

Implementação de modelos de compartilhamento de risco (*risk sharing*) no acesso ao tratamento de doenças raras: uma revisão integrativa

Giovanna Renelo PUOPOLO
Jaqueline Vilela BULGARELI

Recebido: 29 maio 2023

Aceito: 30 maio 2023

Autor de correspondência

Giovanna Renelo Puopolo
giovanna_puopolo@hotmail.com

Universidade de São Paulo – USP, Faculdade de Saúde Pública – FSP, Curso de Economia e Gestão em Saúde. São Paulo, SP, Brasil. ORCID: <https://orcid.org/0009-0009-2244-8520>
Universidade Federal de Uberlândia – UFU, Faculdade de Odontologia – FO. Uberlândia, MG, Brasil. ORCID: <https://orcid.org/0000-0002-5632-4333>

Como citar: Puopolo GR,

Bulgareli JV.

Implementação de modelos de compartilhamento de risco (*risk sharing*) no acesso ao tratamento de doenças raras: uma revisão integrativa

J Manag Prim Health Care. 2023;15:e002. <https://doi.org/10.14295/jmp hc.v15.1336>

Conflito de interesses:

Os autores declaram não haver nenhum interesse profissional ou pessoal que possa gerar conflito de interesses em relação a este manuscrito.

Copyright: Este é um artigo de acesso aberto, distribuído sob os termos da Licença Creative Commons (CC-BY-NC). Esta licença permite que outros distribuam, remixem, adaptem e criem a partir do seu trabalho, mesmo para fins comerciais, desde que lhe atribuam o devido crédito pela criação original.



Resumo

Segundo o critério estabelecido pela Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, doença rara é uma patologia que acomete até 65 para cada 100 mil indivíduos. No Brasil, acometem cerca de 13 milhões de pessoas e estima-se a existência de até oito mil doenças raras em todo o mundo. Uma vez que não se conhece a fundo sobre suas causas, e terapias eficazes ainda são limitadas, muitas vezes também são chamadas de doenças “órfãs”. Nas últimas décadas, o desenvolvimento tecnológico vem trazendo a possibilidade de tratamento de muitas doenças raras, com o desenvolvimento e aprovação de novos medicamentos. Estes, muitas vezes, são únicos para o tratamento de determinada patologia, considerados como drogas órfãs, e apresentam-se com valores exorbitantes no mercado. Além dos custos envolvidos, a adoção de uma nova tecnologia pode trazer diversas incertezas, principalmente quando a evidência na literatura é escassa, como no caso das doenças raras. Em um processo padrão de Avaliação de Tecnologia em Saúde – ATS, que utilizam evidências clínicas disponíveis somadas a uma análise econômica, os medicamentos órfãos geralmente não se mostram custo-efetivos e apresentam um impacto orçamentário significativo para os sistemas de saúde. O compartilhamento de risco, ou *risk sharing*, é uma das medidas mais comumente utilizadas para a entrada gerenciada ou condicional de um medicamento, visando dividir o financiamento do tratamento entre fabricante e sistema de saúde. Segundo o *Health Technology Assessment International* – HTAi, o compartilhamento de risco é definido como “um acordo entre o produtor/fabricante e o pagador/prestador que permite o acesso a uma tecnologia em saúde mediante determinadas condições. Estes acordos poderão usar uma variedade de mecanismos para endereçar a incerteza sobre a performance de tecnologias ou para gerir a adoção de tecnologias de forma a maximizar o seu uso efetivo ou a limitar o seu impacto orçamental”. Este estudo visa identificar as barreiras de acesso ao tratamento para as doenças raras e mapear os tipos de modelos de compartilhamento de risco existentes, podendo, assim, discutir sobre os aprendizados e a importância desses modelos na expansão do acesso ao tratamento de doenças raras no Brasil e no mundo. A metodologia utilizada foi a de revisão sistematizada integrativa da literatura em que foram escolhidos descritores e definidas as estratégias de busca para responder à pergunta de pesquisa: “O que a literatura científica apresenta sobre a implementação de modelos de compartilhamento de risco (*risk sharing*) no acesso ao tratamento de doenças raras no Brasil e no mundo?”. Para a revisão da literatura, foram escolhidas quatro bases de dados: Biblioteca Virtual em Saúde – BVS; Embase; Pubmed; e

Scopus. Com base na pergunta de pesquisa e no objetivo do estudo, foram identificados polos orientadores e selecionados descritores, através da plataforma Descritores em Ciência da Saúde, como palavras-chave para a busca sistematizada na literatura. Os polos foram definidos em: 1) Fenômeno: Modelos de compartilhamento de risco; 2) População: Doenças Raras; 3) Contexto: Acesso ao tratamento. A escolha por utilizar quatro bases de dados e os descritores de forma abrangente e não restrita deu-se pela complexidade do tema e a fim de garantir a amplitude necessária. Foram incluídos artigos completos que agregavam à pergunta de pesquisa em português, inglês ou espanhol. Foram excluídos ensaios pré-clínicos ou clínicos, estudos de preferências de pacientes ou análise multicritério e outras categorias de documentos. Foram encontradas 1.314 publicações através das buscas nas quatro bases, sendo excluídas 149 duplicatas. Após a leitura dos títulos, resumos e artigos completos, das 1.165 publicações restantes, considerando os critérios de inclusão e exclusão, 14 artigos foram incluídos e sintetizados. Em análise preliminar, pode-se notar que é um tema ainda recente e em constante discussão. O artigo mais antigo é do ano de 2013 e o mais recente de 2023. Os estudos abordaram a perspectiva de diversos países, englobando Europa, Américas, Ásia e Oceania, com perspectiva dos sistemas de saúde público e privado. A maioria dos artigos abordaram as doenças raras e medicamentos órfãos de forma ampla e generalizada, apenas um sendo descrito a nível de medicamento, o nursinersena para Atrofia Muscular Espinhal. Os autores, em consonância entre si, destacam as principais barreiras de acesso que levaram à implementação dos modelos de compartilhamento de risco, sendo: o alto custo de tratamento, gerando um alto impacto orçamentário para o sistema de saúde; e a incerteza em relação às evidências clínicas. Entre os modelos de compartilhamento de risco, a maior parte dos estudos trazem modelos tanto com base financeira, quanto baseados nos desfechos dos medicamentos. De forma geral, os autores entendem que a implementação destes modelos amplia o acesso a tecnologias que provavelmente não seriam disponibilizadas aos pacientes. O uso de modelos que visam a entrada gerenciada aumentou significativamente as chances de uma decisão positiva de reembolso. Apesar de ainda ser um tema recente, os autores demonstram aprendizados importantes sobre os desafios desta implementação, principalmente no que tange à falta de transparência na tomada de decisões, uma vez que normalmente são realizadas sob acordos de confidencialidade. A falta de publicidade dos dados limita a criação de *benchmarks* ou troca de boas práticas entre os países. Além disso, muitas vezes as estratégias são aplicadas de forma heterogênea, mesmo que para um mesmo medicamento, o que pode resultar em falta de equidade no acesso aos medicamentos órfãos entre os países e dentro deles. Por fim, conclui-se que a implementação de modelos de compartilhamento de risco é uma forma de minimizar as barreiras de impacto financeiro e de incertezas em relação à efetividade do medicamento, podendo, assim, expandir o acesso aos tratamentos para as doenças raras no Brasil e no mundo. Pela importância e complexidade do tema, a transparência e troca de experiências entre os países são fundamentais para a criação de políticas e diretrizes que tornem o processo mais conforme e efetivo na expansão do acesso.

Descritores: Participação no Risco Financeiro; Custos de Medicamentos; Doenças Raras; Acesso aos Serviços de Saúde.

Descriptor: Prorrato de Riesgo Financiero; Costos de los Medicamentos; Enfermedades Raras; Accesibilidad a los Servicios de Salud.

Descriptors: Risk Sharing, Financial; Drug Costs; Rare Diseases; Health Services Accessibility.