaixo apresenta a recomendação final da Conitec identificado nos relatórios, bem como a decisão final tomada após a análise das contribuições recebidas nas consultas públicas. É possível identificar justificativas pautadas nas questões de preço, mas também apontando a necessidade de mais estudos, ou ainda afirmando que as contribuições não trouxeram evidências robustas o bastante para que a decisão preliminar fosse alterada. No quadro a seguir é possível também lembrar a justificativa inicial para a recomendação desfavorável, e analisar paralelamente a decisão final:

Quadro 3 – Justificativa final para não incorporação

| Patologia | Tecnologia | Justificativa inicial | Recomendação final da Conitec | Decisão Final |
|---------------------------|---|--|--|--|
| Esclerose Múltipla | Natalizumabe | As evidências de superioridade do medicamento em relação às alternativas disponíveis dizem respeito apenas aos casos de alta atividade da doença. Além disso, levou-se em conta o risco de LEMP atrelado ao uso do natalizumabe, bem como o alto impacto orçamentário da sua possível incorporação. | A recomendação considerou que existe superioridade do natalizumabe para pacientes com alta atividade da doença. Além disso, a proposta de atualização do PCDT da esclerose múltipla aborda essa classificação da doença | Recomendado ampliação de uso |
| Esclerose Múltipla | Ocrelizumabe | Relação custo-efetividade não se mostrou favorável à incorporação do ocrelizumabe para o tratamento da EMRR no SUS. | Principalmente a proposta de custos aproximados entre o ocrelizumabe e natalizumabe, condicionada à isenção de impostos e bonificação de doses do ocrelizumabe. | Não incorporar ao SUS |
| Fibrose Cística | Ivacaftor (Kalydeco®) | Curto tempo de acompanhamento dos pacientes (48 semanas) e o alto custo do medicamento, atendendo pacientes específicos com mutações G551D, acima de 12 anos. Faz-se necessário, também, realizar exames de genotipagem específicos | Estudos apresentados mostraram redução de valores de cloreto no suor e melhora da função pulmonar. Porém, observaram que mais estudos são necessários para estimar o benefício clínico real do medicamento, daí a necessidade de reavaliação em três anos. | Recomendado ampliação de uso |
| Fibrose Cística | Lumacaftor/ Ivacaftor (Orkambi®) | Além do custo elevado do medicamento, acarretando uma razão de custo-efetividade extremamente alta, considerou-se, também, a necessidade de um exame de genotipagem específico. Foram consideradas ainda avaliação de resultados intermédios; pouco tempo de seguimento o que gera incertezas sobre a manutenção do efeito em longo prazo; ausência de critérios de interrupção do medicamento | O Plenário entendeu que os resultados sobre a eficácia do lumacaftor/ivacaftor não foram suficientemente comprovados, assim como o incremento dos custos em relação à sua efetividade e o impacto orçamentário, considerados muito elevados. | Não incorporar ao SUS |
| Esclerose Múltipla | Tetraidrocanabinol 27 mg/ml + canabidiol 25 mg/ml (THC+CBD) | Embora a medicação possa ser considerada segura, o nível de evidência dos desfechos de eficácia é de baixa qualidade, com grau de recomendação fraca a favor da incorporação do medicamento. | Consideraram que não houve evidências adicionais para mudar a recomendação preliminar e que ainda há incertezas sobre a eficácia do fitofármaco. | Não incorporar ao SUS |
| Atrofia Muscular Espinhal | Nusinersena | Consideraram a influência de outras intervenções, como os cuidados fisioterapêuticos e uso de órteses e próteses, por exemplo, nos resultados apresentados pelos pacientes, em comparação aos efeitos do medicamento quando usado isoladamente. Assim, alguns membros consideraram que o uso isolado do nusinersena não traria tantos benefícios a ponto de evitar a progressão da doença e, por isso, o alto custo investido não seria justificável diante dos resultados apresentados. | Entenderam que não houve argumentação suficiente nas contribuições para alterar a recomendação inicial. | Incorporar ao SUS* para AME 5q tipo II Não incorporar ao SUS para AME 5q tipo III |

FONTE: A AUTORA (OLIVEIRA, VERÔNICA G. S. B; 2022).

Em todos estes aspectos, é fundamental que a sociedade civil esteja envolvida. Desde a negociação de preço junto à indústria, dialogando sobre possíveis propostas, demonstrando a realidade do país e de outros países; articulando com sociedades médicas, informando sobre a necessidade da participação em consulta pública representando aquela parcela de pacientes. É fundamental também a participação das associações no preparo da sociedade, dos familiares, dos pacientes para a consulta pública. A associação, portanto, tem papel importante em todas as etapas do processo e deve ocupar este espaço, entendendo como funcionam todos esses processos, se articulando e fazendo cumprir seus direitos.

“Analisando que formamos uma associação civil de doença rara com objetivo de ter melhorias no campo da saúde, como pesquisas, protocolos de atendimento e planos nacionais para as pessoas com determinada doença, nosso papel é fundamental. Por isso a importância crucial, enquanto associação de pacientes, de darmos voz à essa vivência, de levarmos aos tomadores de decisão fatos importantes das mudanças do dia a dia tomando determinada medicação ou a diferença que fará na vida de nossos representados, o uso de determinada tecnologia incorporada. Por isso a importância crucial, enquanto associação de pacientes, de darmos voz à essa vivência, de levarmos aos tomadores de decisão fatos importantes das mudanças do dia a dia tomando determinada medicação ou a diferença que fará na vida de nossos representados, o uso de determinada tecnologia incorporada”.

(Adriane Loper, Instituto Fernando Loper Vasconcellos – AME)

PARTE IV – Breve Relato de Experiência Atuação de Associações de AME e Fibrose Cística

Relato AME – Instituto Fernando Loper Vasconcellos – Por Adriane Loper

Em abril de 2019, O Spinraza® (nusinersena) foi incorporado ao SUS, por recomendação da Conitec, para pacientes com AME 5q tipo I, conforme a Portaria nº 24, de 24 de abril de 2019, a qual estabeleceu a inclusão do medicamento nos moldes tradicionais para o Tipo I. A alegria foi grande, mas, só o tipo I foi contemplado e ainda com muitas restrições. E os outros tipos? E essa quantidade de restrições? Com a negativa para os tipos II e III, inicia-se todo o novo trabalho. Começamos novamente e ainda agravado pela pandemia da Covid-19. Aporrinhamos muito durante 1 ano e 4 meses, mandando ofícios e cobrando de deputados, senadores e até da primeira-dama pedidos da incorporação para tipo II e III.

Precisamos da mobilização da sociedade civil e de diversos profissionais de saúde para sensibilizar e, se não sensibilizar, cobrar providências de nossos governantes. Nova submissão, nova consulta pública, nova mobilização, mais meses e mais algumas grandes vitórias. Pela primeira vez na história da Conitec houve uma **AUDIÊNCIA PÚBLICA**.

A Audiência Pública nº 01/2021 foi realizada no dia 19 de março de 2021, em formato virtual, com a finalidade de ouvir a sociedade acerca do tema para a tomada de decisão. Na ocasião, houve a apresentação de 17 participantes: três representações da indústria farmacêutica, cinco representações de pacientes, quatro representações de profissionais da saúde, uma representação de metodologista, uma representação de gestores do SUS e três representações de pesquisadores, além daqueles que acompanharam a programação ao vivo pelos canais oficiais da Conitec na internet.

E nossa alegria veio, quase depois de 2 meses de espera. Durante a 5ª Reunião Extraordinária da Conitec, realizada nos dias 12 e 13 de maio de 2021, a Conitec deliberou que a recomendação final fosse parcialmente modificada após avaliar as contribuições recebidas na audiência pública! Dessa forma, os membros do Plenário recomendaram a incorporação do nusinersena para o tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo II, com diagnóstico até os 18 meses de idade, conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde; e a não incorporação do nusinersena para tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo III. E agora a nossa luta continua eterna para que seja contemplada para TODOS os tipos de AME! Abaixo alguns exemplos de ações que fizemos durante o processo:

- **Articulação com a farmacêutica para saber quando eles submeteriam o "dossiê" (documentos) que são necessários em um novo processo de avaliação de tecnologia;**

- **Depois da recomendação preliminar, muito trabalho pela consulta pública, recomendação final da Comissão, decisão por parte da SCTIE! Muitos ofícios, sensibilização, conversas, trocas, capacitação. Em junho/2021 Incorporado Tipo II - Desfavorável Tipo III. Em março de 2021, a primeira audiência pública da história da Conitec.**

Associação: Precisamos entender cada passo desse fluxo para poder fazer com que a comunidade entendesse o que aconteceria e como e quando a sociedade por nós representados poderia contribuir. Além de mapear os possíveis gestores, políticos e órgãos governamentais envolvidos que poderiam nos auxiliar nessa caminhada.

É positivo termos um espaço para sermos ouvidos e termos representatividade. Mas, ainda é muito pequena nossa participação, pois estamos falando de pessoas que não escolheram nascer com doenças raras e graves. **E os tomadores de decisão precisam saber que não estão analisando apenas custo-efetividade, mas a diferença de qualidade de vida que essas novas tecnologias podem fazer na vida das pessoas.**

Sugestões de Melhorias para o processo de ATS:

Considero que nossa participação é muito pequena, e no meu entender todas tecnologias avaliadas deveriam envolver em diferentes fases a participação social. As pessoas deveriam fazer parte da transparência do processo até para o esclarecimento em audiências públicas para o melhor entendimento (nesse caso da doença) para todas as partes envolvidas. A consulta pública deveria ter um formato um pouco mais facilitado para que mais pessoas “leigas” conseguissem participar e educação em saúde seria primordial para todos os cidadãos brasileiros entenderem seus direitos e deveres que envolvem esse bem tão precioso chamado saúde.

Relato Fibrose Cística - Unidos pela Vida – Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística – Por Verônica Stasiak Bednarczuk de Oliveira

Em 12 de agosto de 2020 foram abertas as consultas públicas referentes aos medicamentos Kalydeco® (ivacaftor) e Orkambi® (lumacaftor/ivacaftor) no site da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec). As consultas foram iniciadas após a recomendação inicial desfavorável à incorporação realizada durante a 88ª Reunião da Conitec e se encerraram no dia 31 de agosto de 2020.

◆ **Kalydeco®: o pedido de incorporação foi realizado com indicação para pessoas com fibrose cística acima de 6 anos que apresentem uma das seguintes mutações de gating (classe III), G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R.**

◆ **Orkambi®: foi solicitada a incorporação com indicação para pacientes com 6 anos de idade ou mais e que são homocigotos para a mutação Delta F508 no gene CFTR.**

Antes mesmo da realização da 88ª Reunião da Conitec, em que foi apresentada a recomendação inicial desfavorável à incorporação do Kalydeco® (ivacaftor) e Orkambi® (lumacaftor/ivacaftor), iniciamos a divulgação de conteúdos sobre os medicamentos e o processo de incorporação de novas tecnologias no Brasil por meio de textos, podcasts e lives no site e mídias sociais do Instituto Unidos pela Vida. Estes conteúdos objetivavam preparar o público para quando a consulta pública estivesse disponível.

Realizamos transmissões ao vivo em nossa página no Facebook com informações relevantes sobre o desenvolvimento, aprovação e registro de medicamentos, além de abordar o processo de incorporação em nosso país. Enviamos em conjunto com a Associação Brasileira de Assistência à Mucoviscidose (ABRAM), um ofício à Conitec solicitando a participação de representantes das entidades como ouvintes na 88ª Reunião da Comissão. Infelizmente a solicitação foi negada.

Após o resultado da 88ª Reunião da Conitec, produzimos conteúdos visando contextualizar e informar sobre a importância da participação qualificada na consulta pública. Realizamos reuniões virtuais com os presidentes e membros de associações de assistência à fibrose cística de todo o Brasil. Informamos, atualizamos e reforçamos a importância da participação de todos nas consultas públicas de modo qualificado, além de tirar dúvidas e compartilhar resultados.

Considerações Finais

Com o passar dos anos, as associações de pacientes ganharam espaço também graças às suas reivindicações e atuações em todos os processos. Por estarem diretamente conectadas à base, aos familiares, aos pacientes e profissionais da saúde, as associações de assistência à pacientes têm grande compreensão das realidades vividas em cada patologia. Além disso, as associações têm feito parte com cada vez mais competência e conhecimento de todos os processos ligados à ATS.

Vimos também um expressivo avanço nos espaços previstos para a participação social em nosso país – assegurada por lei. Especialmente na Conitec, objeto de estudo deste caderno, pudemos observar a evolução das contribuições de qualidade nas consultas públicas, a implementação do espaço paciente testemunho e da realização da primeira audiência pública da história da Conitec, conforme relatamos aqui também na experiência de AME – Atrofia Muscular Espinhal.

É fato, porém, que ainda há muito por fazer. As associações precisam sempre seguir em constante capacitação e evolução, considerando também as frequentes mudanças em legislação e regulamentação, além da própria Conitec, que ainda precisa evoluir bastante no que tange à transparência, espaços para participação social e também nas metodologias de avaliação das contribuições recebidas nas consultas públicas.

A jornada é longa, mas, é louvável o trabalho que as associações têm feito em prol da defesa e garantia de direitos dos pacientes. Enquanto Unidos pela Vida, nos orgulhamos também de todo trabalho que temos feito com as associações de fibrose cística, com a sociedade médica, com todos os atores envolvidos neste processo. Nem sempre é possível reverter decisões iniciais desfavoráveis, nem sempre conseguimos que o resultado seja positivo para todos, mas, seguimos nos capacitando, nos desenvolvendo e replicando conhecimentos para contribuir com a evolução da jornada das demais associações de pacientes do país, que fazem um belíssimo trabalho de representatividade de seus pacientes.

FORTALEÇA UMA DAS 10 MELHORES ONGS DE PEQUENO PORTE DO BRASIL EM 2021!



Faça uma doação em unidospela vida.org.br/doe
ou escaneando o QRCode ao lado.

DADOS PARA DOAÇÃO:

TRANSFERÊNCIA BANCÁRIA: Instituto Unidos pela Vida
BANCO ITAÚ (341)

Agência: 1568 Conta Corrente: 25203-3

CNPJ: 14.850.355/0001-84 (também é a chave PIX)

Entre em contato conosco:

 WWW.UNIDOSPELAVIDA.ORG.BR  (41) 99636-9493

 CONTATO@UNIDOSPELAVIDA.ORG.BR

 [@UNIDOSPELAVIDA](https://www.facebook.com/UNIDOSPELAVIDA)

 [@INSTITUTOUNIDOSPELAVIDA](https://www.instagram.com/INSTITUTOUNIDOSPELAVIDA)

 [@UNIDOSPELAVIDA](https://twitter.com/UNIDOSPELAVIDA)

 [INSTITUTO UNIDOS PELA VIDA](https://open.spotify.com/track/INSTITUTO%20UNIDOS%20PELA%20VIDA)

 [@INSTITUTOUNIDOSPELAVIDAFIBROSECISTICA](https://www.youtube.com/channel/UCINSTITUTOUNIDOSPELAVIDAFIBROSECISTICA)

 [LINKEDIN.COM/COMPANY/UNIDOSPELAVIDA](https://www.linkedin.com/company/UNIDOSPELAVIDA)

 [UNIDOS PELA VIDA](https://www.tiktok.com/@UNIDOSPELAVIDA)



Unidos pela Vida

Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística

Diagramação:

 CONTEGIA
AGÊNCIA

ISBN: 978-65-999475-0-6

