

TALITA CAVALCANTE ARRUDA DE MORAIS

**ANÁLISE DA PARTICIPAÇÃO DO PACIENTE NA AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIA
EM SAÚDE SOB A ÓTICA DOS DIREITOS HUMANOS DO PACIENTE**

Brasília, 2023

**UNIVERSIDADE DE BRASÍLIA
FACULDADE DE CIÊNCIAS DA SAÚDE
PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM BIOÉTICA**

TALITA CAVALCANTE ARRUDA DE MORAIS

**ANÁLISE DA PARTICIPAÇÃO DO PACIENTE NA AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIA
EM SAÚDE SOB A ÓTICA DOS DIREITOS HUMANOS DO PACIENTE**

Tese apresentada como requisito parcial para a obtenção do título de Doutora em Bioética pelo Programa de Pós-Graduação em Bioética da Universidade Faculdade de Ciências da Saúde da Universidade de Brasília.
Orientadora: Prof^a. Dra. Aline Albuquerque Sant'Anna de Oliveira

BRASÍLIA DF
2023

TALITA CAVALCANTE ARRUDA DE MORAIS

**ANÁLISE DA PARTICIPAÇÃO DO PACIENTE NA AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIA
EM SAÚDE SOB A ÓTICA DOS DIREITOS HUMANOS DO PACIENTE**

Tese apresentada como requisito parcial para a
obtenção do título de Doutora em Bioética pelo
Programa de Pós-Graduação em Bioética da
Universidade Faculdade de Ciências da Saúde da
Universidade de Brasília.

BANCA EXAMINADORA

Profa. Dra. Aline Albuquerque Sant'Anna de Oliveira – (Orientadora e Presidente)
Universidade de Brasília

Profa. Dra. Aline Silveira Silva
Universidade da Colúmbia Britânica (UBC)

Prof. Dr. Pedro Sadi Monteiro
Universidade de Brasília

Profa. Dra. Kátia Torres Batista
Universidade de Brasília

Profa. Dra. Marianna Assunção Figueiredo Holanda (Suplente)
Universidade de Brasília

Brasília, dezembro de 2023

Ao meu esposo, Marcos Antonio dos Santos.

AGRADECIMENTOS

Agradeço enormemente à minha orientadora, Prof^a Dra. Aline, pela sua orientação, paciência, amizade, generosidade, pelo exemplo de luta e dedicação na defesa dos Direitos Humanos.

Agradeço aos membros da banca pela participação e contribuições no aprimoramento do trabalho.

Agradeço ao Programa de Pós-Graduação em Bioética, à Cátedra UNESCO de Bioética da UnB, e aos servidores da Secretaria de Pós-Graduação da Faculdade de ciência das Saúde.

Aos amigos, colegas e professores do Programa de Pós-Graduação em Bioética, com os quais tive o prazer de conviver durante essa jornada.

Ao meu esposo, Marcos Antonio dos Santos, que muito me incentivou para a realização deste trabalho.

Aos amigos e familiares pela torcida e apoio durante esta trajetória, especialmente aos meus pais, Adauto Arruda de Moraes e Ana Lúcia Cavalcante, aos meus irmãos, sobrinhos e tia.

"O crescimento econômico sem investimento no desenvolvimento humano é insustentável - e antiético."

(Amartya Sen)

RESUMO

A Avaliação de Tecnologias em Saúde consiste em um processo multidisciplinar que determina o valor de uma tecnologia em saúde com o objetivo de informar a tomada de decisão para a formulação de políticas de saúde seguras, eficazes e focadas no paciente determinando quais intervenções devem ser disponibilizadas à população de forma racional, promovendo um sistema de saúde equitativo, eficiente e de qualidade. A participação do paciente na ATS contribui para soluções mais eficientes na distribuição dos recursos escassos em saúde e cuidados de melhor qualidade; legitimando, democratizando e tornando o processo mais transparente. O direito à participação do paciente na esfera da saúde é decorrente do direito humano à saúde e requer dos Estados a implementação de diversos mecanismos para possibilitá-la. Os Direitos Humanos do Paciente se referem à aplicação dos direitos humanos a todos os indivíduos submetidos a cuidados em saúde, tais como: direito à vida; à informação; à saúde, à participação na política pública etc. Examinando fatores sistemáticos e responsabilidades do Estado na prestação de cuidados em saúde, o referencial dos DHP é concebido como ferramenta de análise bioética apta a concorrer para o exame e solução de questões relacionadas aos cuidados em saúde. Como os pacientes têm o direito de participar do planejamento e prestação de seus cuidados de saúde, e o processo de ATS determina quais bens e serviços de saúde lhes serão disponibilizados, segue-se que os pacientes têm o direito de serem ouvidos como parte do processo de ATS. Esta tese, com base na utilização dos DHP como referencial ético comprometido com a proteção e promoção dos direitos dos pacientes, apresenta como contribuição elementos para se discutir a participação do paciente na modalidade Perspectiva do Paciente na ATS no SUS pela Conitec. Para tanto, realizaram-se análises de documentos disponibilizados pela Conitec sobre o processo de participação e avaliação da Perspectiva do Paciente no período de dezembro de 2020 a dezembro de 2022 sobre doenças raras ou ultrarraras na incorporação tecnológica em saúde. Apesar de alguns desafios estarem presentes na implementação da Perspectiva do Paciente como forma de participação ativa, efetiva e direta dos pacientes e seus *inputs* na ATS, entende-se que sua utilização pode ser aprimorada a partir de reflexões dos elementos constituintes dos DHP contribuindo para instituir um processo de avaliação mais legítimo e democrático, além de políticas públicas adequadas e uma cultura organizacional pautada pelos direitos humanos.

Palavras-chave: Avaliação de Tecnologias em Saúde; Participação do Paciente; Direitos Humanos; Direito à saúde; Direito à participação; Direitos Humanos dos Pacientes; Bioética; Doenças Raras.

ABSTRACT

Health Technology Assessment consists of a multidisciplinary process that determines the value of a health technology with the aim of informing decision-making for the formulation of safe, effective, and patient-focused health policies by determining which interventions should be made available to the population in a rational way, promoting an equitable, efficient and quality healthcare system. Patient participation in HTA contributes to more efficient solutions in the distribution of scarce health resources and better-quality care; legitimizing, democratizing, and making the process more transparent. The patient's right to participation in the health sphere derives from the human right to health and requires States to implement various mechanisms to make it possible. The Patients' Human Rights refer to the application of human rights to all individuals undergoing health care, such as: the right to life; the information; health, participation in public policy, etc. Examining systematic factors and State responsibilities in the provision of health care, the Patients' Human Rights framework is designed as a bioethical analysis tool capable of contributing to the examination and solution of issues related to health care. Because patients have the right to participate in the planning and delivery of their health care, and the HTA process determines what health goods and services will be made available to them, it follows that patients have the right to be heard as part of the process of HTA. This thesis, based on the use of Patients' Human Rights as an ethical reference committed to the protection and promotion of patients' rights, presents as a contribution element to discuss patient participation in the patient perspective modality in HTA in Brazil Unified Health System by Conitec. To this end, analyses of documents made available by Conitec were carried out on the process of participation and evaluation of the Patient's Perspective from December 2020 to December 2022 in the incorporation of health technology on rare or ultra-rare diseases. Although some challenges are present in implementing the Patient's Perspective as a form of active, effective and direct participation of patients and their inputs in HTA, it is understood that its use can be improved based on reflections of the elements that constitute the Patients' Human Rights, contributing to establishing a more legitimate and democratic evaluation process, in addition to adequate public policies and an organizational culture guided by human rights.

Key words: Health Technology Assessment; Patient Participation; Human Rights; Right to health; Right to participation; Patients' Human Rights; Bioethics; Rare diseases.

LISTA DE QUADROS E TABELAS

Figura 1: Proporção dos tipos de tecnologias em relação as demandas nos anos de 2012 a 2022	46
Figura 2: Relação demandantes internos e externos anos 2012 a 2022	47
Figura 3: Tipos de recomendações da Conitec entre os anos de 2012 e 2022	47
Figura 4: Fluxo de incorporação de tecnologias na CONITEC	51

LISTA DE ABREVIATURAS DE SIGLAS

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

Anvisa – Agência Nacional de Vigilância Sanitária

ATS – Avaliação Tecnológica em Saúde

CF - Constituição Federal de 1988

CMED - Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos

CNJ – Conselho Nacional de Justiça

CNS – Conselho Nacional de Saúde

CONASEMS - Conselho Nacional de Secretarias Municipais de Saúde

CONASS - Conselho Nacional de Secretários de Saúde

Conitec – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde

DHP – Direitos Humanos dos Pacientes

DUDH - Declaração Universal dos Direitos Humanos

DUBDH – Declaração Universal sobre Bioética e Direitos Humanos

EUnetHTA - European Network for Health Technology Assessment

HTAi – Health Technology Assessment International

INAHTA - International Network of Agencies for Health Technology Assessment

MBE – Medicina Baseada em Evidências

MS – Ministério da Saúde

NICE – National Institute for Health and Care Excellence

NHS – National Health Service

OMS – Organização Mundial da Saúde

ONU – Organização das Nações Unidas

PBE – Práticas Baseadas em Evidência

PIDESC - Pacto Internacional sobre Direitos Econômicos, Sociais e Culturais

Sectics - Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde

SUS – Sistema Único de Saúde

SUMÁRIO

INTRODUÇÃO	11
1 AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS EM SAÚDE: DEMARCAÇÃO CONTEXTUAL E CONCEITUAL	20
1.1 PANORAMA GERAL DO SURGIMENTO DA ATS	20
1.2 A ATS NO ÂMBITO DA OMS.....	26
1.3 CONCEITO DE ATS	28
1.4 AS AGÊNCIAS DE ATS.....	34
2 AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIA EM SAÚDE NO BRASIL	39
2.1 INSTITUCIONALIZAÇÃO DA ATS NO BRASIL	39
2.2 COMPOSIÇÃO DA CONITEC E FLUXO DA ATS.....	48
2.3 A PARTICIPAÇÃO SOCIAL NO PROCESSO DE ATS	52
3 A PARTICIPAÇÃO SOCIAL DO PACIENTE NA ATS	55
3.1 ASPECTOS GERAIS DA PARTICIPAÇÃO DO PACIENTE NA ATS	55
3.2 EVIDÊNCIA BASEADA NO PACIENTE	60
3.3 TOKENISMO E SUA MANIFESTAÇÃO NA ATS	64
3.4 LIMITAÇÕES E PROMOTORES DA IMPLEMENTAÇÃO DA PARTICIPAÇÃO DO PACIENTE NA ATS	67
4 DIREITOS HUMANOS DOS PACIENTES	72
4.1 DIREITO INTERNACIONAL DOS DIREITOS HUMANOS	72
4.2 BIOÉTICA E DIREITOS HUMANOS	75
4.3 DIREITOS HUMANOS DOS PACIENTES.....	77
4.4 PARTICIPAÇÃO DO PACIENTE NA ATS COMO DIREITO HUMANO DO PACIENTE.....	80
5 MÉTODOS	86
5.1 RECORTE TEMPORAL E TEMÁTICO.....	86
5.2 ANÁLISE DOCUMENTAL.....	88
5.3 ANÁLISE DO CONTEÚDO DA PERSPECTIVA DO PACIENTE	89
6 RESULTADOS	92
6.1 ANÁLISE DOCUMENTAL.....	92
6.2 ANÁLISE DO CONTEÚDO DA PERSPECTIVA DO PACIENTE	94
7 DISCUSSÃO	97
7.1 CONDIÇÕES PARA O EXERCÍCIO DO DIREITO À PARTICIPAÇÃO DO PACIENTE	98
7.2 EFETIVAÇÃO DO DIREITO À PARTICIPAÇÃO EM ATS	99
7.3 RESPONSABILIDADE DO ESTADO.	102
7.4 RECOMENDAÇÕES NA CONDUÇÃO DA PERSPECTIVA DO PACIENTE.....	106
8 CONSIDERAÇÕES FINAIS	108

REFERÊNCIAS	112
APÊNDICE A - ANÁLISE DOCUMENTAL RELATÓRIOS.....	121
APÊNDICE B - ANÁLISE DOCUMENTAL GRAVAÇÕES	127
ANEXO - FORMULÁRIO EXPERIÊNCIA OU OPINIÃO	136

INTRODUÇÃO

O aumento da qualidade de vida da população e a queda na mortalidade nas últimas décadas foram resultados do desenvolvimento tecnológico que engloba a produção e a incorporação de tecnologias nos sistemas de saúde de naturezas preventivas, diagnósticas e terapêuticas (1). Por outro lado, as multiplicações de alternativas disponibilizadas no mercado para os cuidados em saúde geraram desafios gerenciais sobre quais tecnologias financiar e disponibilizar à sociedade, sobretudo em um contexto de constante aumento dos custos com o setor saúde e de limitação de recursos (2). É neste cenário que a Avaliação Tecnológica em Saúde (ATS) se destaca como importante ferramenta para a tomada de decisão sobre tecnologias em todo o mundo com a finalidade de atender às necessidades e expectativas de saúde dos usuários e dos pacientes.

Segundo a *International Network of Agencies for Health Technology Assessment* (INAHTA)¹, a ATS consiste em um processo multidisciplinar que determina o valor de uma tecnologia em saúde com o objetivo de informar a tomada de decisão utilizando métodos avaliatórios explícitos para promover um sistema de saúde equitativo, eficiente e de alta qualidade (3). Embasada na pesquisa e no método científico, a ATS é alicerce para formulação de políticas de saúde seguras, eficazes, focadas no paciente e que busquem alcançar o melhor valor, determinando quais intervenções, independentemente de sua natureza, devem ser disponibilizadas para grupos específicos de pacientes de forma racional e eficiente (4). As agências de ATS² são as responsáveis por essas avaliações, revendo e provendo evidências do valor que as tecnologias podem agregar aos pacientes e seus familiares, aos gestores de saúde e a comunidade em geral. A extensão e o poder de atuação das agências variam de acordo com a forma em que elas se inserem nos sistemas de saúde, em nível local, regional, nacional ou internacional, bem como dos recursos humanos, financeiros e estrutura organizacional que dispõem (5). Apesar de os países utilizarem métodos diferentes de ATS, todos eles avaliam a eficácia clínica de uma

¹ Relevante rede internacional composta por 53 agências de ATS localizadas em 33 países que apoiam as tomadas de decisões dos sistemas de saúde.

² Qualificam-se como agências de ATS todos os órgãos, agências, Comissões e entidades dos Estados responsáveis pela ATS.

tecnologia comparando as evidências clínicas de ensaios internacionais com as disponíveis em seus respectivos sistemas de saúde locais. Aspectos econômicos como custo-benefício e impacto orçamentário também são avaliados pelas agências de ATS. Contudo, análises sociais, legais, éticas, aspectos organizacionais ou do paciente não são tão abordados nos processos de ATS (6).

No Brasil, é a Comissão Nacional de Incorporação Tecnologias de Saúde no Sistema Único de Saúde (Conitec) que realiza a ATS no setor público. No setor privado essa função fica a cargo da Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS). Devido ao seu papel no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e, particularmente, na participação social dos pacientes no Brasil, a Conitec será objeto de análise desta tese. Desde 2011, legislações e atos normativos foram editados trazendo transformações na incorporação, exclusão e alteração de tecnologias no SUS (7-11). Evidências científicas, estudos de avaliação econômica, contribuições recebidas em consultas públicas e audiências públicas, quando aplicável, juntamente com outros aspectos relacionados à ATS, influenciam o relatório técnico com a recomendação final da Conitec. O documento é, então, encaminhado ao Secretário de Ciência, Tecnologia e Inovação e Complexo da Saúde (Sectics) que decide se a tecnologia será incorporada ao SUS (4). É o processo administrativo conduzido pela Conitec que repercute na cobertura efetiva de ações, serviços, medicamentos e procedimentos ofertados à população, o que inclui as tecnologias para os cuidados dos pacientes com doenças raras e ultrarraras.

Constata-se que a análise realizada nos processos de decisão não tem apenas natureza científica, ou seja, também se fundamenta em valores legais e sociais, portanto, é imprescindível que a tomada de decisão seja apoiada na participação de várias partes interessadas (12, 13). Assim, é eticamente defensável que os pacientes diretamente afetados pelas decisões das agências de ATS estejam de modo direto incluídos no processo de tomada de decisão. Comumente, os interesses dos tomadores de decisão ou *stakeholders* divergem dos interesses dos pacientes, ou seja, das preferências, preocupações e expectativas que cada paciente aporta e as quais devem ser integradas nas decisões referentes à ATS se elas tendem a servir o paciente (14).

Ademais de eticamente defensável, compreende-se do conceito de participação social, que a participação do paciente na ATS na Conitec está amparada por instrumentos normativos e legais que a concebem como um direito humano. De

acordo com o artigo 27 da Declaração Universal de Direitos Humanos de 1948 (DUDH), todo ser humano tem o direito de participar livremente da vida cultural da comunidade, de fruir as artes e de participar do progresso científico e de seus benefícios. O artigo 25 do Pacto Internacional sobre Direitos Civis e Políticos de 1976 dispõe sobre o direito à participação na condução dos assuntos público para que os cidadãos estejam significativamente incluídos no desenvolvimento civil, político, econômico, social e cultural.

O direito à saúde consta no artigo 25 da DUDH, no artigo 12 do Pacto Internacional dos Direitos Econômicos, Sociais e Culturais (PIDESC) de 1966, na Declaração de Alma-Ata de 1978, no comentário Geral n.14 do Comitê sobre Direitos Econômicos, sociais e Culturais de 2000 e instituído no artigo 196 da CF como direito de todos e dever do Estado. A participação social do paciente na condução da política de saúde é decorrente do direito humano à saúde e do direito humano à participação na condução dos assuntos público. Ocorre que os direitos humanos aplicados na esfera dos cuidados em saúde são Direitos Humanos dos Pacientes (DHP). O referencial dos DHP será abordado no capítulo 4. Como os pacientes têm o direito de participar do planejamento e prestação de seus cuidados de saúde, e o processo de ATS tem o papel fundamental de determinar quais bens e serviços de saúde lhes serão disponibilizados, segue-se que os pacientes têm o direito de serem ouvidos como parte do processo de ATS pela Conitec constituindo elemento indispensável para concretização do direito humano à saúde.

A participação do paciente na condução da ATS é reconhecida pela INAHTA como elemento importante e valioso, pois por meio dela os pacientes podem ajudar a definir quais medicamentos e serviços de saúde o governo deverá prover à população; intervir nas formas de condução da ATS pelas agências como meio de alcançar decisões transparentes, informadas, responsáveis e legítimas; além de tornar os relatórios de ATS mais relevantes e alinhados a suas necessidades e preferências (3, 15). Como beneficiários diretos das tecnologias em saúde e detentores de conhecimento experiencial, os pacientes podem fornecer informações valiosas sobre uma condição específica de saúde, benefícios e desvantagens da tecnologia em análise, estado dos bens e prestação dos serviços de cuidados em saúde, possibilitando uma avaliação mais precisa do valor das tecnologias. Ainda de acordo com a literatura, a integração das preferências dos pacientes na ATS é mais significativa quando envolve doenças raras ou ultrarraras, pois dificilmente há um

tratamento considerado superior, há muitas incertezas dos resultados, são poucos os benefícios de desfechos duros, não há muitas alternativas terapêuticas e os pacientes poderiam se beneficiar precocemente com a ATS (16, 17).

Em que pese a legitimidade da participação do paciente na ATS - argumentada em diversos saberes da bioética, da filosofia, da ciência política e das ciências sociais (18) - e o reconhecimento crescente de sua necessidade e benefícios dela advindos, a participação do paciente ainda encontra enormes desafios metodológicos, processuais, normativos, práticos e conceituais (16, 19-22).

No âmbito da Conitec, o paciente pode se envolver em algumas etapas da ATS para a incorporação de tecnologias: demanda pela avaliação, consultas públicas e audiências públicas (23). Na mesma direção que agências de ATS de outros países, a Conitec vem agregando a participação do paciente nos Comitês por meio da “Perspectiva do Paciente” no intuito de proporcionar à Conitec a visão do paciente ao relatar suas experiências com a condição de saúde ou com a tecnologia em avaliação (7). O mecanismo será objeto de análise nesta tese.

Destaca-se que há um vazio na demonstração dos resultados e na compreensão da aplicação das contribuições dos pacientes. Reside uma grande dificuldade de avaliar a efetividade da participação, ou seja, mensurar e analisar o impacto e poder deliberativo dessa participação nas decisões finais da Conitec com poucas pesquisas conduzidas neste sentido. A maioria delas se baseia em métodos de coleta e consulta de dados e no relato de pesquisas com pacientes em reuniões de conselhos e comitês por meio de entrevistas diretas ou observacionais (24). Silva e colaboradores (2019) relataram que, em alguns casos, as considerações recebidas durante as consultas públicas influenciaram a tomada de decisão da Conitec alterando a recomendação inicial após recebimento de novas evidências científicas, propostas de preços, necessidades e preferências de pacientes não incluídas nos desfechos previamente definidos. Além disso, as autoras destacam a falta de modelos para guiar a avaliação em relação à qualidade e ao conteúdo das consultas públicas (25). No mesmo sentido, Lopes, Novaes e Soárez (2020) e Vieira, Piola e Servo (2022) apontam para uma permeabilidade institucional à intensidade da participação social de atores interessados com mudanças do posicionamento inicial da Conitec após as consultas públicas (26, 27). Caetano, Hauegen e Osório-de-Castro (2019) manifestam preocupação com o fato de que a recomendação para a incorporação do medicamento Nusinersena, na ocasião o mais caro do mundo para tratamento da

atrofia muscular espinhal (doença rara), se deu por decisão política, uma vez que a consulta pública não aportou novas evidências científicas que justificassem a mudança do primeiro posicionamento inicial da Conitec desfavorável à incorporação (28).

Reiterando estudo anterior sobre a indefinição a respeito das formas como os gestores incluem as contribuições da sociedade em seus processos decisórios (26), Oliveira e Eler (2022) descrevem que não está claro para os pacientes como as informações que eles oferecem nas consultas públicas, enquetes ou audiências públicas são consideradas e quais pesos lhes são atribuídas nas deliberações da Conitec. Segundo as autoras, ainda é incipiente a inserção da perspectiva dos pacientes na Conitec como agentes efetivamente com poderes para tomada de decisão. Malgrado o consenso internacional sobre a importância da participação dos pacientes nos processos decisórios, a consideração dos seus *inputs* como evidência de valor equivalente às demais evidências clínicas e econômicas não é aplicada no contexto brasileiro. Outro problema registrado pelas autoras foi a presença do “tokenismo”, que poderia ser descrito como desconsideração ou desprestígio da participação social ou não proporcionalizar meios para que ela ocorra eficazmente (29). Estudos argumentam que a crescente participação dos grupos de pacientes na ATS não necessariamente levam à sua efetividade política, constituindo mero cumprimento protocolar ou usadas para legitimar as decisões já tomadas pelas elites (30, 31). A ausência de *feedback* pelos tomadores de decisão ou outros métodos consultivos unidirecionais de participação social; a rara presença ou a ausência dos pacientes diretamente envolvidos no processo de ATS ocupando uma posição periférica; a participação tardia no processo para fazer uma real diferença; a falta de suporte para os pacientes; a percepção da presença deles como incômoda ou irrelevante são manifestações do tokenismo (32-35).

Portanto, destacam-se a ausência de métodos sistemáticos e objetivos para avaliar as iniciativas de participação social implementadas e seus impactos na ATS. As dificuldades para determinar meios eficazes para envolver os pacientes e avaliar o impacto de sua participação são compartilhadas com diversas agências de ATS espalhadas pelo mundo (21, 22, 36-38).

Diante do exposto, enuncia-se que o objetivo geral desta tese é analisar, à luz dos DHP, o processo de participação do paciente na ATS sobre incorporação tecnológica na modalidade “Perspectiva do Paciente” nas reuniões de apreciação

inicial das tecnologias sobre medicamentos para tratamento de doenças raras ou ultrarraras na Conitec protocoladas no período de dezembro de 2020 a dezembro de 2022. A justificativa para o recorte temporal e temático estão expostas no capítulo 5 Métodos. Os objetivos específicos são: realizar descrição demográfica dos pacientes participantes; compreender os critérios de avaliação da perspectiva dos pacientes pela Conitec; correlacionar a influência das contribuições dos pacientes nas recomendações finais da Conitec sobre incorporações; contribuir com recomendações na condução da Perspectiva do Paciente pela Conitec.

Para tanto, a pesquisa adotou métodos mistos e foi dividida em duas fases: 1) pesquisa documental e 2) análise do conteúdo.

Originados nas ciências sociais e recentemente expandido para as ciências da saúde, os métodos mistos se referem a uma metodologia emergente de investigação que promove a integração sistemática de dados quantitativos e qualitativos numa única investigação. Tal integração permite uma utilização mais completa e sinérgica dos dados enfatizando cuidados centrados no paciente (39).

A primeira fase da metodologia analisou os vídeos, relatórios para a sociedade e os relatórios finais de recomendação da Conitec sobre doenças raras no site da Conitec de dezembro de 2020 a dezembro de 2022. A segunda fase foi a análise do conteúdo das Perspectiva dos Pacientes tendo como parâmetro as perguntas do formulário de Contribuição intitulado “Formulário de Experiência ou Opinião” utilizado para as consultas públicas e disponibilizado no site da Conitec. A análise da Perspectiva do Paciente sob uma abordagem instrumental está baseada, sobretudo, na proeminência do trabalho de Laurence Bardin (41, 42). A metodologia está detalhada em capítulo à parte.

A partir dos resultados observados nas fases anteriores e sob a ótica dos DHP, são apresentadas recomendações na condução da Perspectiva do Paciente pela Conitec.

Adota-se como referencial teórico os DHP. Enquanto ramo do Direito Internacional dos Direitos Humanos, os DHP referem-se à aplicação dos direitos humanos a todos os indivíduos submetidos a cuidados em saúde. O referencial, que abarca os instrumentos normativos no âmbito internacional e a jurisprudencial internacional constituída pelas decisões dos órgãos de monitoramento dos direitos humanos da ONU e dos Sistemas Europeu, Interamericano e Africano dos Direitos Humanos, é fruto da resposta da comunidade internacional frente a gama de violações

de direitos humanos ocorridas nos contextos de cuidados em saúde. Os DHP aludem a todos os pacientes, traduzindo uma relação de titularidade de direito humano que não se limitam a um grupo particular de pessoas (43). Ele examina fatores sistemáticos e responsabilidades do Estado na prestação de cuidados em saúde que vão além da relação individual entre paciente e profissional, pois partem da perspectiva que os bens e serviços em saúde são elementos constituintes do direito humano à saúde (44). Para superar o modelo de uma ética biomédica, os DHP se estruturam em uma visão holística do paciente nos cuidados em saúde, reconhecem a relação essencialmente de poder entre o profissional de saúde e o paciente, adotam os princípios do cuidado centrado no paciente, da dignidade humana, da autonomia relacional e da responsabilidade do paciente (43, 45).

O direito à vida; o direito a não ser submetido à tortura nem a penas ou tratamentos cruéis, desumanos ou degradantes; o direito ao respeito à vida privada; o direito à liberdade e à segurança pessoal; o direito à informação; o direito de não ser discriminado; o direito à saúde e o direito à participação na política pública são exemplos de uma série de DHP no âmbito dos cuidados em saúde (44). O marco formulado por Cohen e Ezer (44) e Albuquerque (43) acerca dos DHP vem sendo explorado em pesquisas desenvolvidas no Programa de Pós-Graduação em Bioética da Universidade de Brasília que passaram a conceber o referencial teórico dos DHP como modelo bioético adequado de análise e resolução de conflitos nos cuidados em saúde. Isto porque, os DHP enfatizam as preferências e desejos dos pacientes, o respeito pelos seus valores, proporcionam com que sejam ouvidos e incluídos nos processos de deliberações éticas que dizem respeito aos seus direitos (45-50). A tomada de decisão na ATS conduz a julgamentos éticos que reclamam o direito à participação do paciente no processo que acarretará diretamente em prestações de cuidados que efetivarão o direito à saúde. A pesquisa, portanto, é inédita por inserir os DHP como referencial bioético na ATS com foco na Perspectiva do Paciente.

Apesar de serem temas amplamente debatidos pela Bioética e tangentes à ATS, esta tese não se ocupa de outras formas de participação social nas quais pode haver ou não a presença de pacientes, como as audiências ou consultas públicas. Tampouco se aprofundará nas questões relativas a conflitos de interesses entre os profissionais avaliadores, prescritores, pacientes e a indústria farmacêutica. Não se debaterá aspectos organizacionais ou estruturais Conitec, como avaliação da sua inserção no Ministério da Saúde e relação com outros órgãos, agências ou comissões,

precificação de medicamentos. A evidência baseada no paciente será descrita para diferenciar da Perspectiva do Paciente, mas não é escopo deste trabalho adentrar na diversidade de fontes, métodos e metodologias capazes de gerá-las e classificá-las. O intuito desse trabalho não é desacreditar o esforço da Conitec que tem demonstrado grandes avanços nos últimos anos com a inserção de mecanismos de participação social e transparência, a exemplo do guia para a população compreender a ATS e como se envolver (4), a gravação e disponibilização das reuniões deliberativas no site da Conitec, bem como a adoção de ações participativas além das preconizadas em lei, mas aportar contribuições que possam ser utilizadas para o desenvolvimento e envolvimento contínuo e frutífero da participação dos pacientes em processos deliberativos tão importantes que afetarão diretamente a condução de suas vidas.

A presente tese se encontra estruturada da seguinte forma:

O primeiro capítulo aborda as demarcações contextuais e conceituais da ATS fornecendo um panorama geral do surgimento da avaliação tecnológica no mundo e sua expansão passando a ser utilizada também na esfera da saúde. Descreve-se como a apropriação desse instrumento pelos diversos países passou a ser mundialmente reconhecida como fundamental no alcance da universalização dos cuidados em saúde. Demarcou-se os conceitos relacionados à ATS ilustrando o sucesso de sua implementação com a criação de inúmeras agências de ATS espalhadas pelo globo, bem como redes internacionais de cooperação em ATS.

O segundo capítulo detalhou a inserção e evolução da ATS no Brasil em termos normativos e práticos pormenorizando a composição e funcionamento da Conitec. Insere-se a participação social no processo de incorporação tecnológica como um dever que deve ser ampliado, aperfeiçoado e ao qual deve ser dada visibilidade. Assim, são apresentadas as formas de participação social das quais os pacientes podem gozar, mormente, a Perspectiva do Paciente, especificada por ser a fonte primária da pesquisa documental.

O terceiro capítulo explana a importância da participação social na ATS, bem como os instrumentos pelos quais elas são efetuadas discutindo sobre os aspectos multidimensionais da participação do paciente na ATS. Diferentes atores, níveis e estratégias de envolvimento existentes na participação social são citados e problematizados, especialmente a validade científica do conhecimento experiencial do paciente e o tokenismo. Com esse intuito os tópicos seguintes diferenciam a evidência baseada no paciente da Perspectiva do Paciente e examina o conceito do tokenismo

e suas manifestações. Por fim, são apresentadas as vantagens para encorajar a participação do paciente pelas agências de ATS e as barreiras encontradas para atuar neste sentido.

Passe-se ao quarto capítulo com a exposição do referencial teórico dos DHP como um ramo do Direito Internacional Dos Direitos Humanos em construção no Programa de Pós-Graduação em Bioética da UnB. O referencial é apresentado como um modelo bioético alternativo para lidar com os dilemas éticos que envolvem pacientes nos contextos de cuidados em saúde. Tecem-se aproximações entre a Bioética e os Direitos Humanos. A participação do paciente na ATS, portanto, na tomada de decisão sobre cuidados que afetarão diretamente sua saúde é descrito como um direito decorrente do direito humano à saúde e do direito à participação social

O quinto capítulo descreve a metodologia com métodos mistos utilizados para atingir os objetivos dessa tese apresentando as justificativas pelos recortes temático e temporal.

O sexto capítulo apresenta os resultados da análise documental e da análise de conteúdo da Perspectiva do Paciente sobre incorporação de medicamentos em doenças raras.

Na discussão do capítulo sétimo, os achados das fases anteriores sobre a participação do paciente na Perspectiva do Paciente são analisados à luz dos DHP. Configura-se a reflexão definindo três eixos temáticos a partir do pleno exercício do direito à participação social: 1) Condições para o exercício do direito à participação do paciente; 2) Efetivação do direito à participação em ATS; 3) Responsabilidade do Estado. Ao final do capítulo são propostas recomendações na condução da Perspectiva do Paciente pela Conitec em consonância com os DHP.

1 AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS EM SAÚDE: DEMARCAÇÃO CONTEXTUAL E CONCEITUAL

Este primeiro capítulo aborda os objetivos e a utilidade da avaliação de tecnologias em saúde (ATS) para os serviços e sistemas de saúde, assim como essa prática foi desenvolvida, expandida e consolidada pelo mundo por meio das agências de ATS. Apresentam-se também os principais conceitos empregados no processo de ATS.

1.1 PANORAMA GERAL DO SURGIMENTO DA ATS

Consideram-se tecnologias em saúde os medicamentos, equipamentos e procedimentos técnicos, os sistemas organizacionais, informacionais, educacionais e de suporte e os programas e protocolos assistenciais por meio dos quais os cuidados com a saúde são prestados à população (51). Pela primeira vez, em 1965, o termo "avaliação tecnológica" foi utilizado pelo Subcomitê de Ciência, Pesquisa e Desenvolvimento, corpo integrante do Comitê de Ciência e Astronáutica da Câmara do Congresso dos EUA. Em um contexto de crescente preocupação com os riscos à vida e à saúde advindos da poluição do meio ambiente por resíduos químicos e industriais, várias audiências foram realizadas nos anos subsequentes, bem com diversas publicações e eventos que exploraram o conceito e o campo em desenvolvimento. Observou-se, por exemplo, divulgações sobre: impactos ambientais dos automóveis e das telecomunicações; impactos financeiros na saúde a nível nacional; atores, estruturas, abordagens de métodos, técnicas e custos de projetos relacionados às avaliações tecnológicas e; sobretudo, proposições de medidas legais e regulamentares para tratar das dificuldades associadas à cada tecnologia (52-57).

Tem-se registro do início do processo de ATS em 1975, por meio da solicitação da Comissão de Trabalho e Previdência Pública do Senado dos Estados Unidos, em nome da Subcomissão de Saúde, sugerindo aquele método de avaliação de 1965 para outras tecnologias. Considerando a inquietude com o papel federal no desenvolvimento das tecnologias em saúde e, diante da necessidade de justificar a

disponibilização de novos produtos e procedimentos custosos colocados à disposição para uso geral - que poderiam inesperadamente onerar o sistema de saúde, tanto em termos financeiros quanto em recursos humanos, caso algumas reflexões não fossem ponderadas - o *Office of Technology Assessment* (OTA) - agência do Poder Legislativo criada em 1972 para estimar as consequências das novas tecnologias e superar a dependência completa do Congresso estadunidense do Poder Executivo para informações e análise de políticas - publicou, em 1976, com a assistência de um painel de especialistas, o relatório intitulado *Development of Medical Technology: Opportunities for Assessment*. Este examinava a imprescindibilidade de avaliação dos impactos sociais de cada nova tecnologia em saúde enquanto ainda está sendo desenvolvida, os tipos de perguntas que poderiam surgir em tal avaliação e, quais atores e em quais momentos do processo de pesquisa e desenvolvimento as avaliações poderiam ser conduzidas, delineando uma lista de questões a serem consideradas para cada área potencial de impacto. O documento descrevia algumas tecnologias em saúde em diversas áreas: diagnóstico, vacinas, medicamentos, cirurgias, dispositivos implantáveis e procedimentos intervencionistas. Verificou-se que decisões eram tomadas levando em consideração um número limitado de critérios (evidências sobre a viabilidade técnica, segurança, necessidade ou demanda), de forma que, considerações mais amplas das consequências de novas tecnologias em saúde deveriam ser abordadas, tais quais: implicações para os pacientes e suas famílias, para os sistemas jurídicos, políticos e de assistência médica, à economia, à sociedade como um todo, incluindo o meio ambiente, variáveis demográficas, valores culturais e éticos. Além de formular políticas que otimizassem os investimentos dos fundos de pesquisa e desenvolvimento, as informações das avaliações dos potenciais impactos sociais serviriam para melhorar o planejamento para introdução de novas tecnologias nos sistemas de serviços de saúde. Neste contexto, a avaliação tecnológica foi descrita como “uma forma abrangente de pesquisa de políticas que examina as consequências sociais de curto e longo prazo (por exemplo, sociais, econômicas, éticas, legais) da aplicação ou uso da tecnologia”, cujo objetivo é “fornecer informações aos tomadores de decisões sobre as alternativas políticas” (OTA, 1976, p.45). Relataram-se as características peculiares da avaliação em tecnologia, sendo ela: a) baseada em uma estrutura analítica explícita especificada antes do início do estudo; b) abrangente em seu propósito ao examinar impactos em sistemas sociais, éticos, legais e os impactos dos impactos; c) multidisciplinar e; d)

capaz de identificar explicitamente as partes interessadas e os impactos da tecnologia nelas. Esclarece que, embora essenciais, algumas atividades não constituíam avaliação tecnológica como a adotada no documento, o que causava certa confusão sobre a utilização do termo, tendo em vista que fora apresentado com diferentes significados: sinônimo de pesquisa de previsão, de mercado ou transferência de tecnologia; como estratégia política para coibir ou planejar a inovação tecnológica; como uma figura de linguagem geral no julgamento casual sobre consumo de uma tecnologia/objeto específico. A OTA foi fechada em 1995 quando os republicanos tomaram o controle da Câmara e do Senado, caracterizando-a como hostil e contrária aos interesses liberais do partido, já que o papel do OTA era fornecer aos membros e comitês do Congresso uma análise objetiva e oficial das complexas questões científicas e técnicas, o que demonstra a grande interferência política sobre a ciência (58, 59). O Congresso dos EUA desenvolveu a primeira agência nacional do mundo a lidar com ATS (tendo em vista que a OTA não atendia ao Poder Executivo ou público geral), a *National Center for Health Care Technology* (NCHCT), que existiu de 1980 a 1982.

Inouye e Süsskind (1977) relatam que nos anos setenta assistiu-se ao início da institucionalização da avaliação tecnológica com o reconhecimento de um novo campo em formação que, embora interdisciplinar, tinha nas ciências sociais um papel preponderante. Eles sustentam que o estudo pioneiro e abrangente da avaliação tecnológica se deu na primeira metade do século XX, em 1937, quando o governo Roosevelt publicou o relatório *Technological Trends and National Policy*. O objetivo era destacar novas invenções que pudessem afetar as condições de vida e trabalho nos Estados Unidos durante os próximos dez a vinte e cinco anos. O cenário político e econômico da Grande Depressão acarretou esforços para buscar novas tecnologias que movimentassem a economia sem criar desemprego, procurando uma melhor compreensão desta conexão. Os trabalhadores queriam e esperavam proteção contra futuras convulsões econômicas e responsabilidades do governo para incluir o bem-estar de todos os cidadãos, operando uma mudança em direção a uma versão americana do estado de bem-estar social. Além dos aspectos sociais e da interface entre ciência e tecnologia, colocando luz sobre a interdependência entre as duas, o relatório trazia previsões para nove campos: agricultura, transporte, comunicação, energia, indústrias metalúrgica, química, minerais, eletrônica e de construção. O artigo

salienta a importância de avaliações tecnológicas serem bem conduzidas a fim de evitar resultados desastrosos à sociedade (60).

A liderança e o legado de incentivos e serviços públicos inovadores na área da avaliação tecnológica do OTA foram amplamente disseminados em todo o mundo. Seus processos de avaliação tecnológica foram utilizados sob o novo nome de ATS moldando o campo da ATS, onde a OTA teve a oportunidade de explorá-lo, focando em métodos e concentrando-se na eficácia, segurança e custo-benefício, de sorte que a revisão sistemática e os relatórios que examinaram as políticas de saúde que poderiam ser influenciadas pela ATS, determinaram em grande parte a forma geral dos programas de ATS.

As conferências de desenvolvimento de consenso, importante atividade relacionada à ATS cujo objetivo é promover entendimento entre as partes interessadas sobre a base científica da segurança, eficácia e condições adequadas para o uso de tecnologias de saúde, também se desenvolveram primeiramente nos Estados Unidos por meio do *National Institute of Health* (NIH) em 1977 (61). Novaes & Soárez (2016) apontam que, em 1953, a *Pharmaceutical Benefits Advisory Committee* (PBAC), órgão estatutário independente estabelecido do governo australiano, seria o pioneiro na ATS ao recomendar os medicamentos que comporiam o programa governamental intitulado *Pharmaceutical Benefits Scheme* (PBS), cujo desígnio era subsidiar medicamentos prescritos na Austrália. O PBS começou como um esquema limitado em 1948, com medicamentos gratuitos para aposentados e uma lista de 139 medicamentos preventivos e que salvam vidas a outros grupos na comunidade. Atualmente o programa faz parte da política nacional de medicamentos do Estado e subsidia a maior parte dos medicamentos para quase todas as condições médicas. O PBAC é formado por dois subcomitês, o *Drug Utilisation Sub Committee* e o *Economics Sub Committee*, que levam em conta as condições médicas para as quais o medicamento foi registrado para uso na Austrália, sua eficácia clínica, segurança e custo-efetividade, em comparação com outros tratamentos. Nenhum novo medicamento pode ser incluído na lista sem a aprovação do Comitê (5, 62).

Conferências de consenso foram organizadas por órgãos públicos em vários países, incluindo Suécia, Dinamarca, Finlândia, França Holanda e Reino Unido. A ATS começou a se espalhar para o resto do mundo no final da década de 1980, com a formação do Conselho Sueco de Avaliação de Tecnologia em Saúde (SBU) em 1987, considerada a primeira agência nacional de ATS na Europa. Sem função regulatória,

o papel da agência era orientar o governo central sueco e os conselhos distritais nas políticas e práticas de saúde, informando-os sobre aspectos médico, social, econômico e ético das tecnologias em saúde (63). Durante as duas décadas desde então, a ATS se espalhou para quase todos os países europeus, depois para alguns dos países da Europa Central, América Latina e Ásia. Essa disseminação foi facilitada com a ajuda de organizações internacionais como o Banco Mundial e, em menor grau, a Organização Mundial da Saúde (OMS) (61). Em 1989, foi criada a agência nacional de ATS canadense, a *Canadian Coordinating Office for Health Technology Assessment* (CCOHTA), rebatizada em 2006 como *Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health* (CADTH). Com algumas exceções, todas as tecnologias em saúde são avaliadas pela agência. Ela fornece recomendações de caráter consultivo a todos os níveis de governos (federal, provincial e territorial), deixando ao Ministério da Saúde e governos provinciais a decisão sobre a incorporação ou não das tecnologias no sistema de saúde ou planos públicos de medicamento (5, 64).

Em 1993, uma reunião em Paris organizada pela agência nacional francesa *Agence Nationale pour le Développement de l'Évaluation Médicale* (ANDEM), criou, juntamente com outras doze agências membros fundadoras da Austrália, Canadá, França, Holanda, Espanha, Suécia, Suíça, Reino Unido e Estados Unidos, a *International Network of Agencies for Health Technology Assessment* (INAHTA) com o escopo de se tornar um centro permanente de cooperação e compartilhamento de informações sobre produções e relatórios em ATS baseadas em evidências entre as diversas agências no mundo. Atualmente, a rede conta com mais de 2.100 funcionários e consultores e 50 agências de ATS que apoiam as tomadas de decisões dos sistemas de saúde que afetam mais de 1 bilhão de pessoas em 31 países ao redor do mundo. Citam-se algumas das atuais agências europeias: *Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias* (AETS) na Espanha, *Austrian Institute for Health Technology Assessment* (AIHTA) e *Gesundheit Österreich GmbH* (GOeG) na Áustria; *Assistance publique- Hopitaux de Paris* (AP-HP) e *Haute Autorité de Santé* (HAS) na França, *The Agency for Regional Healthcare* (Agenas) na Itália, *Gemeinsamer Bundesausschuss* (G-BA) e *Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen* (IQWiG) na Alemanha, *Belgian Health Care Knowledge Centre* (KCE) na Bélgica, *Swiss Federal Office of Public Health* (SFOPH) na Suíça. Na América Latina a ATS vem sendo aplicada pelas: Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec) e Agência Nacional de Saúde

Suplementar (ANS) no Brasil; *Instituto de Efectividad Clínica y Sanitaria na Argentina* (IECS), *Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud* (IETS) na Colômbia, *Unidad de Evaluación de Tecnologías de Salud* (ETESA) no Chile, *Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud e Investigación* (IETSI) no Peru, *División de Evaluación Sanitaria del Ministerio de Salud Pública no Uruguai* (3). Banta and Jonsson (2009) apontaram que em países em desenvolvimento, o trabalho avaliativo relacionado à ATS tinha sido realizado sob os auspícios de organizações fora desses países, tais como: agências de ajuda, universidades, indústria, União Europeia (UE) e OMS. À medida que informações cada vez melhores se tornam disponíveis sobre o valor da tecnologia em saúde, os países se envolveram mais na tentativa de garantir que as decisões fossem tomadas com a contribuição das descobertas da ATS, tais como as decisões de cobertura de planos de saúde, prioridade em países como Holanda, França, Suíça, Espanha, Reino Unido, Brasil, Argentina e Uruguai e Taiwan (61).

Reino Unido, Canadá e Austrália possuem agências extremamente renomadas cujos modelos são referências mundiais em ATS: *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE) e *National Institute for Health Research* (NIHR) no Reino Unido; *Ontario Health* (OH), *Institute of Health Economics* (IHE), *Institut national d'excellence en santé et en services sociaux* (INESSS) e CADTH no Canadá; *Adelaide Health Technology Assessment* (AHTA) e *Australian Safety and Efficacy Register of New Interventional Procedures –Surgical* (ASERNIP-S) na Austrália (3, 65, 66). Internacionalmente reconhecido pelas suas diretrizes e rigor metodológico, o NICE, criado em 1999, emite recomendações mandatórias sobre a tecnologia, cuja disponibilização pelo governo deve ser efetuada em até três meses após publicação (67).

Fundada em 1979, a *International Society of Technology Assessment in Health Care* foi sucedida, em 2003, pela *Health Technology Assessment International* (HTAi), importante sociedade profissional e científica global responsável pela publicação do *International Journal for Technology Assessment in Health Care* (IJTAHC) e também pela organização do *HTAi Annual Meeting*, um dos eventos mais importantes da área (68).

Entre 1994 a 1997, a *European Commission* (EU) financiou o projeto EUR-ASSESS, composto por muitos dos quinze então membros da UE, com o objetivo de explorar possibilidades para melhorar a coordenação da ATS na Europa. De 2000 a 2002, a EU financiou a Colaboração Europeia para a Avaliação das Tecnologias da

Saúde (ECHTA), que examinou as possibilidades de melhorar a coordenação da ATS na Europa. Em 2004, a ATS foi estipulada como uma prioridade política pela EU e pelo o Conselho de Ministros, que reconheceram a urgência no estabelecimento de uma rede europeia sustentável sobre a ATS. Em 2005, um grupo de 35 organizações em toda a Europa, liderados pelo Centro Dinamarquês de ATS (DACEHTA) em Copenhague, deu origem às atividades do Projeto *European Network for Health Technology Assessment* (EUnetHTA). De acordo com a rede, a ATS é um processo multidisciplinar que sintetiza informações sobre questões médicas, sociais, econômicas e éticas relacionadas ao uso de uma tecnologia em saúde de forma sistemática, transparente, imparcial e robusta. Em parceria com mais de oitenta organizações e instituições em vinte e nove países, a EUnetHTA trabalha para criar uma rede efetiva e sustentável de ATS pela Europa, aumentando a produção e a qualidade da ATS, a fim de fornecer suporte aos tomadores de decisões para assegurar sustentabilidade dos sistemas de saúde, proteger cidadãos contra tecnologias inefetivas, aprovar acesso a altas tecnologias em saúde e disseminar informação e conhecimento em saúde. A maioria dos Estados Membros da UE têm programas públicos nacionais e regionais para ATS (69). Sem esgotar os exemplos de instituições que atuam na ATS, pode-se dimensionar o quanto ela foi difundida pelo globo.

1.2A ATS NO ÂMBITO DA OMS

Com a publicação da Declaração de Alma Ata sobre Cuidados Primários de Saúde em 1978 (70), percebe-se o interesse da OMS na ATS desde o seu surgimento:

VI – Os cuidados primários de saúde são cuidados essenciais de saúde baseados em métodos e tecnologias práticas, cientificamente bem fundamentadas e socialmente aceitáveis, colocadas ao alcance universal de indivíduos e famílias da comunidade, mediante sua plena participação e a um custo que a comunidade e o país podem manter em cada fase de seu desenvolvimento, no espírito de autoconfiança e autodeterminação. [...] (OMS, 1978, p.1)

Em 1985, o Escritório Europeu da OMS publicou várias metas para que seus estados membros proporcionassem, até o ano 2000, saúde para todos. A meta 38 sobre ATS estabeleceu que todos os Estados membros, até 1990, deveriam estabelecer um mecanismo formal de avaliação sistemática do uso apropriado das tecnologias em saúde e de sua efetividade, eficiência, segurança e aceitabilidade, assim como os reflexos nas políticas nacionais de saúde e restrições econômicas (71). Essa meta foi atingida por alguns países, mas removida da próxima versão das metas da OMS em 1991 (72). De 1998 a 2003, o uso da ATS foi fortemente apoiado pela OMS, embora o ímpeto fosse desenvolver evidências sobre custo-benefício, impactos, principais intervenções de saúde e proposição de método generalizado de custo-efetividade (73, 74). O ponto-chave entre os autores destes estudos é que cada país precisa de capacidade para realizar ATS com base em suas próprias necessidades, com a adoção de uma política clara e sistemática de avaliação.

Na década de 1980 e início da década 1990, a Unidade de Desenvolvimento Tecnológico da Organização Pan-Americana da Saúde (OPAS/OMS) começou a promover ATS nas Américas, ganhando ainda mais importância com o movimento de reforma sanitária na América Latina. Colaboração de agências ATS da Espanha e Canadá levaram à formação de uma massa crítica de profissionais ligados ao processo decisório na América Latina e Caribe, despertando o interesse de vários países, notadamente México, Brasil, Argentina, Uruguai e Chile. Em 1997, o MERCOSUL organizou um Subcomitê Técnico de ATS. Desde 2000, a OPAS redefiniu uma nova abordagem da tecnologia em saúde por meio da interação com os países da região, priorizado o fortalecimento dos programas de ATS (61, 75). A título de exemplo, o *Centro Nacional de Excelencia Tecnológica en Salud* (CENETEC) criado no México em 2004 que inicialmente tinha foco nos equipamentos médicos, posteriormente ampliou sua avaliação para as demais tecnologias em saúde dentro do Ministério da Saúde, fornecendo informações para aprimorar as políticas públicas nos níveis local, regional e nacional. Em 2012, foi criada na Colômbia a IETS, agência público-privada sem fins lucrativos que produz ATS, diretrizes clínicas e protocolos para apoiar a decisão de profissionais da saúde e gestores sobre as tecnologias a serem financiadas com fundos públicos (5). Em junho de 2011, no Rio de Janeiro, foi lançada a *Red de Evaluación de Tecnología en Salud de las Américas* (RedETSA). A rede conta 40 instituições em 20 países representados por ministérios da saúde, autoridades reguladoras, agências de ATS, centros colaboradores da OMS/OPS,

além de instituições de educação e pesquisa, com o fito de fortalecer e promover o processo de ATS nas Américas. O intercâmbio de informações com a Base Regional de Informes de Avaliação de Tecnologias em Saúde das Américas (BRISA) da rede propicia apoio na tomada de decisões sobre regulação, incorporação, uso e substituição de tecnologias em saúde (76).

1.3 CONCEITO DE ATS

Ao longo dos anos várias definições de ATS foram utilizadas. Algumas instituições de ATS em todo o mundo adquiriram suas próprias demarcações conceituais de ATS para acomodar os contextos locais de tomada de decisão. Ela já foi descrita como avaliação sistemática das propriedades, efeitos ou impacto da tecnologia em saúde, conduzida por um grupo interdisciplinar usando estruturas analíticas explícitas extraídas de uma variedade de métodos, cujo objetivo era informar a formulação de políticas relacionadas à tecnologia na saúde (77). Igualmente definida como uma forma de pesquisa de políticas que examina as consequências sociais, econômicas, éticas e legais da aplicação da tecnologia a curto e longo prazo para fornecer informações sobre alternativas políticas a seus formuladores (61). Em um estudo comparativo internacional com agências ou instituições com significativa experiência em ATS em 9 países, Draborg *et al.* (2000) concluíram que a definição anteriormente citada de ATS não se sustentava na prática, pois as avaliações eram frequentemente definidas de forma mais restrita (78).

O Ministério da Saúde (4) conceitua a ATS como

uma forma de pesquisa que avalia as consequências em curto e longo prazo do uso das tecnologias em saúde. É um processo multidisciplinar que resume informações sobre as questões clínicas, sociais, econômicas, éticas e organizacionais relacionadas ao uso da tecnologia em saúde de uma maneira robusta, imparcial, transparente e sistemática, que segue métodos adequados para a tomada de decisão. (MS, 2016, p.9)

As questões clínicas albergam a segurança, efetividade, eficácia, indicações, população beneficiada, entre outros. As orçamentárias os custos, a eficiência, a relação custo-efetividade e custo-utilidade, os custos de oportunidade e impacto

orçamentário. As organizacionais englobam a difusão, aceitabilidade, logística, capacitação, utilização e sustentabilidade. As questões do paciente acolhem o impacto social, a ética, a conveniência, a aceitabilidade, as reações psicológicas etc. (4). Segundo Facey (2017), a ATS é uma análise de políticas que busca informar os tomadores de decisão em serviços de saúde nacionais, regionais ou hospitalares sobre o uso de tecnologias em saúde. As ATS requerem processos sistemáticos que avaliem criticamente a pesquisa sobre os impactos do uso da tecnologia em saúde, juntamente com uma avaliação específica do contexto das implicações sociais, econômicas, legais e éticas do uso da tecnologia em saúde (22).

Diante da necessidade de criar uma definição única desenvolvida e acordada pela comunidade que desenvolve ATS, um grupo de trabalho internacional envolvendo as principais redes e organizações regionais e internacionais, coliderado pela INAHTA e HTAi, se propôs a criar uma definição internacionalmente aceita de ATS (79). Assim, nesta tese adota-se a definição indicada pela INAHTA e pela HTAi, na qual a ATS consiste em um

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

Uma tecnologia de saúde é uma “intervenção desenvolvida para prevenir, diagnosticar ou tratar condições médicas; promover a saúde; proporcionar reabilitação; ou organizar a prestação de cuidados de saúde” (80). O processo da ATS é formal, sistemático e transparente, utilizando métodos de última geração para considerar as melhores evidências disponíveis, podendo ser aplicada antes, durante e após a aprovação de comercialização da tecnologia, como também no seu desinvestimento. Ainda segundo a INAHTA (3):

Nota 3: As dimensões de valor de uma tecnologia de saúde podem ser avaliadas examinando as consequências intencionais e não intencionais do uso de uma tecnologia de saúde em comparação com as alternativas existentes. Essas dimensões geralmente incluem eficácia clínica, segurança, custos e implicações econômicas, questões éticas, sociais, culturais e legais, aspectos organizacionais e ambientais, bem como implicações mais amplas para o paciente, familiares, cuidadores e população. O valor geral pode variar

dependendo da perspectiva adotada, das partes interessadas envolvidas e do contexto de decisão.

Nota 4: A tomada de decisão sobre cuidados de saúde requer a evidência certa no momento certo. Todos os dias há novas tecnologias de saúde disponíveis que podem melhorar os resultados dos pacientes e refinar a eficiência do sistema de saúde. A avaliação de tecnologia em saúde (ATS) é uma ferramenta para revisar tecnologias e fornecer evidências do valor que essas tecnologias podem oferecer aos pacientes e suas famílias, às partes interessadas do sistema de saúde e à sociedade em geral. (INAHTA)

A ATS utiliza a Medicina Baseada em Evidências (MBE) em seu processo de escrutínio ao fazer uso das melhores evidências de pesquisas científicas e médicas na tomada de decisões sobre gestão e aquisição de bens e serviços em saúde. O “termo medicina baseada em evidências” surgiu na da Universidade de *MacMaster* em Ontário, Canadá, em 1988, tornando-se conhecido em todo o mundo na década de noventa, quando, pela primeira vez, um grupo de pesquisadores o introduziu na literatura médica no artigo de Gordan Guyatt *et al.* (81). Com a liderança de David Sackett, o grupo também publicou metodologias explícitas para determinar “a melhor evidência”. O intuito era disseminar uma nova proposta para ensinar, aprender e praticar medicina (82, 83). Contudo, o renomado inglês Archie Cochrane, pioneiro da epidemiologia clínica, da microeconomia da saúde e da “medicina centrada na pessoa”, é considerado o fundador da MBE que, em sua homenagem, batizou o centro de pesquisa médica baseada em evidências, o Cochrane Centers, e a organização internacional *Cochrane Collaboration*. A definição clássica da MBE de Sackett (1996) é de que se trata do uso consciencioso, explícito e judicioso da melhor evidência disponível na tomada de decisão sobre o cuidado com os pacientes ou para promover sua saúde, acrescida da experiência do médico e das preferências do paciente (82). A MBE é uma forma de medicina cuja aplicação à tomada de decisões significa relacionar os sinais clínicos do paciente e a experiência clínica do médico com o uso de evidências de pesquisas clínicas de alta qualidade, acarretando no melhor custo-benefício e na melhoria da assistência à saúde. A MBE integra as revisões sistemáticas e diretrizes clínicas sistematicamente desenvolvidas com a expertise clínica individual e os valores dos pacientes (14). Várias hierarquias de evidências são utilizadas na ATS para determinar o peso que deve ser dado aos estudos (84). A classificação está associada a validade interna do projeto do estudo, isto é, na capacidade que ele teve de representar a verdadeira relação causal entre a

intervenção e o efeito apurado na pesquisa. Logo, a qualidade da evidência está diretamente relacionada a sua força, o que influenciará as conclusões e recomendações no processo de avaliação tecnológica. Cuidados de saúde baseados em evidências é o termo utilizado quando os princípios da MBE são aplicados às demais profissões envolvidas nos cuidados e serviços de saúde, como a enfermagem, fisioterapia, terapia ocupacional, farmácia, entre outras (80). Faria *et al.* (2021) trazem a expressão “prática baseada em evidências” (PBE) utilizada pela literatura como evolução da MBE expandindo a aplicação da epidemiologia e da avaliação criteriosa na tomada de decisão para incluir outras áreas da saúde comprometidas com mudanças nas práticas clínicas e melhoria da qualidade do cuidado e da assistência prestados ao paciente e seus familiares. Os autores trabalham a PBE sob duas dimensões: a educacional e a prática clínica. A primeira se refere à formação continuada de profissionais socialmente responsáveis e politicamente conscientes no desenvolvimento de competências galgadas em valores humanitários e éticos que respondam às diversas demandas resultantes das desigualdades sociais. A segunda traz a PBE como fundamental para a melhor investigação e identificação dos problemas individuais e sociais por meio da avaliação crítica das evidências disponíveis e da implementação das conclusões na prática para o melhor cuidado centrado no paciente. Retornando a suas raízes no movimento de consolidação dos sistemas de saúde da Inglaterra com a implantação do Sistema Nacional de Saúde (*National Health Service – NHS*), a MBE aperfeiçoou a racionalização da informação científica diminuindo as incertezas no processo clínico para reagir de forma mais satisfatória às necessidades da população, tornando-se tema central para a formulação de políticas de saúde (85, 86). A política informada por evidência (PIE) é um processo sistemático que acessa, avalia, adapta e aplica as evidências científicas disponíveis para formular e implementar políticas visando melhorar o embasamento nos processos decisórios (87). Portanto, um sistema de saúde baseado em evidências possui políticas informadas por evidências, com o uso dos princípios da MBE para promover a assistência em diferentes áreas do setor, dentre elas, a ATS para incorporação de bens e serviços ao sistema que aumentem a eficiência e qualidade dos serviços prestados à população.

Diante da necessidade pública de saúde de atendimento universal e de um cenário de recursos limitados, a ATS é ferramenta essencial de apoio à tomada de decisões nos sistemas de saúde de todo o mundo para determinar quais intervenções,

independentemente de sua natureza preventiva, diagnóstica ou terapêutica, devem ser disponibilizadas para grupos específicos de pacientes de forma racional e eficiente. Seu objetivo é informar a formulação de políticas de saúde seguras, eficazes, focadas no paciente e buscando alcançar o melhor valor, sempre enraizada na pesquisa e no método científico (4).

Desde a divulgação pelo OTA em 1976, o processo de ATS vem passando por constante desenvolvimento. Produzindo informações seguras e transparentes que respaldam as tomadas de decisões dos gestores dos serviços de saúde, a ATS se transformou em um elo entre estes atores e as evidências científicas. De acordo com Facey (2017), embora utilizando métodos distintos de ATS, todos os países avaliam a eficácia clínica de uma tecnologia comparando as evidências clínicas de ensaios internacionais com as evidências clínicas em seus respectivos sistemas de saúde locais. Muitos órgãos também avaliam aspectos econômicos, como custo-benefício e impacto orçamentário e, poucos avaliam sistemática e explicitamente questões sociais, legais, éticas ou aspectos organizacionais ou do paciente. Neste sentido, nesta tese distingue-se duas formas de ATS: ampla e reduzida. A primeira abarca diversos impactos de uma tecnologia através de múltiplas perspectivas (22).

O *HTA Core Model*[®] (2016), documento elaborado pela EUnetHTA, é, do ponto de vista metodológico, o guia para a ATS abrangente, detalhando nove domínios a serem abrangidos, a saber: 1. Problema de saúde e tecnologias de saúde atuais; 2. Descrição/características técnicas; 3. Segurança; 4. Efetividade Clínica; 5. Custo/análise econômica; 6. Análise Ética; 7. Aspectos Organizacionais; 8. Aspectos do paciente e sociais; 9. Aspectos legais (88). O modelo reduzido de ATS (*Relative Effectiveness Assessment* -REA) é aquele que foca nos quatro primeiros domínios (6). Enquanto o uso da primeira forma é dirigido aos Estados para estabelecimento de políticas em nível nacional, o segundo é mais direcionado a informações sobre reembolso ou cobertura de medicamentos. Destaca-se que uma das principais mudanças na metodologia de ATS ocorrida nos anos 2000 foi a mudança de ATS amplas para os processos mais restritos. Este formato mais reduzido consome menos recursos, porém reflete em relatórios mais sucintos com utilização de evidências menos confiáveis. Isto porque, quando a ATS é solicitada pelos patrocinadores da tecnologia no momento do lançamento no mercado, a pesquisa clínica desenvolvida durante o projeto é a única evidência disponível, não sendo possível realizar avaliações sistemáticas de todas as evidências publicadas, como é feito no formato

amplo. Banta e Jonsson (2009) propõem até mesmo algum tipo de mecanismo para responsabilizar os tomadores de decisão pelo uso da evidência (61). O alerta para a perda de conteúdo avaliativo com a tendência de adoção dos processos reduzidos de ATS por muitos países também partiu de outros autores (89, 90).

Muitas agências de ATS têm feito análises comparativas de eficácia desde a sua criação, institucionalizando cada vez mais modelos com foco na relação custo-benefício das tecnologias em saúde, podendo levar a um sistema disfuncional. Críticas a ênfase na eficácia e na custo-efetividade advêm da lacuna existente entre as evidências, as políticas de saúde e a aplicação prática (91, 92). Apesar da crescente preocupação, as questões sociais tocantes à tecnologia em saúde, em particular a ética em saúde, geralmente recebem pouca atenção nos relatórios de ATS. A investigação mais ampla sobre o contexto sociopolítico das tecnologias em saúde quase não existe na ATS (89, 91, 93, 94).

A procura pelo “valor agregado” de uma nova tecnologia em saúde, que pode ser feita comparando as consequências desejadas e indesejadas do uso da tecnologia em relação as alternativas existentes, muitas vezes não é clara para toda a população. “Pode-se identificar um subgrupo específico em que o valor agregado é maior ou que tem maior necessidade de uma nova tecnologia por ter alternativas mais limitadas” (Facey, 2017). Os valores de outras partes envolvidas na ATS podem divergir dos valores dos pacientes, ou seja, das preferências, preocupações e expectativas que cada paciente aporta e as quais devem ser integradas nas decisões clínicas se elas tendem a servir o paciente (14). Por isso a ATS vai além da MBE, pois como há necessariamente julgamentos de valores nos domínios expostos nos relatórios da ATS para apoiar a tomada de decisão, é imprescindível que isso seja feito por um grupo consultivo composto pelas várias partes interessadas.

Rawlins (2014) divide os julgamentos no processo de decisão em dois grupos: julgamentos científicos e os julgamentos baseados em valores sociais. Os primeiros incidem na convicção sobre a eficácia de uma intervenção para que os pacientes recebam os cuidados adequados a partir da totalidade das evidências científicas. As evidências sustentam a ATS, mas nunca são suficientes, pois apresentam frequentemente incertezas devido a: limitação sobre custos e impactos a longo prazo entre a tecnologia em saúde e seu comparador, falta de dados sobre o comparador, não correspondência entre a prática clínica e os resultados dos estudos clínicos controlados em curto prazo. Essas incertezas são ainda mais exacerbadas nas ATS

reduzidas devido a limitação das fontes de evidência. Os segundos não se relacionam com as ciências médicas, e sim com as ciências sociais. Contudo, registra-se que as agências de ATS ou seus comitês consultivos não têm legitimidade para impor, por exemplo, quando investir mais na vida de uma criança ou de uma pessoa idosa, ou até que ponto despender recursos com vida de pacientes em estágio terminal, entre outros. Preocupam-se com os princípios éticos, preferências, cultura e aspirações da sociedade, ou seja, com valores sociais que devem ser informados pelo público em geral (12).

Draborg *et al.* (2005), ao revisarem amostras de 433 relatórios de ATS publicados no período de 1989 a 2002 por onze instituições ou agências líderes em nove países, constataram que o aspecto clínico é o mais focado, seguido pelo econômico. Os aspectos relacionados ao paciente e organizacionais são menos frequentemente incorporados na ATS (78). Hofmann *et al.* (2014) manifestaram que “abordar as questões éticas, legais e sociais de uma determinada tecnologia de saúde envolve, por definição, julgamentos de valor moral, legal e social”. Estes, que são os principais pontos de dissenso na ATS, considerados não científicos e arbitrários, não são explorados com clareza na maioria das agências de ATS. A ATS, em geral, é um processo de julgamento de valor sobre a relevância das evidências para o sistema de saúde local, mas isso não a torna falha ou tendenciosa. Malgrado o grande desafio para todas as agências de ATS, o reconhecimento e abordagem explícita dos julgamentos de valores como elementos básicos da ATS podem melhorar a responsabilização e a legitimação no processo de tomada de decisão (13).

Como as recomendações das ATS estão sujeitas ao escrutínio político, público e dos diretamente interessados, a discussão deliberativa interdisciplinar se torna um requisito imprescindível nesse processo. Algumas conclusões podem ser de desinvestimento de uma tecnologia em saúde, portanto, há necessidade de envolver todas as partes, especialmente os pacientes (22).

1.4 AS AGÊNCIAS DE ATS

Qualificam-se como agências de ATS todos os órgãos, agências e entidades dos Estados responsáveis pela ATS, exercendo-as de várias maneiras a depender de

suas competências para rever e prover evidências do valor que as tecnologias podem agregar aos pacientes e seus familiares, aos gestores de saúde e a comunidade em geral. Novaes e Soárez (2016) discorrem sobre as diferenças das agências de ATS em termos de atuação, recursos humanos e financeiros e estrutura organizacional (5).

Segundo as autoras, as avaliações dependem de como elas atuam e se inserem nos sistemas de saúde nos níveis: local, regional, nacional e internacional. Nos dois primeiros níveis, as agências de ATS atendem às demandas dos gestores locais, serviços e profissionais da saúde, pacientes, seguradoras e outros interessados. As agências de ATS mais conceituadas atuam em nível nacional orientando o governo federal, o sistema nacional de saúde, os formuladores de políticas e outros proponentes. As agências de ATS podem ser reativas ou proativas, ou seja, ou aguardam as solicitações dos *stakeholders* ou iniciam os estudos estabelecendo as prioridades dos estudos a serem realizados “com base na busca de questões emergentes e rastreamento tecnológico do horizonte” (p.6). Enquanto algumas agências de ATS possuem equipes próprias, outras contam com entidades externas (universidades, instituições de pesquisa, grupos de especialistas, hospitais) para produzir estudos independentes. Quanto ao financiamento, as agências de ATS podem receber recursos exclusivos do governo, exclusivamente privados ou recursos mistos do governo e de entidades privadas. O modelo governamental de estrutura organizacional adotado pelo Reino Unido, França, Espanha e Canadá é o mais difundido. De acordo com o modelo de financiamento público, as agências estão inseridas nos âmbitos do sistema público de saúde em nível regional ou nacional, ou ainda como agência independente vinculada ao sistema de saúde. O modelo descentralizado de ATS, a exemplo dos Estados Unidos, conta com vários *stakeholders* para conduzir a ATS, como as seguradoras e planos de saúde, entidades privadas sem e com fins lucrativos e agências governamentais (5). Dentre estas últimas, a *Agency for Healthcare Research and Quality* (AHRQ) é a principal agência que desenvolve e financia a ATS nos EUA. Apesar de não fazer recomendações, a AHRQ informa as políticas de cobertura dos programas nacionais e locais do *Medicare* atuando dentro do Departamento de Saúde e Serviços Humanos dos EUA (95).

A fundação das agências se dá, notadamente, pela necessidade de informação, difusão e uso de tecnologias de saúde aos gestores e formuladores de políticas por entidades com essa finalidade específica, servindo como uma ponte entre

a pesquisa e a decisão política, decorrente da exigência por transparência, legitimidade e participação social na alocação de insumos em saúde.

O interesse dos pacientes pela ATS aumentou em virtude da maior utilização do método para informar as decisões de reembolso ou cobertura, o que na prática controla o acesso aos tratamentos de saúde. Embora a participação deles seja contestada por alguns a pretexto da questionável representatividade e comprometimento da integridade científica das evidências por eles fornecidas (22). A incompreensão de aspectos da análise pelos interessados, em especial a avaliação de custo-efetividade, somada às recomendações indesejáveis para alguns setores a respeito da tecnologia específica estudada, podem desencadear reações que venham a comprometer a independência e a estabilidade das agências de ATS. A maioria delas não têm independência política e atuam dentro de estruturas de governança mais amplas, sem embargo possuem independência científica. Outros poderes e órgãos regulatórios afetam a independência das agências de ATS na estrutura de governança institucional, como o Poder Legislativo e o Judiciário (5).

Recentemente, no Brasil, a Lei nº 14.454, de 21 de setembro de 2022, derrubou o chamado “rol taxativo” da ANS, obrigando os planos de saúde a financiarem tratamentos de saúde que não estão na lista de cobertura mínima. Testemunhou-se determinações judiciais de medicamentos e tratamentos não previstos em marcos normativos regulatórios do direito à saúde julgados pelo Supremo Tribunal Federal (STF). As teses de repercussão geral números 500 e 1.234 do STF, versam, respectivamente, sobre o dever do Estado de fornecer medicamento não registrado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) e, responsabilidade dos entes federativos no fornecimento de medicamentos registrados na Anvisa, mas não padronizados no SUS. Os entendimentos fixados nas teses com repercussão geral julgados pelo tribunal são multiplicados e atribuídos a todos os processos judiciais semelhantes que estavam suspensos aguardando julgamento nos tribunais do Brasil. Essas ações interferem nos processos de ATS levando a consequências substanciais na alocação de recursos e elaboração de políticas públicas em saúde. O fenômeno da judicialização levou a Conitec a produzir notas técnicas de ATS de esclarecimento sobre as tecnologias em saúde de maior relevância judicial no SUS (contendo indicações, custo, alternativas disponíveis, evidências de eficácia e segurança etc.) com o propósito de subsidiar tecnicamente as decisões dos magistrados sobre

tecnologias em saúde de maior relevância judicial no SUS e atender aos prazos processuais com celeridade e rigor metodológico.

As circunstâncias políticas e regulatórias de atuação das agências de ATS nos países onde estão implantadas determinará o grau de influência delas nas efetivas mudanças nos serviços ou sistemas de saúde. Em 2014, a OMS publicou uma declaração reconhecendo que a ATS oferece metodologias de pesquisas rigorosas e estruturadas, ademais de um processo transparente e inclusivo, recomendando seu uso por todos os Estados membros, a fim de guiar políticas públicas de cobertura universal para o uso racional e eficiente de medicamentos e equipamentos, apoiando a sustentabilidades dos sistemas de saúde (96).

Admite-se que quanto maior a participação da ATS nos processos de incorporação tecnológica de saúde, mais eficiente será a alocação dos recursos, maior será a sustentabilidade financeira do sistema, melhor será a equidade, a qualidade e o acesso aos serviços de saúde. A implantação da ATS enquanto política de saúde efetiva ainda enfrenta desafios. A institucionalização da ATS com a criação de organizações e agências de ATS tem sido uma estratégia para contornar os obstáculos, representando uma grande mudança nas políticas de gestão dos países, sobretudo naqueles que tomavam as decisões dentro do setor público diretamente pela administração pública, no sentido da melhor governança com a redução das perturbações políticas e manutenção da estabilidade de atividades necessariamente contínuas (5). A queda da mortalidade e aumento da qualidade de vida nas últimas décadas foram frutos da produção e incorporação tecnológica na prevenção, diagnóstico e tratamento de doenças (1). A ampliação do conceito de saúde da OMS como estado de completo bem-estar físico, mental e social, e não apenas como ausência de doença ou enfermidade, bem como a compreensão do direito à saúde como um direito humano, portanto, moralmente exigível perante os Estados, foram conscientizações cruciais para a melhoria desse cenário (97). Assim sendo, a ATS tem o papel fundamental de subsidiar a materialização do direito à saúde possibilitando o acesso a bens e serviços de forma integral e universal como preconizado pelas diretrizes do SUS na Constituição Federal de 1988 (CF) em direção a um sistema de saúde sustentável que proveja os melhores cuidados à população.

Como mencionado, cada país possui especificidades no processo de ATS. A CF estabeleceu que a saúde é livre à iniciativa privada, logo, esta segue processo

diferenciado em seu processo de ATS para subsequente incorporação das tecnologias em saúde no Rol de Procedimentos e Eventos em Saúde Suplementar. O documento contém a listagem de procedimentos cujo fornecimento pelas operadoras de saúde passa a ser obrigatório, após criteriosa ATS pela ANS. O escopo desta tese está direcionado ao sistema público, por conseguinte, detalharemos como o processo de ATS para incorporação de tecnologias no SUS é desenvolvido no Brasil.

2 AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIA EM SAÚDE NO BRASIL

Aborda-se neste capítulo o percurso histórico da avaliação tecnológica no Brasil, a importância da ATS para o SUS e o fluxo para a incorporação tecnológica na Conitec. Destacam-se os mecanismos de participação social do paciente na Conitec, sobretudo a Perspectiva do Paciente como parte integrante do processo de tomada de decisão em ATS no Brasil.

2.1 INSTITUCIONALIZAÇÃO DA ATS NO BRASIL

Após a promulgação da CF, o SUS foi regulamentado com a publicação da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, que dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e, com a Lei nº 8.142, de 28 de dezembro de 1990, que dispõe sobre a participação da comunidade na gestão do SUS e sobre as transferências intergovernamentais governamentais de recursos financeiros na área da saúde (98, 99). O desenvolvimento tecnológico e a subsequente incorporação das tecnologias nos sistemas de saúde acarretaram o aumento dos custos com o setor nos últimos anos, evidenciando a importância da ATS na tomada de decisão sobre investimentos em produtos e serviços que, necessariamente, acarretarão gastos para o governo no intuito de atender às necessidades e expectativas dos pacientes (2).

Dados do Instituto Brasileiro de Geografia e Estatística (IBGE) informam que, em 2019, as despesas com saúde, somando as públicas e privadas, representam 9,6% do Produto Interno Bruto (PIB) do país naquele ano, o equivalente a R\$ 711,4 bilhões de reais(2, 100). Proporcionalmente, as despesas não se diferenciam muito da média de países selecionados da Organização para a Cooperação e Desenvolvimento Econômico (OCDE), contudo, ficaram abaixo da participação de alguns deles, como Reino Unido (10,2%) e Alemanha (11,7%). Entretanto, enquanto

as despesas de consumo no setor privado corresponderam a 5,8% do PIB (R\$427,8 bilhões), com a maior parcela partindo das famílias e instituições sem fins de lucro a serviço das famílias, as do governo representaram somente 3,8% do PIB (R\$ 283,6 bilhões). Como a CF de 1988 permite a exploração da atividade pela iniciativa privada, a despesa per capita com o consumo de bens e serviços de saúde de famílias e instituições sem fins lucrativos direcionada aos serviços privados vem crescendo desde 2011, atingindo R\$ 2.035,60 em 2019, sendo responsável pelo aumento dos gastos do PIB nos últimos anos, ao passo que o PIB per capita do governo foi de R\$ 1.349,60. O gasto público brasileiro com saúde em relação ao percentual do PIB é inferior à participação da maioria desses países selecionados pela OCDE, superando apenas a do México (2,7%), o que demonstra a existência de um enorme desequilíbrio entre o sistema público e privado, tendo em vista que o percentual da população coberta por plano privado de saúde em dezembro de 2019 era de 24,02%. Em junho de 2022, o percentual se elevou para 25,6% (101).

Vale lembrar que o setor privado essencialmente replica os serviços do setor público e, atualmente, o maior país da América Latina conta com cerca de 215 milhões de brasileiros que, mesmo possuindo acesso a rede privada, em algum momento utilizam os serviços públicos, como recentemente com a campanha de vacinação contra a Covid-19. Ou seja, gasta-se quase 60% do PIB com aproximadamente 25% da população que tem acesso ao sistema de saúde privado, enquanto 40% do orçamento total da saúde é direcionada para os 75% restantes da população dependente exclusivamente do SUS, o que é um indicativo importante da inequidade do acesso à saúde no Brasil (102). Soma-se isso às desigualdades regionais do sistema de saúde, em que Estados da região Norte e Nordeste apresentam os piores índices em saúde do país na atenção básica, em recursos humanos e leitos, mortalidade e morbidade e despesas com saúde (103).

Não obstante o crescente desenvolvimento da indústria nacional para suprir a demanda interna, o Brasil ainda é muito dependente de importação para obter tecnologias em saúde, especialmente aparelhos e componentes de alta tecnologia. A balança comercial de dispositivos médicos é historicamente deficitária desde sua primeira medição em 2017 pela Associação Brasileira da Indústria de Dispositivos Médicos (ABIMO). No ano de 2020 e 2021, o setor registrou, respectivamente, déficit de 3,84 bilhões de dólares e 4,1 bilhões, o maior dos anos recentes (104). Em termos de valor, as importações de medicamentos e produtos farmacêuticos, exceto

veterinários, em 2021 e 2022 foram, respectivamente, 6,4 e 5,93 bilhões, enquanto as exportações ficaram em 403 e 610 milhões de dólares. Os cinco países dos quais mais importamos são Bélgica, China, Estados Unidos, Suíça e Alemanha (105). O agravante é que o crescimento das importações não necessariamente reflete o acréscimo proporcional no consumo do mercado interno, mas resulta do aumento dos preços dos produtos adquiridos no exterior, cuja principal causa seria o baixo investimento público em pesquisa e desenvolvimento, deixando o país ainda mais dependente de tecnologias importadas (106).

É neste contexto de crescimento populacional, mudanças do perfil epidemiológico com o envelhecimento e maior incidência de doenças crônico-degenerativas, restrição de recursos, aumento de gastos e surgimento de novas tecnologias que o interesse pela ATS, paralelamente com a evolução histórica da saúde pública no Brasil, foi e continua sendo impulsionado no país. Formalmente, o primeiro acontecimento sobre ATS ocorreu em Brasília em 1983. Custeado pelo governo brasileiro e pela OPAS/OMS, o evento contou com a participação de representantes da América Latina e Estados Unidos que ressaltaram diversos aspectos relacionados a ATS, tais como os problemas de transferência tecnológica, de eficácia, de custo e custo-benefício. Inúmeros seminários e consultas foram realizados nos anos subsequentes, formando um quadro crescente de expertos e interessados em ATS, observando-se o desenvolvimento institucional da pesquisa em ATS, especialmente nas universidades.

Com a regulamentação do SUS por meio da Lei Orgânica na década de 1990, verificaram-se óbices para a concretização da integralidade do cuidado e da igualdade distributiva em tecnologia, citam-se: falta de evidência científica que embasassem os procedimentos implementados, não padronização, utilização contraindicada ou sem efeito das tecnologias, conflitos de interesses entre os prestadores de serviços e a indústria da saúde. A partir dos anos 2000, inúmeras iniciativas e políticas foram desenvolvidas encorajando a institucionalização da ATS no âmbito do Poder Executivo Federal, como: a criação do Departamento de Ciência e Tecnologia (DECIT) do MS; a composição, em 2003, do Grupo de Trabalho Permanente de Avaliação de Tecnologias em Saúde (GT ATS), coordenado pelo DECIT; a criação do Conselho Nacional de Ciência, Tecnologia e Inovação (CCTI) do MS com representações de todas as partes relevantes do governo e da sociedade civil em 2004; em 2005, a formação da Política Nacional em Ciência, Tecnologia e Inovação

em Saúde e da Comissão para elaboração de Proposta para a Política Nacional de Gestão de Tecnologias em Saúde (PNGTS). Formado por representantes do Departamento de Assistência Farmacêutica, do Departamento de Economia da Saúde, da Secretaria de Atenção à Saúde, da Secretaria de Vigilância Sanitária, da Secretaria de Gestão do Trabalho em Saúde, da Secretaria Executiva, da Secretaria Nacional de DST e Programa de Aids, Anvisa e ANS, cabia ao GT ATS identificar as tecnologias consideradas estratégicas e de alta prioridade para o SUS que deveriam ser avaliadas. Em 2006, tornando-se o programa líder em ATS no Brasil, o DECIT passou a integrar a INAHTA e, neste mesmo ano, foi instituída a Comissão para Incorporação de Tecnologias do MS (CITEC). Foi com a instituição da CITEC que o processo de ATS começou a ser normatizado no Brasil levando em consideração aspectos sociais e gerenciais (8).

O escopo da CITEC era avaliar as solicitações de incorporação, alteração ou exclusão de tecnologias no âmbito do SUS e da Saúde Suplementar elaborando recomendações ao Ministro da Saúde sobre o tema. Para isto, competia à CITEC a solicitação de estudos de ATS à Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE), assim como a proposição de revisão de diretrizes clínicas e protocolos terapêuticos e assistenciais de interesse do sistema público de saúde. A não definição de prazos de análises, a desobrigação de realizações de consulta pública e a não previsão da participação social foram características peculiares da CITEC (8). Em 2009, finalmente a PNGTS foi instituída, cabendo ao DECIT a coordenação nacional das ações de ATS e a Rede Brasileira de Avaliação de Tecnologias em Saúde (REBRATS) apoiar o DECIT na geração e sintetização de evidências científicas (9). O Brasil foi escolhido para sediar o *HTAi Annual Meeting* em 2011.

A REBRATS, criada em 2011, passou a ser responsabilidade do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS/SCTIE/MS) somente a partir da publicação do Decreto nº 9.795, de 17 de maio de 2019 (10). A Portaria nº 146, de 26 de janeiro de 2021, que revogou a anterior de 2019, dispõe sobre a composição, objetivos e competências da REBRATS, adicionando representantes do Conselho Nacional de Secretarias Municipais de Saúde (Conasems), do Conselho Nacional de Secretários de Saúde (Conass), da Anvisa e da Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS) ao seu Comitê Gestor. A rede é constituída pelos Núcleos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS), cujos propósitos são: “I - produzir e

disseminar estudos e pesquisas prioritárias no campo de ATS; II - padronizar metodologias; III - promover capacitação profissional na área; e IV - estabelecer mecanismos para monitoramento de tecnologias novas e emergentes” (11). Os NATS são estruturas situadas dentro de instituições públicas ou privadas sem fins lucrativos que possuem recursos para executar a ATS. Definida pela Portaria como um “processo contínuo de análise e síntese dos benefícios para a saúde e das consequências econômicas e sociais do emprego das tecnologias em saúde”, a ATS deve observar as seguintes singularidades sobre a tecnologia: segurança, acurácia, eficácia, efetividade, equidade, custos, custo-efetividade, impactos éticos, culturais, ambientais e orçamentário.

Em 2011, a Lei n. 12.401, de 28 de abril de 2011, alterou a Lei nº 8.080 para incluir o capítulo VIII, que trata da assistência terapêutica e da incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do SUS. Atualmente, as atividades de incorporação, exclusão ou alteração de tecnologias, bem como a constituição ou a alteração de protocolo clínico ou de diretriz terapêutica (PCDT) no SUS, são atribuições do MS. Convertendo-se em importante marco na história do desenvolvimento da ATS no Brasil, a lei criou a Conitec, órgão colegiado de caráter permanente que integra a estrutura regimental do MS, substituindo a CITEC (23).

Tornando a ATS indispensável para a tomada de decisão sobre a incorporação de tecnologias no SUS, a lei dispõe sobre: a) a composição da Conitec com representante do Conselho Nacional de Saúde (CNS) e de um especialista na área indicado pelo Conselho Federal de Medicina (CFM); b) o prazo máximo de 180 dias para conclusão dos pedidos de incorporação, exclusão ou alteração de tecnologias em saúde, com possível prorrogação por mais 90 dias; c) previsão de consulta pública após divulgação do parecer da Conitec e de audiência pública em temas relevantes antes da tomada de decisão; d) critérios obrigatórios a serem incluídos no relatório de recomendação da tecnologia, quais sejam:

- I - as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou procedimento objeto do processo, acatadas pelo órgão competente para o registro ou a autorização de uso;
- II - a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, inclusive no que se refere aos atendimentos domiciliar, ambulatorial ou hospitalar, quando cabível. (Lei nº 12.401 de 28 de abril de 2011)

Dentre as outras medidas, a lei regulamenta a dispensação de medicamentos e produtos para o cuidado integral em conformidade com as diretrizes terapêuticas definidas em protocolos clínicos. Estes são definidos como documentos que estabelecem: os parâmetros para diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado nas diferentes fases evolutivas da enfermidade e opções terapêuticas em caso de falhas do tratamento padrão; as recomendações de posologias; os métodos de controle clínico, acompanhamento e a verificação dos efeitos terapêuticos. Inclui-se a regulamentação da distribuição da responsabilidade financeira e da dispensação em casos de ausência de protocolo ou diretriz com base nos pactos das Comissões Intergestores e dos Conselhos Municipais de Saúde.

Neste mesmo ano, a Lei nº 12.466, de 24 de agosto, também alterou a Lei 8.080, acrescentando sobre a atuação, escopo e representatividade das Comissões Intergestores Bipartite e Tripartite, do Conass e do Conasems na organização, direção e gestão do SUS (1, 107-109).

Presente em todo o território nacional, a Anvisa é responsável pelo registro de todo produto farmacêutico de qualquer natureza (vegetal, animal, mineral ou sintética) com finalidade terapêutica (profilática, curativa, paliativa ou para fins de diagnóstico). O pedido de registro, realizado por empresas fabricantes ou importadoras legalmente licenciadas, autorizadas e cadastradas no sistema de peticionamento eletrônico da Anvisa, é obtido no prazo de 90 dias, com algumas ressalvas, após uma criteriosa avaliação documental dos aspectos relacionados à qualidade, à segurança e à eficácia para a subsequente produção, comercialização e consumo. Há normas específicas para cada categoria de medicamento a fim de dar seguimento à análise administrativa e técnica-científica para a concessão do registro. Essa autoridade reguladora impulsiona os padrões regulatórios de segurança, qualidade e eficácia favorecendo o correto uso terapêutico e custo-efetivo dos medicamentos e produtos (110, 111). No entanto, para serem incorporados ao SUS, as tecnologias passam por uma segunda apreciação da Conitec.

Recentemente, a Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022, alterou a Lei nº 8.080 para acrescentar determinações essenciais a serem cumpridas no processo de incorporação tecnológica e sobre a utilização medicamentosa de uso distinta daquela aprovada no registro da Anvisa. No sentido de o tornar o processo administrativo de ATS *accountable* e imparcial, a Lei prevê a distribuição aleatória, respeitadas a especialização e a competência técnica requeridas para a análise da matéria;

publicidade dos atos processuais; ampla divulgação das metodologias empregadas na avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, “inclusive em relação aos indicadores e parâmetros de custo-efetividade utilizados em combinação com outros critérios”. Há, ainda, exceções a vedação da dispensação, pagamento, ressarcimento ou reembolso de medicamentos ou produtos experimentais de uso não autorizado ou sem registro pela Anvisa. Segundo a Lei, isso se aplica em dois casos. O primeiro é quando o uso do medicamento ou produto tenha sido recomendado pela Conitec, “demonstradas as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança, e esteja padronizado em protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde”, mesmo que a indicação de uso seja diferente daquela apontada no registro na Anvisa. A segunda exceção é quando a Anvisa dispensar o registro de imunobiológicos, medicamentos e outros insumos estratégicos adquiridos por intermédio de organismos multilaterais internacionais, a exemplo da OPAS, para uso em programas de saúde pública pelo MS e suas entidades vinculadas, desde que recomendados pela Conitec. A partir da vigência da Lei, a aprovação do registro pela Anvisa deixa de ser *conditio sine qua non* para o fornecimento de medicamentos. Se por um lado essa inovação legislativa sublinha o protagonismo da Conitec proporcionando celeridade na incorporação e ampliação do uso de tecnologias em saúde, por outro lado, pode resultar em riscos para a segurança do paciente devido aos eventos adversos não conhecidos, falta de um rígido controle e monitoramento, deficiências referentes aos critérios de responsabilização por danos e compensação para pacientes, possíveis ônus ao sistema de saúde público e responsabilizações do ente público que vier a estabelecer a incorporação de uso não aprovado pela Anvisa (112).

Criado em 2012 e atualmente regido pelo Decreto nº 11.358 de 01 de janeiro de 2023, o DGITS da SCTIE do MS exerce a direção da Secretaria-Executiva da Conitec, cuja função é assistir o órgão em suas atividades para promover o acesso e uso de tecnologias seguras e eficientes de forma racional. As demandas para incorporar nova tecnologia ao SUS podem partir de qualquer pessoa física ou jurídica: profissionais da saúde ou sociedades médicas, pacientes ou associações de pacientes, indústria farmacêutica, instituições de saúde, ensino e pesquisa, Poder Judiciário, o próprio MS ou órgãos do governo federal. Classificam-se, portanto, em origem da demanda interna ou externa. A primeira se refere às instituições públicas, da administração direta ou indireta da União ou de Secretarias Estaduais ou

Municipais. A segunda é proveniente de instituições privadas, organizações não governamentais ou pessoas físicas.

Desde março de 2012 a novembro de 2022, a Conitec recebeu 1.081 demandas, das quais 760 foram decididas, 56 estão em análise, 148 não conformes e 117 encerradas. Quanto ao tipo de tecnologia, os medicamentos representam expressivamente a maior parte das demandas com 73%, seguidos dos procedimentos com 16,4% e outros produtos 11,1%. As decisões favoráveis às incorporações representaram 54,7%, as de não incorporação 33,2%, exclusão 11,5% e somente 0,5% de não exclusão. Isso não significa que todos os pedidos correspondem a tecnologias inéditas, pois as mesmas podem ser submetidas a mais de uma avaliação. Demandantes diferentes podem enviar os pedidos em momentos distintos, a tecnologia pode ter diversas indicações terapêuticas (necessitando de estudos específicos para cada indicação), pode ocorrer necessidade de readequação de população-alvo ou de utilização, ou ainda um novo pedido devido a negativa em análise prévia (7).

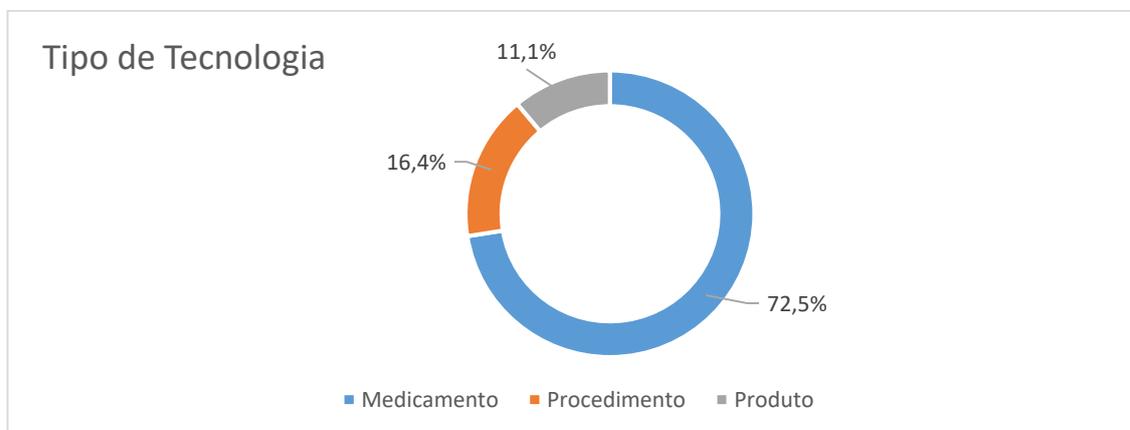


Figura 1: Proporção dos tipos de tecnologias em relação as demandas nos anos de 2012 a 2022. Fonte Conitec

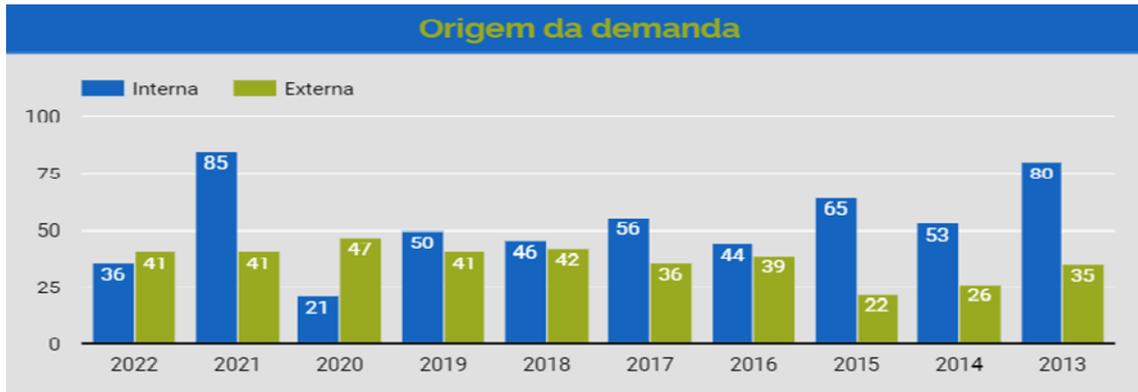


Figura 2: Relação demandantes internos e externos anos 2012 a 2022. Fonte Conitec

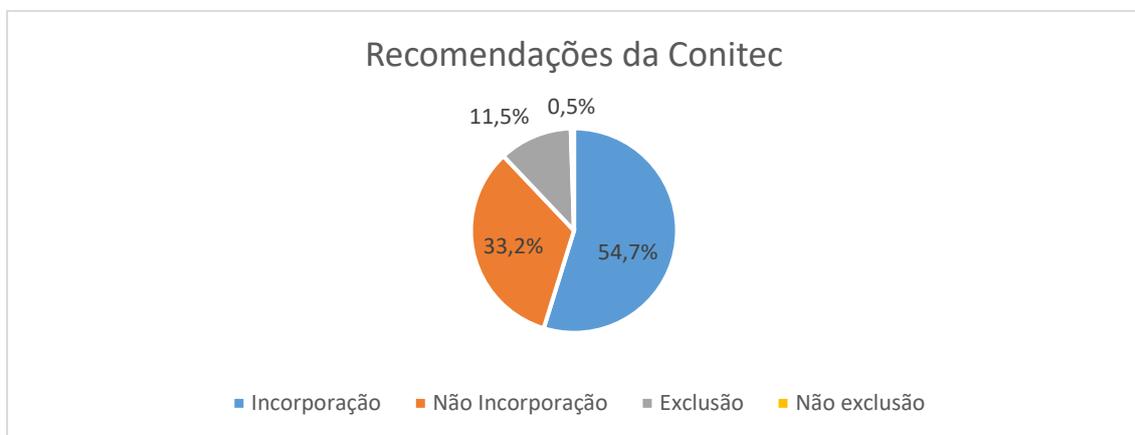


Figura 3: Tipos de recomendações da Conitec entre os anos de 2012 e 2022. Fonte Conitec

Em 2009, os primeiros NATS foram criados e, atualmente, segundo levantamento da Rebrats, há 88 NATS inscritos na rede localizados em todas as regiões do país. Destes, 24 se encontram nos Hospitais de Ensino, auxiliando o gestor na tomada de decisão sobre a inclusão, a difusão e o uso racional de novas tecnologias nos hospitais, introduzindo nestes âmbitos a cultura de ATS. De acordo com a capacidade técnica avaliativa, os NATS são classificados em níveis básicos, intermediários ou avançados com base em sua infraestrutura física e de recursos humanos em cada um dos três eixos: Síntese de Evidência, Avaliação Econômica e PCDT. A categoria básica, nível I, se aplica ao NATS que tem capacidade para desenvolver, após treinamento específico, documentos iniciais para as necessidades da gestão local. No nível II, desenvolvem documentos mais complexos e prestam serviços ao DGITS, alguns tutorados pelos NATS mais avançados. Por fim, no nível III, os NATS desenvolvem documentos autonomamente, podem ser contratados pelo DGITS de forma imediata e tutoram outros NATS e os demais centros no

desenvolvimento de estudos de ATS. São eles que executam a avaliação em si, buscando evidências da eficácia e segurança do produto na literatura científica, calculando a relação custo-efetividade e o impacto orçamentário da incorporação para o sistema (113).

2.2 COMPOSIÇÃO DA CONITEC E FLUXO DA ATS

Recentemente, a composição da Conitec foi alterada pelo Decreto nº 11.161 de 2022, estruturando-a em Secretaria-Executiva (SE) e três Comitês definidos por eixos temáticos (114): Comitê de Medicamentos, Comitê de Produtos e Procedimentos e o Comitê de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas. Cada Comitê, presidido pelo membro da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde (Sectics), é formado por quinze membros, dos seguintes órgãos e entidades: 7 do Ministério da Saúde (Sectics, SE, Secretaria Especial de Saúde Indígena, Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, Secretaria de Vigilância em Saúde, Secretaria de Atenção Primária à Saúde, Secretaria de Gestão do Trabalho e da Educação na Saúde); 1 da ANS; 1 da ANVISA; 1 do CNS; 1 do CONASS; 1 do CONASEMS; 1 do CFM; 1 da Associação Médica Brasileira; e 1 do NATS que integre a REBRATS. Tendo em vista um potencial problema quanto à qualidade dos pareceres elaborados pelos Comitês, um aspecto inovador e relevante que o Decreto inseriu foi a necessidade de formação qualificada de seus membros com direito a voto, de forma que eles devem ter experiência profissional e capacitação na ATS, ou mestrado ou doutorado em áreas relacionadas à ATS. Representante do CNJ, do Conselho Nacional do Ministério Público e do Conselho Superior da Defensoria Pública são convidados a participar das reuniões da Conitec sem direito a voto.

As competências da SE estão detalhadas no artigo 12 do Decreto 7.646 de 2011, de modo que cabe a ela (115):

I - realizar análise prévia dos requerimentos administrativos apresentados à CONITEC, por meio de avaliação da conformidade formal da documentação e das amostras apresentadas nos termos do art. 15;

- II - submeter as matérias de competência da CONITEC à consulta pública, quando cabível;
- III - praticar todos os atos de gestão técnica e administrativa necessários ao desenvolvimento das atividades da CONITEC, inclusive a sistematização de informações para subsidiar as atividades dos membros dos Comitês, nos termos do disposto em regimento interno; e
- IV - ofertar e incentivar a participação em cursos de aperfeiçoamento aos membros da CONITEC. (Decreto 7.646, de 21 de dezembro de 2011)

Esta tese foca no processo de incorporação tecnológica, assim sendo, não serão objetos de análise com suas especificidades os processos de exclusão, alteração de tecnologias em saúde ou PCDT.

O protocolo de requerimento de incorporação pela parte interessada no pedido de avaliação da tecnologia chega na SE da Conitec. Nesta ocasião ocorre a primeira análise de conformidade documental, ou seja, verificam-se o preenchimento integral do formulário; o número e validade do registro da tecnologia na ANVISA; evidência científica demonstrando que a segurança e eficácia da tecnologia é, no mínimo, simil quanto as disponíveis no SUS para a mesma indicação; o estudo de avaliação econômica comparando a tecnologia com as disponibilizadas no SUS; amostras de produtos, se cabível; no caso de medicamentos, o preço fixado pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED); e análise de impacto orçamentário da tecnologia no SUS.

Em seguida, a SE elabora relatório para subsidiar as recomendações dos Comitês, podendo solicitar informações complementares ao requerente, contendo: a) evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança da tecnologia acatadas pela Anvisa; b) avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas; c) o impacto da incorporação da tecnologia no SUS.

Em posse do relatório, a Conitec delibera preliminarmente, emitindo recomendação cuja SE submeterá à consulta pública pelo prazo de vinte dias, podendo reduzir para dez dias a critério do Comitê em casos de urgência devidamente motivada. A SE encaminha as contribuições e sugestões da consulta pública para os Comitês que as analisa em regime de prioridade, exprimindo, em seguida, sua recomendação final. Com o quórum mínimo de oito membros, as deliberações dos Comitês serão aprovadas, preferencialmente, por consenso. Caso contrário, a votação será nominal aprovada por maioria simples, na qual o Presidente do Comitê terá o voto de Minerva na hipótese de empate. A decisão final do Comitê é convertida

em registro, separado por tipo de recomendação, numerado correlativamente e subscrito pelos membros presentes na reunião. É possível ocorrer a recomendação pela incorporação provisória condicionada à reavaliação para manutenção. O registro, então, será encaminhado ao Secretário da Sectics/MS, que poderá solicitar a realização de audiência pública, conforme a relevância da matéria. Poderá ainda, requerer em regime de prioridade, a manifestação do Comitê sobre as participações apresentadas na audiência. O ato decisório do Secretário sobre o pedido formulado no requerimento será publicado no DOU. Todo o processo administrativo deverá ser concluído em prazo não superior a cento e oitenta dias, podendo ser prorrogado por noventa dias se necessário.

É cabível recurso da decisão para o Secretário no prazo de 10 dias contados a partir da ciência ou divulgação oficial da decisão, cuja não reconsideração no prazo de 5 dias acarretará o encaminhamento de ofício ao Ministro de Estado da Saúde, sempre com divulgação do resultado no DOU. Caberá, então, o Ministro do MS confirmar, modificar, anular ou revogar, total ou parcialmente, a decisão da Sectics em até trinta dias, prorrogável, mediante justificativa, por igual período com publicação no DOU.

Caso o pedido de incorporação seja aprovado pela Sectics, a oferta no SUS deverá ser efetivada em até cento e oitenta dias. Um aspecto significativo do procedimento administrativo da ATS para doenças ultrarraras é o uso de metodologias específicas para as avaliações da eficácia, acurácia, efetividade, segurança, econômica e de impacto orçamentário. Representantes de entidades, autoridades, cientistas e técnicos de qualquer nacionalidade poderão ser convidados pela Conitec para auxiliá-la com subsídios técnicos na elaboração dos pareceres.

Com a finalidade de manter a imparcialidade do processo de ATS, há previsão legal de declarar eventual conflito de interesse relativo às matérias tratadas no âmbito da Conitec pelos convidados, integrantes da SE e dos Comitês. Cabendo aos componentes deste último, a declaração de impedimento para votar na hipótese de conflito de interesse no tema a ser votado.

A seguir, temos a figura do fluxo de ATS pela Conitec para incorporação, exclusão, alteração das tecnologias em saúde, constituição ou alteração de PCDT.

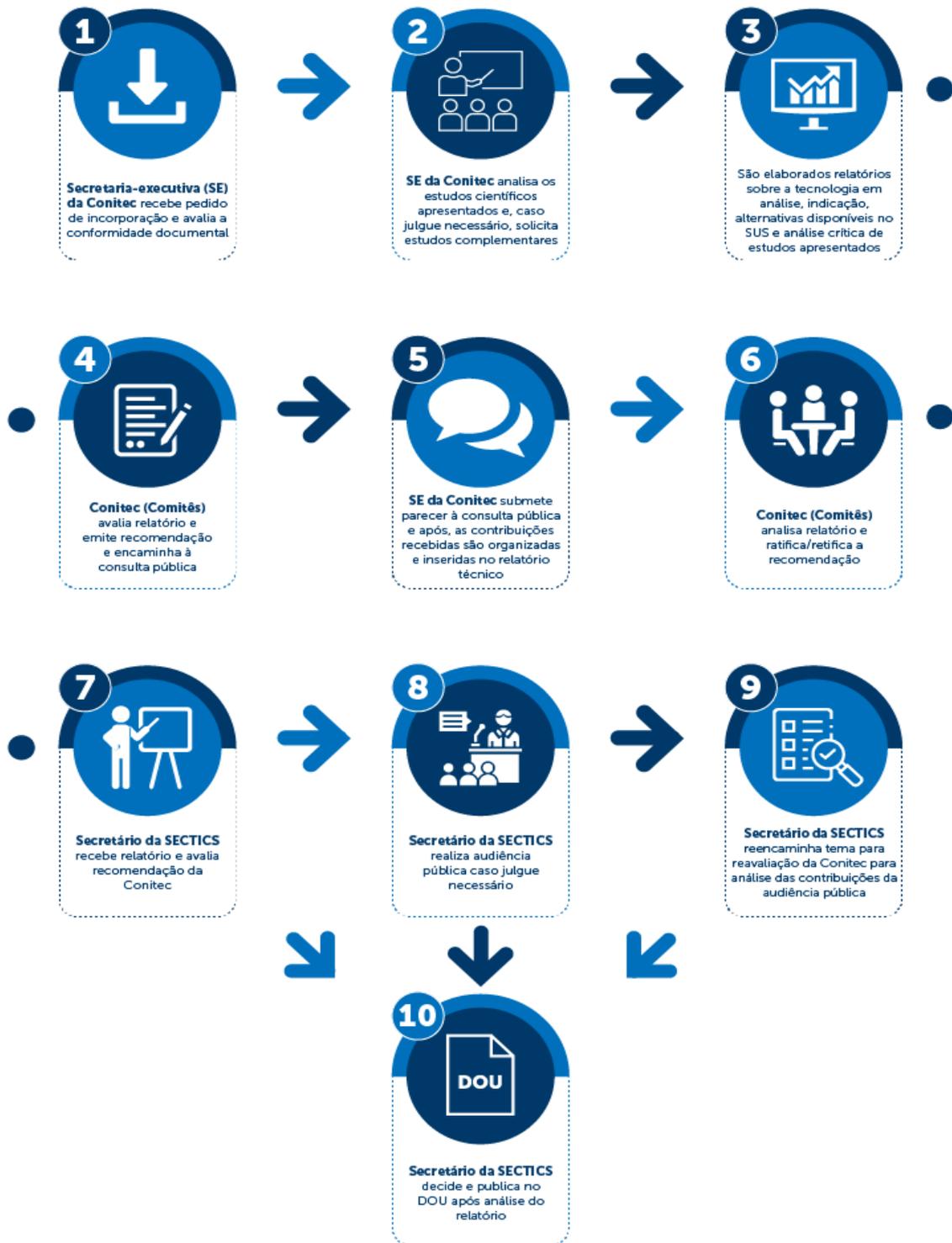


Figura 4: Fluxo de incorporação de tecnologias na CONITEC. Fonte: CONITEC 2023

2.3A PARTICIPAÇÃO SOCIAL NO PROCESSO DE ATS

Além de aprimorar o processo de ATS no Brasil para promover e proteger a saúde da população, a destinação responsável dos recursos disponíveis e a redução das desigualdades regionais, o DGTIS também tem a incumbência de ampliar e aperfeiçoar a participação social no processo de incorporação tecnológica, dando-o visibilidade. Em adição as consultas e audiências públicas mencionadas, outros modos de participação são previstos pela Conitec: enquetes, ouvidoria, representações em colegiados, solicitação de ATS para incorporação, chamadas públicas, cadastro de pacientes e associações e, Perspectiva do Paciente (116).

Por força da Lei nº 12.401, de 2011, todas as recomendações preliminares dos Comitês temáticos da Conitec são submetidas às consultas públicas no prazo de vinte dias, com exceções em casos de urgência da matéria. A consulta pública na ATS é um mecanismo para obter informações, opiniões e críticas da sociedade sobre o relatório com a recomendação preliminar da tecnologia avaliada pelo Comitê. A consulta pública utiliza formulários eletrônicos com eixos temáticos (técnico-científico, diretrizes clínicas, relatos de experiência ou opinião) com a finalidade de ampliar a discussão e embasar as decisões no processo de tomada de decisão para a inclusão de medicamentos e outras tecnologias no SUS. Com a mesma finalidade que as consultas, as audiências públicas, por outro lado, são facultativas. A critério do Secretário da Sectics, as audiências são empregadas antes da publicação de seu ato decisório para adquirir as contribuições da sociedade a respeito da tecnologia em análise. As enquetes são disponibilizadas como consultas prévias no início do processo de elaboração de PCDT pela Conitec, aspirando à melhoria do processo de uma proposta que identifique aspectos não considerados anteriormente, apreciando a participação popular desde o começo do PCDT e não apenas na deliberação final. A ouvidoria permite que usuários, gestores e profissionais de saúde se manifestem sobre denúncia (incluindo anonimato), elogio, reclamação, solicitação ou sugestão por diferentes canais de atendimento: presencial, postal, correio eletrônico ou telefônico. As representações nos colegiados se refere à composição da sociedade no CNS, formada por 48 membros titulares dos quais 9 são de associações de pacientes. As propostas de ATS para incorporação ao SUS são protocoladas eletronicamente no portal do ministério da saúde por meio do Sistema para a Gestão Eletrônica de

Processos de Incorporação de Tecnologias no SUS (e-GITS), em que devem ser submetidas, dentre outros documentos: as descrições da doença ou condição de saúde, da tecnologia, das evidências científicas da tecnologia comparada às disponibilizadas no SUS, os estudos de avaliação econômica na perspectiva do SUS, de impacto orçamentário, bula ou instrução de uso aprovada pela Anvisa. A proposta do castro de pacientes e associações é consolidar um banco de dados para ampliar iniciativas de participação social que serão realizadas pela SE da Conitec missão identificando usuários do SUS e associações de pacientes existentes no Brasil.

Incorporada em dezembro de 2020, a Perspectiva do Paciente como mecanismo de participação social, cuja sugestão de aprimoramento para sua utilização vinha sendo debatida desde 2014, consiste na participação de um representante de pacientes na reunião inicial da Conitec. Podem se inscrever nas chamadas públicas para a Perspectiva do Paciente: o paciente (usuário é a termo adotado pela Conitec), familiar, cuidador, tutor, representante de associação de usuários e pessoa próxima do usuário. Eles devem ter experiência com a condição de saúde abordada e disponibilidade para participação em todas as etapas do processo preparatório, tendo preferência na apresentação de seus relatos na reunião da Conitec aqueles que usufruam ou tenham usufruído da tecnologia em avaliação. Em algumas ocasiões, o tema avaliado pode envolver critérios específicos de participação. As associações de pacientes podem se fazer representar por meio de inscrição intransferível de uma pessoa como preposto na Plataforma Participa+Brasil.

Chamadas públicas são realizadas no site da Conitec para inscrição de interessados em participar da Perspectiva do Paciente, que ocorre durante a primeira reunião da avaliação inicial da tecnologia. O escopo da Perspectiva do Paciente é obter informações importantes sobre as vivências dos pacientes em sua concretude na avaliação inicial da tecnologia. Ao relatar suas experiências com a condição de saúde ou com a tecnologia em avaliação, a Conitec pode refletir sobre as necessidades e prioridades daqueles que serão diretamente afetados pelas decisões da agência de ATS. Até 30 inscritos por tema, é estimulado que os candidatos se articulem para indicar os nomes de um representante titular e um suplente. Quando houver mais de 30 inscritos ou não haver consenso, os representantes serão aleatoriamente sorteados pela Secretaria-Executiva da Conitec com transmissão simultânea plataforma *Teams*®, cuja gravação será enviada a todos por e-mail. A preparação dos representantes envolve dois encontros remotos obrigatórios antes da

reunião de apreciação inicial da tecnologia pela Conitec. O intuito dos encontros é fazer com que o representante conheça o funcionamento da reunião e a importância da Perspectiva do Paciente, de tal modo que sua ausência em um dos encontros impossibilita a representação na Perspectiva do Paciente durante a reunião da Conitec. Após a apresentação da tecnologia pelos membros do Comissão (em que são apresentados aspectos clínicos e epidemiológicos da condição, evidências clínicas e econômicas, monitoramento tecnológico e recomendações de outras agências de ATS), o representante titular (ou o suplente na sua ausência) declara se possui algum tipo de relação com a indústria de tecnologias em saúde, ou seja, conflitos de interesses. Há somente um relato para cada tecnologia avaliada na Perspectiva do Paciente cuja duração máxima de apresentação é de dez minutos, podendo fazer utilização recursos audiovisuais. Espera-se que o representante exponha sua experiência de viver com a condição de saúde e de uso da tecnologia em saúde em avaliação. Após a apresentação da tecnologia e da Perspectiva do Paciente, a Comissão emite a recomendação preliminar favorável ou desfavorável sobre a incorporação da tecnologia e o tema é, então, obrigatoriamente submetido a consulta pública (7).

De acordo com o disposto no artigo 37 da CF, os princípios da publicidade e eficiência que regem os atos administrativos, aplicados à participação social na ATS, buscam alicerçar as decisões sobre formulação e definição de políticas públicas, tornando o processo mais democrático e legítimo. Todavia, atenta-se para a ausência de uma política para apoiar o envolvimento em espaços formais abertos pela Conitec, assim como a falta de estratégias para uma participação mais precoce e ativa durante todas as etapas do processo de ATS desenvolvidas pela Conitec (26, 117). Foca-se na estratégia da Perspectiva do Paciente devido à incorporação recente pela Conitec, escassez de estudos sobre essa abordagem no cenário brasileiro e por representar uma atuação contemplada no campo dos direitos dos pacientes.

3 A PARTICIPAÇÃO SOCIAL DO PACIENTE NA ATS

Este capítulo aborda a multidimensionalidade da participação do paciente na ATS que, ao envolver diferentes atores, níveis e estratégias de envolvimento, problematiza a validade científica do conhecimento experiencial do paciente e o tokenismo. Para tal, a evidência baseada no paciente e a Perspectiva do Paciente são diferenciadas e as formas de manifestações do tokenismo são aprofundadas. Detalham-se as vantagens e limitações para encorajar a participação do paciente pelas agências de ATS.

3.1 ASPECTOS GERAIS DA PARTICIPAÇÃO DO PACIENTE NA ATS

O termo “participação do paciente” é empregado como sinônimo de múltiplas expressões, como engajamento, envolvimento, colaboração, parceria, capacitação ou cuidado centrado no paciente, revelando seu aspecto multidimensional ao englobar diversos públicos, tipos e níveis de envolvimento com os processos decisórios nas ATS, trabalhados sob a perspectiva individual ou coletiva. Esta participação tem suas origens no movimento do direito do consumidor na década de 1960, sobretudo no que tange ao direito à informação, à segurança, à escolha e ao direito de ser ouvido, estendendo-se a uma gama de ações, como a tomada de decisão, a automedicação, auto monitoramento, educação e estabelecimento de meta (30). Segundo Souliotis *et al.* (2018) a participação do paciente é o processo que permite com que este seja parte integrante do fluxo de tomada de decisão que afeta sua saúde em vários níveis: micro, meso ou macro. No nível micro ou individual o paciente participa nas decisões que afetam diretamente sua saúde, como um membro da equipe de saúde. O nível meso se refere as tomadas de decisões em saúde em nível local ou organizacional, a exemplo de feitos no município ou em uma rede de hospitais. Por fim, o nível macro envolve a participação nas tomadas de decisões em questões de saúde em nível

nacional ou internacional (30). Destarte, os pacientes podem contribuir no processo de formulação de políticas públicas de saúde.

De acordo com o Gagnon *et al.* (2021) a participação do paciente em ATS é realizada por meio de duas estratégias principais que, apesar de distintas, são complementares. A primeira abrange pesquisas sobre os aspectos do paciente, como consultas ou outras formas de participação indireta, na qual que experiências, preferências e perspectivas são solicitadas aos pacientes para informar as decisões. A segunda é a participação direta do paciente no processo de tomada de decisão em ATS em seus diferentes estágios (36).

Incitadas a responder demandas por maior informação, transparência, responsabilidade e legitimidade na ATS, as agências de ATS, que servem como uma ponte entre o mundo da pesquisa e o mundo da tomada de decisão, especialmente na formulação de políticas públicas, se deparam com os desafios de atender o rigor metodológico e científico dos gestores e, ao mesmo tempo, incluir a população nesse processo determinando quais abordagens de participação e em quais momentos elas seriam mais apropriadas (118-123).

Gauvin *et al.* (2010) estruturaram algumas facetas da multidimensionalidade da participação social do paciente na ATS, organizando-as em três categorias: tipos de público, domínios de envolvimento e níveis de envolvimento. Quanto ao público, os autores identificaram dois grupos. O primeiro composto de pessoas leigas sobre as tecnologias em saúde ou representantes da sociedade, como cidadãos, grupos que representam os cidadãos e membros eleitos, cujos interesses geralmente são fragmentados, sem afiliações organizacionais financeiras ou profissionais nos sistemas de saúde, carecendo de expertise ou experiência direta com a condição de saúde ou tecnologia em questão. O segundo grupo é composto justamente por representantes diretamente afetados que possuam essa experiência ou expertise, como os pacientes individualmente considerados, usuários dos serviços e seus representantes (15). Há dissenso moral quanto à representação de pacientes por profissionais de saúde, gestores e pesquisadores, podendo acarretar conflitos de interesses (124-126). No entanto, é relevante mencionar que não há uma única representação da perspectiva dos pacientes, pois os pacientes apontam diferentes aspectos como importantes em seus cuidados, impactando nas suas preferências sobre políticas de saúde. De tal forma que diferentes contribuições para o debate podem democratizar o processo e levar a desfechos mais legítimos e de melhor

qualidade (124). Em relação aos domínios de envolvimento na tomada de decisão na ATS, o público pode estar implicado na: formulação de políticas, na estrutura organizacional e na pesquisa. Os pacientes podem ajudar a definir quais serviços de saúde o governo deverá prover à população; intervir nas formas de condução da ATS pelas agências como meio de alcançar decisões transparentes, informadas e responsáveis; além de tornar os relatórios de ATS mais relevantes e alinhados aos seus valores, necessidade e preferências. Os níveis de participação pública se referem ao escalonamento do grau de controle exercido pelo público sobre o processo de ATS. Eles vão desde o mais simples, como receber ou buscar informações, fornecer dados, opinar, recorrer de decisões, colaborar ativamente compartilhando a autoridade da tomada de decisão e exercendo influência direta (a exemplo das participações em comitês consultivos), até o nível mais elevado, que é controlar certas fases do processo ou o próprio processo (15).

Focados na dimensão coletiva da participação do paciente, ou seja, concebendo-a como “atividades coletivas nas quais pacientes, familiares, usuários ou representantes dos pacientes estão ativamente engajados para moldar o desenvolvimento dos serviços de saúde”, Steffensen *et al.* (2022, p.1), demonstram a variedade de papéis da participação do paciente na ATS (31). Como detentores de conhecimento experimental, os participantes contam suas experiências auxiliando aspectos sobre qualidade de vida, reproduzindo uma divisão clássica entre o conhecimento leigo e o especializado, investindo pouco em sua participação, o que Nielsen e Langstrup chamam de tática do “*compliance*”, ou seja, uma conformidade protocolar que não proporciona verdadeiros diálogos e, conseqüentemente, embates (127). O papel dos pacientes como especialistas leigos investidos na produção de evidências continua a reproduz a ruptura entre os conhecimentos, mas os pacientes investem na aquisição de conhecimentos científicos permitindo que suas experiências traduzidas em evidências sejam discutidas nos termos dos médicos especialistas. O papel dos pacientes como tradutores de conhecimento engajados na construção de alianças vislumbra pacientes que estabelecem relacionamentos e moldam pontos de vista de outros *stakeholders* com a finalidade de obter mudanças a longo prazo em um processo contínuo que vai além da ATS de uma tecnologia específica. Na tática adotada de construção de alianças ou “*partnership*” os pacientes trabalharam para aumentar a conscientização e delinear novas concepções sobre mensurações de resultados e do desenvolvimento científico (127, 128). Por fim, o papel dos pacientes

como promotores de manifestação e contestação pública também repete a divisão entre leigos e especialistas, em que o conhecimento experimental dos pacientes é colocado em primeiro plano por meio de exposições midiáticas, jornalísticas ou políticas como expressões de seu descontentamento para aumentar a conscientização pública sobre a avaliação de terapias específicas (31). Esse tipo de participação é descrito por Nielsen e Langstrup como tática do “ativismo”, caracterizada por pragmatismo e pressão por mudanças (127).

As consultas são as principais estratégias de participação dos pacientes em ATS (33, 36). Alguns países da Europa e o Canadá desenvolveram projetos para ampliar as formas de participação direta (129). A Espanha, por exemplo, criou um fluxograma para orientar as decisões dos pesquisadores da Rede Espanhola de ATS do Sistema Nacional de Saúde (RedETS) sobre a participação precoce dos pacientes na ATS de forma que eles tenham a capacidade de influenciar o processo desde suas primeiras etapas combinando a participação direta com as evidências baseadas no paciente (130). A agência de ATS canadense (CADTH), criou o Comitê Consultivo de Pacientes e Comunidade, cuja composição reflete a diversidade de enfermidades, gênero, idade, cultural e geográfica do país, permitindo identificar barreiras socioeconômicas, políticas e de comunicação no alcance de cuidados de qualidade e equitativos (131). O NICE inclui grupos de pacientes na discussão que informa o desenvolvimento de dado protocolo nos Comitês de ATS para garantir a participação abrangente, eficaz e escuta das opiniões e experiências das pessoas mais afetadas pelas tecnologias e condições em avaliação (132, 133).

A partir do trabalho de Gauvin *et al.* (15), Facey (2017) aprofundou os mecanismos específicos de participação do paciente que as agências de ATS podem dispor (134). O resultado é um complexo referencial para as instituições apoiarem os pacientes, identificando a razão, os participantes e a forma de envolvimento em cada etapa do processo a depender do propósito e do contexto. Por exemplo, em situações que tangem o fornecimento de consultoria científica a um desenvolvedor de tecnologia, na definição do escopo de uma ATS, na tomada de decisão sobre incorporação de uma nova tecnologia, as agências podem utilizar: consultas públicas, revisão de especialistas, *workshops*, submissões a partir de um modelo pré-estabelecido, participação em reuniões com múltiplos *stakeholders* como membro igualitário ou convidado especialista entre outros. Esses mecanismos são parcamente utilizados, contudo o “*patient input*”, em que o paciente contribui coletando ou

fornecendo informações específicas verbal ou escrita para a ATS, parece estar crescendo. Consequentemente, o ônus da participação recai sobre o paciente ou grupo de pacientes, pois a qualidade do processo de participação dependerá de suas competências, realçando a necessidade de capacitá-los para contribuírem da melhor maneira. A autora defende que, da mesma forma que os órgãos de ATS abordam sistematicamente as revisões da literatura e modelos econômicos, deveria haver um processo sistemático para a participação do paciente que reunisse e relatasse claramente os *inputs*, demonstrando como contribuem para as recomendações e decisões. Tendo o mosaico como ponto de partida, os órgãos deveriam eleger os mecanismos ideais e que agregassem valor ao processo de ATS, reconhecendo que a participação do paciente é complexa, evolutiva e personalizada para a organização (17, 22, 134).

Assim, as oportunidades de participação do paciente no processo de ATS abrangem diferentes modos e momentos que podem coexistir e que devem ser guiados por princípios e padrões de qualidade. De acordo com o *HTAi Interest Group for Patient and Citizen Involvement in HTA*, os princípios que amparam a participação do paciente na ATS são: relevância, imparcialidade, capacitação, equidade e legitimidade. A relevância é o reconhecimento da importância do conhecimento, perspectivas e experiências únicas e contributivas do paciente para evidências na ATS. A imparcialidade concerne aos direitos de igual contribuição e acesso aos pacientes em comparação com outros *stakeholders* no processo de ATS, o que leva à capacitação dos pacientes e das agências de ATS para trabalharem conjuntamente e nas dificuldades para uma participação efetiva dos pacientes. A equidade é buscada compreendendo as várias necessidades dos pacientes a partir do envolvimento deles na ATS diante do equilíbrio exigido na justa alocação de recursos entre todos os usuários de um sistema de saúde, entrelaçando-se com a legitimidade. Inserir os pacientes na ATS contribui para um processo de tomada de decisão transparente, responsável e fiável, ou seja, legítimo, facilitando o envolvimento daqueles afetados pelas recomendações e decisões das agências (135). Como exposto por Steffensen *et al.*, a maioria dos modelos prescritivistas de priorização de recursos presume que a participação do paciente deve ser construída pelo consenso entre os atores afetados pela priorização com base no ideal habermasiano de democracia deliberativa (31).

Quanto aos padrões de qualidade que devem estar presentes no processo de ATS para a participação efetiva do paciente citam-se os seguintes quesitos: a)

existência de estratégias para envolver os pacientes e designação de recursos apropriados para esse fim; b) treinamento dos demais *stakeholders* para incluir os pacientes e suas perspectivas durante o processo de ATS; c) oportunidades de capacitação dos pacientes e suas organizações; d) reflexão e revisão dos procedimentos da participação dos pacientes na ATS; e) adoção de comunicação proativa e de cronogramas claros e prévios para ampliar a gama de pacientes participantes e de informações por eles obtidas; f) indicação de um membro da equipe de ATS para apoiar os pacientes; g) documentar e relatar as perspectivas dos pacientes e suas influências nas conclusões e decisões da ATS; h) dar *feedback* e sugestões aos pacientes ou às organizações sobre as contribuições mais úteis à ATS (135).

Compreender os valores e crenças expressos pelos pacientes podem ajudar a determinar o valor das tecnologias de saúde, tendo em vista que a ATS se destina a recomendar o financiamento delas, gerenciando, conjuntamente, as expectativas dos usuários finais. Ademais, estudos de preferências dos pacientes são usados para investigar os benefícios versus os potenciais danos advindos do uso da tecnologia, inclusive a longo prazo. Geralmente os órgãos de ATS que solicitam informações de pacientes contam com grupos de pacientes para fornecer informações que apoiam as deliberações (129). Faz-se mister diferenciar que apoiar e promover a participação do paciente em ATS não é qualificá-la como superior à evidência baseada no paciente. Estas devem ser parte integrante da ATS. Por conseguinte, abordaremos no próximo tópico a diferença entre esses dois conceitos.

3.2 EVIDÊNCIA BASEADA NO PACIENTE

Evidência baseada no paciente é um conceito complexo e multifacetado. Adota-se o proposto por Staniszewska e Werko (2021) no qual representa evidência ou conhecimento diretamente originário dos pacientes baseados nas experiências e cuidados de saúde, qualidade de vida, serviços de saúde, percepções, necessidades, preferências sobre seus cuidados e saúde, pesquisa em saúde, portanto, deveria ser incluída na ATS. Há, assim, a inclusão de componentes cognitivos e afetivos, quer

dizer, descrição de um evento ou situação pelo paciente e como eles se sentem em relação a isso. Agregando as narrativas sobre o conteúdo do cuidado, seu processo e as mudanças no estado de saúde (136). Narrada pela primeira vez em um artigo de Staniszewska *et al.* (2009), a evidência baseada no paciente foi proposta no “projeto PRIME” para complementar as evidências clínicas e econômicas de pacientes com síndrome de fadiga crônica. O projeto resultou em uma ampla gama temática e de dados para fornecer aos pesquisadores, clínicos e outros interessados uma visão aprofundada da experiência vivida por esses pacientes. Com foco na vivência com a síndrome e nos serviços de saúde, os dados poderiam ser usados e analisados como fontes-chaves de evidências para a prática, contribuindo para pesquisas focadas na agenda do paciente (137).

Devido à diversidade de fontes, a evidência baseada no paciente pode ser produzida a partir de diferentes gêneros de pesquisas, metodologias e métodos científicos, cujas vantagens e limitações são conhecidas, utilizando tanto abordagens quantitativas quanto qualitativas fornecendo conclusões robustas e que podem claramente ser interpretadas. A evidência baseada no paciente é assentada em pesquisas frequentemente publicadas em periódicos revisados por pares e incluem: “*patient-reported outcomes measurements*” (PROMs), experimentos de escolha discreta, processos hierárquicos analíticos, etnografias, métodos deliberativos inclusivos, análise de rede social e síntese de pesquisa qualitativa (22). PROMs ou estudos sobre qualidade de vida é, provavelmente, o campo mais próspero de evidência baseada no paciente, tanto conceitual quanto metodologicamente. Desenvolveu-se “em resposta ao reconhecimento de que as perspectivas do estado de saúde do paciente são importantes e dão uma contribuição importante para a ATS” (Staniszewska e Werko, 2021, p.2) (136). Outros aspectos da evidência baseada no paciente é que ela: a) depende de uma análise de qualidade (incluindo avaliação crítica formal e revisão por pares); b) baseia-se em questões de pesquisas específicas primárias ou secundárias; c) requer prazo longo para ser concluída; d) pode ser insuficiente na ATS a depender da contextualização do estudo; e) permite resumir de forma imparcial e vasta problemas dos pacientes quando ancorada em uma síntese de estudos; f) levanta diretamente questões de vieses, fornecendo alguma garantia de qualidade. A evidência baseada no paciente pode desempenhar um papel crucial na obtenção de uma ATS ampla ou completa (138). A ATS reduzida com foco em métodos econômicos tende a diminuir a influência dessa evidência (22).

Por outro lado, a Perspectiva do Paciente no processo de ATS tem origem nas perspectivas dos indivíduos, grupos de pacientes ou organizações, de forma que não utiliza ou necessita de uma metodologia específica. Embora possam ser originárias de pesquisas, as informações ou perspectivas que os pacientes fornecem ao participarem do processo de ATS geralmente não se originam delas. Portanto, a qualidade dos métodos para reunir *inputs* pode não ser clara ou mesmo não considerada como tão importante, conseqüentemente, o conceito de qualidade pode depender de fatores como diversidade de perspectivas e autenticidade. A participação do paciente pode ocorrer em qualquer momento do processo de ATS e a seleção das perspectivas pode ser contextualizada, parcial, abrangente ou informativa (22, 138).

Alguns desafios da inserção da evidência baseada no paciente na ATS são: conceituais e metodológicos, posição hierárquica em comparação às rígidas evidências projetadas para a pesquisa clínica e escassez de abordagens para integrar as evidências. Há dificuldade em envolver pesquisadores com experiência em ciências sociais no desenvolvimento de metodologias e métodos qualitativos na ATS, pois, historicamente, a evidência foi assumida como baseada em pesquisa quantitativa. Stanizewska e Werkö defendem que a evidência baseada no paciente deveria ter o mesmo status que as evidências clínicas e econômicas. Essas últimas, somente, não são suficientes para uma ATS completa ou ampla (138). Em 2004 Coulter já havia enfatizado que, como a ATS envolve julgamentos de valor, a participação do paciente e do público deveria ser maior, bem como a inclusão de abundantes métodos variados para determinar a experiência, pontos de vista e preferências dos grupos de pacientes na ATS (34).

O *DACEHTA Handbook* em ATS e o *EUnetHTA Core Model®* (Kristensen and Sigmund 2008) apresentaram métodos para obter evidências robustas sobre as perspectivas e experiências dos pacientes em uma ATS abrangente (88, 139). Contudo, de acordo com o *EUnetHTA Core Model*, ao realizar uma ATS sucinta não há necessidade de preencher o tópico “pacientes e aspectos sociais”. Dessa forma, os órgãos de ATS que focam em evidências clínicas e de custo-efetividade em um curto espaço de tempo não contribuem para a evolução das evidências centradas no paciente, tendo em vista que a ATS ampla considera todos os aspectos relevantes da condição ou produto estudado (136).

Lehoux e Jimenez-Pernett defendem o relevante papel de métodos qualitativos na ATS alertando que, em algumas circunstâncias, os métodos qualitativos

representam a opção tecnicamente superior, posto que nem todos os problemas podem ser resolvidos apenas com métodos quantitativos. Dimensões socioculturais, políticas e organizacionais que impactam o acesso da tecnologia, assim como sua eficácia no mundo real podem ser esclarecidas por estudos qualitativos que: focam na perspectiva dos participantes do estudo, descrevem profundamente o cenário de pesquisa, apresentam uma visão holística sobre os fenômenos de interesse, enfatizam processos e desenhos de estudos flexíveis adaptados às descobertas emergentes. Para tanto, os métodos qualitativos utilizados na ATS exigem um corpo específico de conhecimentos e habilidades por parte dos avaliadores a fim de que eles sejam capazes de extrair significativamente evidências de estudos científicos sociais que sejam relevantes para as perspectivas, preferências e experiências dos pacientes. Citam-se alguns desses métodos: 1) etnografia – frisa a situação social em que o uso de uma tecnologia se desenvolve, detalhando as configurações particulares definidas pelo lugar, atores e atividades envolvidas; 2) métodos deliberativos na ATS centrados no paciente – revelam as perspectivas, preferências e experiências dos pacientes trazendo diferentes e desafiadores pontos de vista para um diálogo coletivo proporcionando oportunidades de aprendizado para todos os envolvidos; 3) pesquisas baseadas em mídias sociais – se por um lado podem contornar barreiras físicas, geográficas, socioculturais para a coleta de dados, por outro lado enfrentam desafios quanto a veracidade e amostra dos dados e participantes, não devendo ser utilizada na condução de pesquisas rápidas, baratas e viáveis; 4) síntese de evidências qualitativas - tornou-se uma ferramenta metodológica sólida importante na ATS possibilitando identificar achados análogos ou díspares entre e dentro de diferentes populações e contextos a partir de um conjunto de estudos qualitativos que abordam um tópico semelhante. Ao pesquisador avaliador caberá ainda escolher qual o melhor método qualitativo, se há necessidade de integrar dois ou mais métodos e desvendar os fundamentos epistemológicos da evidência baseada no paciente (140).

Os países encontram-se em diferentes fases do desenvolvimento dos seus sistemas de ATS e sofrem uma série de pressões de diversas ordens (financeiras, políticas, estruturais) para incluir evidências de alta qualidade à ATS. Suécia, Dinamarca, Escócia e Alemanha são exemplos dos raros países que utilizam a evidência baseada no paciente em seu processo de ATS. De acordo com a *Canadian Health Services Research Foundation* (CHSRF), a evidência coloquial é um tipo de evidência que, muitas vezes, permanece informal, porém tem contribuição valiosa

para a formulação de políticas públicas. Ela se refere às experiências, pontos de vista e realidades das partes interessadas e lançam luz sobre recursos, opinião de especialistas e profissionais, julgamentos políticos, valores, hábitos e tradições, grupos de pressão e contingências particulares da situação (141).

Segundo Stanizewska e Werkö (2021), uma mudança de paradigma para uma coprodução de evidências baseadas no paciente é necessária. Ou seja, além da atribuição fundamental como participantes de pesquisa fornecendo dados, os pacientes devem atuar como colaboradores ativos na criação conceitual e metodológica dessas evidências juntamente com os pesquisadores. As evidências coproduzidas poderiam se tornar até mesmo em um critério chave de qualidade na ATS, colocando o paciente no centro do avanço metodológico. À vista disso, compartilhamento de poder, respeito, reciprocidade, construção e manutenção de relacionamentos são princípios-chave dessa coprodução de evidências (136). A ATS deve permanecer fiel às profusas realidades dos pacientes trabalhando com métodos qualitativos para melhor explicar a eficácia, aceitabilidade e relevância de uma tecnologia dentro do contexto de suas vidas. O que inviabiliza uma única abordagem universalizável na ATS para gerar evidências centradas no paciente que possam investigar o impacto das tecnologias em suas vivências (140). Isso exigirá mudanças culturais e nas formas de trabalho que reflitam a essência da prática da participação pública, ou seja, transformações sociais mais amplas a fim de garantir que pesquisas robustas sobre as perspectivas, experiências, preferências dos pacientes sejam abordadas na ATS (138, 142).

3.3 TOKENISMO E SUA MANIFESTAÇÃO NA ATS

Uma vez recebidos, ainda se enfrenta dificuldade para incorporar os *inputs* dos pacientes nos documentos dos comitês e nas avaliações formais em ATS (129). Como mencionado, uma transformação social seria necessária frente a tensão entre abordagens científicas e democráticas sobre a participação do paciente na ATS. Há preocupação com o comprometimento da integridade da ATS quando à validade e à legitimidade da evidência proveniente de *inputs* (19, 22, 138, 143).

Outra preocupação da participação do paciente é a incitação a alguma forma de “tokenismo”. O termo sem tradução exata para o português poderia ser descrito como desconsideração ou desprestígio da participação social ou não proporcionalizar meios para que ela ocorra eficazmente (29). Por eficaz entende-se o nível de influência da participação pública nas decisões coletivas (32). Hahn *et al.* (2017) o definem como a prática de fazer esforços superficiais ou simbólicos para envolver comunidades ou pacientes, tais como: baixa diversidade dos tomadores de decisão; participação tardia; falta de definição de papéis, de formação adequada, de comunicação, de *feedback*; horários, prazos e formato deficientes; ausência de esforços para construir relação de confiança e duradoura (144). Argumenta-se que a participação pode ser usada para legitimar as decisões já tomadas pelas elites no poder (31). Como indicado por Souliotis *et al.* (2018), a crescente participação dos grupos de pacientes nas políticas de saúde não necessariamente levam à sua efetividade política, com alguns autores argumentando que essa participação constitui mera inserção ao invés de participação efetiva (30). Por exemplo, a ausência de *feedback* pelos tomadores de decisão e outros métodos consultivos unidirecionais de participação social podem ser caracterizados como uma estratégia de tokenismo. Essas limitações de não obrigatoriedade por parte das agências de adotar *feedback* ou de os pacientes não possuírem qualquer poder de tomada de decisão acabam por abalar as estratégias de participação do paciente (e participação social no geral), justificando a inquietação sobre tokenismo nas perdas de oportunidades para consideração dos *inputs* dos pacientes na ATS (35).

Ao analisar uma série de artigos publicados no IJTAHC que apresentavam as abordagens de ATS em quatro países (Suécia, França, Reino Unido e Holanda), Coulter (2004) descreveu seu desgosto ao que parecia indicar que os pacientes, tanto como contribuintes quanto público-chave, eram periféricos para o processo de ATS. Mesmo nesses países com uma ATS presumidamente mais avançada com representantes de pacientes e representantes públicos em seus comitês entre a infinidade de instituições envolvidas na ATS, os pacientes raramente ou nunca estavam diretamente envolvidos no processo (34). Em adição a posição periférica, Wale *et al.* (2021) apontam que a participação dos pacientes é por eles relatada como muita tardia para fazer uma real diferença no processo de ATS. Os comitês de ATS podem se sentir desconfortáveis com a escuta sobre as experiências individuais dos pacientes e suas necessidades não atendidas ou podem não ver a relevância de sua

presença nos comitês (129). Boivin *et al.* (2014) observaram que a participação social que meramente provê ao representante um lugar à mesa nas deliberações de planejamento do sistema de saúde, sem o devido suporte, provavelmente não mudará decisões sobre políticas de saúde, pois estas ficam sujeitas às pressões do argumento da “autoridade científica” ou do voto da maioria (32).

Apesar de existirem mecanismos que proporcionam a participação do paciente, em muitos é possível notar a presença do tokenismo, tendo em vista a incapacidade de levar em conta as perspectivas dos pacientes. De acordo com as evidências em nível internacional, Ocloo e Matthews (2016) descrevem que é esperado que os representantes dos pacientes trabalhem dentro dos sistemas existentes para melhorar a qualidade e a segurança dos serviços. Segundo as autoras, esse nível de participação foi criticado por oferecer poucas oportunidades de influenciar profundamente os processos de tomada de decisão. Servindo para manter os interesses e os poderes de profissionais e do sistema, os modelos de participação estavam frequentemente enraizados em uma abordagem mecanicista, controladora, profissionalmente dominada, pragmática e atórica para obter os *inputs* dos pacientes (33).

Como bem colocado por Oliveira e Eler (29):

O direito de participar da condução dos assuntos públicos e o direito à saúde, sob a dimensão da participação, assegura aos pacientes não apenas expressar suas perspectivas quanto aos impactos das tecnologias em saúde na sua vida, mas, sobretudo, perceber sua influência efetiva nas decisões tomadas na ATS. No entanto, na falta de métodos de como se devem considerar os aportes informacionais do paciente, a participação social no âmbito da ATS permanece imprecisa, acaba por configurar mero atendimento aos requisitos legais ou se caracteriza como tokenismo.

[...] Nesse sentido, os pacientes não são encarados como verdadeiros parceiros experts do processo de ATS, sendo sua participação compreendida como mero relato de experiência (Oliveira; Eler, 2022, p.141).

As autoras retratam a falta de transparência em relação às formas de considerações pelos membros da Conitec sobre as contribuições das perspectivas dos pacientes, bem como a falta de manifestação dos membros após as exposições dos pacientes passando adiante para outro tópico da reunião. Alertam que essas condutas devem ser evitadas, pois “revela certo aspecto do tokenismo, ou seja, a presença do paciente tratada como modo de legitimar a deliberação, sem tomar em

consideração de forma séria e efetiva a sua participação” (Oliveira e Eler, 2022, p.147).

De acordo com Majid (2020), o tokenismo é especialmente suscetível de ocorrer nas organizações de serviços de saúde onde verificam-se diferenças naturais de poder entre pacientes e profissionais de saúde. O autor apresenta quatro dimensões do tokenismo, a saber: a) Poder desigual dos pacientes, especialmente em relação aos profissionais de saúde; fazendo alusão a capacidade de contribuir para uma mudança eficaz e sustentável nas estruturas de poder das instituições; b) Impacto limitado, quer dizer, o *input* do paciente é obtido, mas não é utilizado para fazer uma diferença significativa da participação do paciente devido as falhas de apoios, recursos, provisões adequadas, limitando a extensão dos benefícios às instituições de saúde e afins; c) Motivos ocultos, quando profissionais de saúde e os tomadores de decisão utilizam as experiências, perspectivas e preferências dos pacientes como forma de alcançar seus objetivos pessoais ou profissionais, modificando, suprimindo ou selecionando narrativas ou grupos de pacientes que lhes interessam; d) Oposto de participação do paciente significativa (145). Apesar de haver confusão na utilização do termo no planejamento e projeto de serviços de saúde (146), Hamilton *et al.* descrevem como significativa a participação com abordagem planejada que envolve os pacientes. Estes, por sua vez, a percebem como uma experiência gratificante e produtiva (147).

Ademais do tokenismo, outras adversidades são apontadas na implementação de métodos para uma participação efetiva dos pacientes durante todo o processo de ATS.

3.4 LIMITAÇÕES E PROMOTORES DA IMPLEMENTAÇÃO DA PARTICIPAÇÃO DO PACIENTE NA ATS

Corroborando os achados de Facey e demais autores (32, 33, 36, 126, 129, 134), Huls *et al.* (2019) sistematizaram as principais adversidades ligadas a integração das preferências dos pacientes na ATS, categorizando-as, em ordem decrescente

segundo a frequência de problemas levantados na literatura em: metodológicos (82%), processuais (73%), normativos (51%), práticos (24%) e conceituais (9%) (16).

Quanto aos problemas metodológicos citam-se: a escolha dos métodos para elucidar preferências dos pacientes e em quais momentos utilizá-los na ATS, a confiabilidade e a validade das preferências diante da instabilidade ao longo do tempo e da heterogeneidade demográfica dos pacientes; seleção da amostra; generalizações para outros países, contextos socioculturais e condições de saúde. Os problemas processuais estão relacionados: à avaliação do impacto das preferências (sobretudo em comparação aos estudos clínicos e econômicos na tomada de decisão na ATS e o nível de consideração como evidência científica robusta); à possibilidade de adicionar ou substituir o paradigma QALY; às ponderações éticas, educacionais e informativas das preferências dos pacientes na ATS. Categorizados como normativos, listam-se as seguintes adversidades: mensurar a relevância dos resultados para o paciente; levantar as preferências de quais sujeitos (representantes, organizações, cuidadores, pacientes com ou sem experiência); sintetizar as preferências de várias amostras tornando-as valiosas como um todo; buscar fatores externos influenciadores nas preferências, tais como mídia, família, indústria farmacêutica, profissionais de saúde, entre outros. Quanto às questões práticas mencionam a superação das limitações de recursos financeiros, humanos, estruturais e temporal. Por fim, os problemas conceituais envolvem a definição das preferências dos pacientes (16).

Ainda de acordo com o estudo, a integração das preferências dos pacientes na ATS é mais relevante em situações em que: a) não há um tratamento considerado superior; b) há apenas benefícios marginais ou múltiplas alternativas amplamente variáveis em termos de risco-benefício; c) é alta a incerteza do resultado; d) as preferências dos pacientes sejam muito heterogêneas; e) envolvam doenças raras que poderiam se beneficiar precocemente com a ATS (16). Concebida como aspecto que melhora a aceitação, a adesão e a satisfação dos pacientes com as condutas propostas pelas agências de ATS, a integração dos pacientes na tomada de decisão torna o processo mais informado e mais transparente com a inclusão dos julgamentos de valores relevantes e *inputs* (16). Dificilmente o apoio social às decisões em ATS será mantido se o público não é informado sobre a importância e relevância do processo para ele e junto a ele. A participação social na ATS e a divulgação dos resultados à população exercem notável função no “processo de educação pública e na promoção da participação democrática na política de saúde” (Coulter, 2004, p.92).

Por outro lado, cabe aos pacientes se dedicarem e se comprometerem com sua qualificação e buscar meios estratégicos de participação (29).

Wale *et al.* (2017) resumiram 4 principais argumentos que deveriam ser priorizados pelas agências de ATS que ainda não contavam com a participação dos pacientes em seu processo de avaliação. O primeiro recai sobre a perspectiva do direito que será abordada no próximo capítulo. Os demais argumentos aludem às contribuições de evidências, metodológicas e valores (148). A participação do paciente deve ser encorajada em todas as fases do processo de ATS. Na determinação de prioridades para avaliação, por exemplo, os pacientes geralmente partem de uma série de problemas de saúde, e não uma lista de tecnologias, o que pode levar a uma visão muito diferente das prioridades. A abordagem centrada no paciente na ATS, em que estes são inseridos precocemente na elaboração de ensaios ou estudos, pode aumentar as chances de produzir resultados significativos, incluindo uma variedade de métodos para determinar a experiência, pontos de vista e preferências de grupos mais amplos de pacientes (34, 129). A pesquisa clínica sozinha pode não fornecer as informações completas sobre os custos totais dos cuidados e outros benefícios não abordados nos ensaios clínicos, a exemplo das necessidades não atendidas, vantagens não capturadas em medida de ganho de saúde, como é viver com a condição e seu tratamento dentro do sistema de saúde. Em adição ao argumento centrado nas contribuições de evidência, a participação do paciente é alegada como importante para a evolução metodológica da ATS sobretudo em dois novos passos para uma ATS oportuna: aconselhamento científico precoce e entrada gerenciada no sistema de saúde junto com o acúmulo de evidências do mundo real. Este último com grande aporte para situações em que permaneçam incertezas das evidências ao realizar uma ATS de uma tecnologia inovadora, por exemplo, os tratamentos para doenças raras, fornecendo, ao mesmo tempo, acesso antecipado a uma tecnologia e evidências de mundo real (148).

Outro argumento para integrar os pacientes e seus *inputs* na ATS recai sobre a ética. Como a ATS não é uma atividade puramente técnica, decisões sobre prioridades políticas e racionamento envolvem julgamentos de valores. Portanto, a ponderação de opiniões entre especialistas e pacientes, bem como a explicitação dos parâmetros decisórios publicamente acordados e debatidos, são fundamentais para o processo político numa sociedade democrática (34). Envolver os pacientes e o público em geral no processo de ATS é meio importante para identificar e integrar seus valores

devido as diferenças culturais entre os países. Cada país possui seus próprios valores que alicerçam seu processo de ATS na definição, por exemplo, de quais tecnologias serão ou não avaliadas, quais os comparadores, qual população é elegível para ter acesso a tecnologia. Os benefícios de uma tecnologia e, portanto, seu valor para o paciente em termos de resultados de saúde são dependentes não só da tecnologia em avaliação, mas também da interação com outros cuidados e profissionais (148).

Wale *et al.* (2021) discorrem que geralmente as agências de ATS trabalham sobre os princípios de justiça, equidade e legitimidade para moralmente e eticamente justificar a tomada de decisão. Para tanto, elas usam um processo consistente e bem definido de avaliação e aplicam rigor científico na valoração da evidência (149). Rand *et al.* (2019) sustentam que para que haja equidade na tomada de decisão nos cenários de alocação de recursos escassos, as experiências dos pacientes devem ser sintetizadas de modo que gerem evidências de alta qualidade e metodologicamente rigorosas por meio de métodos quali e quantitativos. Ao invés de ser tratada como anedota pessoal revelando aspectos do tokenismo, a consideração da experiência do paciente como evidência no mesmo patamar que as demais assegura igualdade de oportunidade. Isso porque, analisar toda evidência relevante dá a cada pessoa igual oportunidade de acesso a um processo justo para ter seu tratamento incorporado ou subsidiado, contribuindo não apenas instrumentalmente com evidências clínicas, mas também para o entendimento da natureza da condição e seus efeitos, efeitos do tratamento na vida dos pacientes e de seus cuidadores. Todos esses *inputs* são relevantes para a tomada de decisão, portanto, devem ser formalmente computados como evidência dentre todas as evidências disponíveis e igualmente consideradas. Os tomadores de decisão não podem abordar o processo com preconceitos, ou seja, estarem predispostos a valorar mais um critério, por exemplo, custo-efetividade, a outros como necessidade do paciente ou efetividade clínica. Assim, novos tipos de avaliações e revisões de evidências precisam ser implementados pelos órgãos de ATS (19).

Apreende-se que a participação precoce do paciente em todas as etapas da ATS e a avaliação dos métodos participativos são necessários para construir um processo de tomada de decisão em conformidade com os valores democráticos da dignidade da pessoa humana, justiça e equidade. Uma mudança na perspectiva que considere os pacientes como parceiros nas decisões sobre os cuidados em saúde construindo e valorizando um relacionamento respeitoso, significativo e representativo

entre os atores envolvidos perpassa pelo entendimento da multiplicidade de interesses sociais e que busca agregar legitimidade e transparência nos processos decisórios das políticas de saúde incluindo os atores historicamente excluídos.

Ademais do clamor pela inclusão e pelo direito de se expressar e participar das decisões, as adoções de mecanismos participativos pelas agências de ATS constituem dever ético e jurídico decorrentes de obrigações assumidas pelos Estados de respeitar e promover os direitos humanos. Destarte, o referencial normativo dos Direitos Humanos dos Pacientes foi escolhido para lançar luz sobre a participação dos pacientes na ATS no Brasil.

4 DIREITOS HUMANOS DOS PACIENTES

O presente capítulo tem como propósito estudar a interconexão entre os Direitos Humanos, a Bioética e os Direitos Humanos dos Pacientes e seus desdobramentos. Os DHP escolhido como referencial teórico normativo, incluem uma série de direitos no âmbito dos cuidados em saúde. Considerando a participação do paciente, sobretudo a Perspectiva do Paciente na tomada de decisão na ATS, como parte integrante dos DHP por representar condições *sine qua non* ao pleno exercício do direito humano à saúde.

4.1 DIREITO INTERNACIONAL DOS DIREITOS HUMANOS

Prescindindo sobre as origens históricas dos Direitos Humanos, o Direito Internacional dos Direitos Humanos (DIDH) é área autônoma do Direito constituída por tratados, declarações, direito costumeiro internacional, princípios gerais, seus mecanismos e órgãos de monitoramento da sua efetivação e outras fontes de Direito Internacional. O Sistema da Organização das Nações Unidas (ONU) e os sistemas regionais, Sistema Europeu, Sistema Interamericano e Sistema Africano são Sistemas Internacionais de Direitos Humanos caracterizados por apresentar normas, órgãos e mecanismos de monitoramento. O Sistema ONU de Direitos Humanos abarca todos os 193 Estados membros da ONU, possuindo, portanto, abrangência global. A Declaração Universal dos Direitos Humanos de 1948, o Pacto Internacional de Direitos Civis e Políticos e de Direitos Econômicos, Sociais e Culturais (PIDESC) de 1966, as Convenções referentes à Eliminação de Todas as Formas de Discriminação Racial de 1965, à Eliminação de Todas as Formas de Discriminação contra a Mulher de 1979, contra à Tortura de 1984, sobre os Direitos das Crianças de 1989, sobre à Proteção dos Direitos de Todos os Trabalhadores Migrantes e dos Membros de suas Famílias de 2003, sobre os Direitos das Pessoas com Deficiência de 2007, à Proteção de Todas as Pessoas Forçadamente Desaparecidas (2008) são os principais tratados que

compõem os objetos normativos do Sistema ONU. O Brasil responde por violação de direitos humanos à Comissão Interamericana de Direitos Humanos e à Corte Interamericana de Direitos Humanos (150).

Os direitos humanos são, portanto, normas jurídicas universais que protegem indivíduos e grupos contra ações ou omissões dos governos que atentem contra a dignidade humana. Possuem como características: previsão em normas internacionais, proteção de pessoas ou grupo de pessoas, vinculantes para os Estados ou agentes estatais, inalienabilidade, indivisibilidade, interdependência, inerentes a todas as pessoas e centrados na dignidade humana. O respeito à dignidade humana é o princípio matriz dos direitos humanos, entrelaçando seu conteúdo ético e jurídico (43).

São exemplos de direitos humanos o direito à vida; à liberdade de expressão; à participação e à inclusão no desenvolvimento sociocultural, político e econômico; direito ao trabalho; à educação; à saúde; de não ser discriminado, entre outros. Categorizados como direitos civis e políticos estão aqueles direitos de aplicação imediata em que o Estado não deve se imiscuir na vida privada dos indivíduos, e em direitos econômicos, sociais e culturais os direitos que são progressivamente implementados pelo Estado a depender da disponibilidade de recursos financeiros (151). Os referidos documentos de direitos humanos tratam das relações entre indivíduos e Estados, ou seja, o Estado é o destinatário das obrigações em relação às pessoas (43).

Sem descartar a relevância dos demais direitos humanos, até porque suas características (indivisibilidade e interdependência) não permitem, esta tese foca no direito à saúde reconhecendo-o como um direito humano indispensável para o exercício dos outros direitos. Consta no artigo 25 na Declaração Universal dos Direitos Humanos que todo ser humano tem direito a um padrão de vida capaz de assegurar-lhe e a sua família, saúde e bem-estar, inclusive alimentação, vestuário, habitação, cuidados médicos e os serviços sociais indispensáveis. Isso significa que o direito à saúde é indissociável do direito à vida, que tem por inspiração o valor de igualdade entre as pessoas. O artigo 27 dispõe que todo ser humano tem o direito de participar livremente da vida cultural da comunidade, de fruir as artes e de participar do progresso científico e de seus benefícios. Ou seja, as pessoas têm o direito à participação e à inclusão ativa, livre e significativa no desenvolvimento civil, político, econômico, social e cultural. Mediante esse desenvolvimento é que os direitos

humanos e as liberdades fundamentais podem ser realizados, dentre eles, o direito à assistência e cuidados de saúde com bens e serviços de qualidade (151).

O artigo 12 do PIDESC, do qual o Brasil é signatário, explicitamente esclarece que o direito à saúde é exercício de um direito humano internacionalmente reconhecido (152):

§1. Os Estados-partes no presente Pacto reconhecem o direito de toda pessoa de desfrutar o mais elevado nível de saúde física e mental.

§2. As medidas que os Estados-partes no presente Pacto deverão adotar, com o fim de assegurar o pleno exercício desse direito, incluirão as medidas que se façam necessárias para assegurar:

(...)

4. A criação de condições que assegurem a todos assistência médica e serviços médicos em caso de enfermidade (PIDESC, 1966)

A Declaração de Alma-Ata (1978) reafirma o direito à saúde como direito humano qualificado como completo estado de bem-estar físico, mental e social, cuja realização requer ações de outros setores sociais e econômicos, a fim de que seja alcançado o objetivo universal de elevar a saúde ao mais alto nível possível (70). O artigo 10 do Protocolo de São Salvador (1988) reitera o direito à saúde anteriormente descrito como um bem público do qual Estados-Partes devem adotar medidas para garanti-lo (153). O Comentário Geral nº 14 sobre o direito ao mais alto padrão de saúde possível do Comitê dos Direitos Econômicos, Sociais e Culturais (2000) aponta elementos indispensáveis à sua concretização: disponibilidade, acessibilidade, qualidade e aceitabilidade das instalações de saúde, bens e serviços (154).

Em contrapartida, os direitos incluem o direito a um sistema de proteção da saúde que proporcione igualdade de oportunidades para que as pessoas desfrutem do mais alto nível possível de saúde. O Comitê interpreta o direito à saúde, conforme definido no artigo 12 do PIDESC, como um direito inclusivo que se estende não apenas a cuidados de saúde oportunos e adequados, mas também aos determinantes subjacentes da saúde. Outro aspecto importante é a participação da população em todas as decisões relacionadas à saúde nos níveis comunitário, nacional e internacional (154).

No que tange aos cuidados de saúde, é atribuído aos Estados a responsabilização internacional pela violação de direitos humanos. Conseqüentemente, cabe a eles adotar providências administrativas, legislativas ou outras que impeçam a violação dos direitos humanos dos pacientes,

independentemente da natureza da relação com o provedor de cuidados (SUS ou setor privado)(43). Tendo em vista a universalidade dos direitos humanos, a violação de direitos humanos de um único paciente repercute na sociedade como um todo, perpetuando modelos indignos de cuidados que atingem a coletividade (46).

Neste contexto, a obrigação de respeitar do Estado se caracteriza pela abstenção de limitar o acesso igualitário aos serviços de saúde, de impor tratamentos coercitivos aos pacientes, de ocultar ou desvirtuar informações relacionadas à saúde, de impedir a participação social em matérias relacionadas à saúde. O Estado tem a obrigação positiva de adotar leis, medidas administrativas e normativas para regulamentar a prestação de serviços, a comercialização de tecnologias em saúde, proteger grupos vulneráveis ou marginalizados, impedir limitações à informações e serviços, prevenir ocorrência de violações, disponibilizar infraestrutura sanitária acessível e de qualidade, zelar pela formação apropriada dos profissionais de saúde (43).

Tem –se, portanto, que o direito humano à saúde e o direito humano a contribuir com o desenvolvimento científico e usufruir do mesmo perpassam pela participação e inclusão das pessoas, mais especificamente dos pacientes, em diversos âmbitos e níveis, sobretudo na formulação de políticas públicas em saúde e alocação de recursos no setor.

Os direitos humanos comungam suas origens e objetivos com outros campos, a exemplo da bioética. A bioética atua em contextos biomédico, biotecnológicos, sanitário, social e ambiental na proteção de valores éticos para salvaguardar a dignidade humana, comprometendo-se com o aperfeiçoamento da democracia e dos direitos humanos universais. Especificamente, no que diz respeito à pesquisa que aqui se propõe, ambos se mostram comprometidos com a promoção da saúde como um bem em si, social e humano, cuja fruição do mais alto padrão de saúde atingível é um dos direitos fundamentais de todo ser humano; assim como a participação e inclusão dos indivíduos sem qualquer discriminação nos processos de tomada de decisão em questões bioéticas.

4.2 BIOÉTICA E DIREITOS HUMANOS

O termo bioética apresenta algumas divergências quanto à sua origem. O oncologista estadunidense Van Rensselaer Potter (1971) em Wisconsin, na obra intitulada “Bioethics: Bridge to the Future” o termo ele surge como uma espécie de reflexão necessária para a sobrevivência humana e planetária (155). Também na década de 70, Shriver e Hellegers, em Washington; enfatizaram o neologismo no sentido específico dos aspectos religiosos e éticos dos problemas e desafios impostos à Medicina pelas novas tecnologias (156). Já Fritz Jahr (1927), filósofo e pastor em Halle na der Saale na Alemanha, se preocupava com as relações éticas dos humanos com animais e plantas (157).

Sem embargo, alguns bioeticistas advogam que a Bioética tenha sido fruto do julgamento sobre as torturas infligidas pelos médicos nazistas aos prisioneiros da 2ª Guerra Mundial sob o falso pretexto dos benefícios advindos das práticas médicas e da experimentação científica. O julgamento dos médicos pelo Tribunal Militar de Nuremberg começou em dezembro de 1946 e terminou em julho de 1947 comprovando a quebra do juramento hipocrático frente a violações flagrantes frequentemente fatais às integridades dos prisioneiros e ao que hoje nomeamos de direitos humanos. O Código de Nuremberg, formulado em agosto de 1947 possui um conjunto de 10 princípios que focam, sobremaneira, nos parâmetros ético para pesquisas clínicas introduzindo: o consentimento, a beneficência, a redução de danos, a não maleficência, segurança do paciente e liberdade de retirar consentimento.

Um marco no desenvolvimento dos DIDH foi outro julgamento dos criminosos de guerra nazistas em Nuremberg no ano de 1946 no qual os crimes contra a humanidade foram invocados pela primeira vez. Isso possibilitou com que os Estados fossem internacionalmente responsabilizados pelos crimes praticados em seus territórios pela violação de bens jurídicos tutelados pela humanidade. Os julgamentos resultaram na DUDH, adotada em 1948 pelas Nações Unidas, internacionalizando os direitos humanos.

Infere-se que tanto a bioética quanto os direitos humanos têm suas origens em movimentos sociais intimamente conectados com o princípio comum da dignidade da pessoa humana. A dignidade humana tornou-se um axioma com a DUDH para a construção de um arcabouço de normas e reflexões até então impensáveis, surgindo a inovadora cultura dos direitos humanos. Tanto a bioética quanto os direitos humanos

buscam orientar práticas sociais incorporando-as em uma agenda de bens e valores tidos como essências pela sociedade, portanto possuem caráter prescritivista balizando condutas humanas para salvaguardar bens éticos básicos (158).

Desde a sua fundação, a UNESCO (Organização das Nações Unidas para a Educação, a Ciência e a Cultura), entidade criada em 16 de novembro de 1945 com o objetivo de garantir a paz por meio da cooperação intelectual entre as nações, acompanhando o desenvolvimento mundial e auxiliando os Estados-Membros, tem se preocupado com questões morais ligadas à ciência e tecnologia. Em 1993, esta preocupação foi institucionalizada com a criação do *International Bioethics Committee* (IBC) ou Comitê Internacional de Bioética cuja finalidade é contribuir para disseminar os princípios enunciados nas declarações da UNESCO no campo da Bioética (159). Em outubro de 2005, a Conferência Geral da UNESCO adotou, por aclamação, a Declaração Universal sobre Bioética e Direitos Humanos da Unesco (DUBDH). A Declaração trata de questões de ética postas pela medicina, pelas ciências da vida e pelas tecnologias associadas aplicadas aos seres humanos levando em conta suas dimensões social, jurídica e ambiental (159). A DUBDH é o primeiro documento universal com características extensivas que estabelece princípios bioéticos de alcance político global demarcando a conexão com os direitos humanos (160). Estipularam-se quinze princípios gerais de caráter ético que partem do pressuposto do reconhecimento da saúde como interdependente de outros fatores, além do desenvolvimento das pesquisas científicas e tecnológicas e que, portanto, propulsiona o desempenho do papel predominante da bioética na reflexão ética sobre as questões que emergem desse processo de desenvolvimento.

A estreita aproximação com os direitos humanos se manifesta logo no primeiro princípio da Declaração que estipula o respeito pela dignidade humana, aos direitos humanos e as liberdades fundamentais, ressaltando o valor intrínseco dos indivíduos. No que tange à participação social, estipula-se a transparência, com a inclusão de todos os indivíduos da sociedade, compartilhando o conhecimento científico e tecnológico provendo oportunidades para manifestações de todos em um debate público pluralista sobre a toma de decisão e o tratamento de questões bioéticas.

4.3 DIREITOS HUMANOS DOS PACIENTES

Os Direitos Humanos dos Pacientes (DHP) é ramo do DIDH que se refere à aplicação dos direitos humanos a todos os indivíduos submetidos a cuidados em saúde. Originados de consensos ético-jurídicos construídos no âmbito da comunidade internacional em resposta a uma gama de violações de direitos humanos ocorridas nos contextos de cuidados em saúde, o referencial teórico-normativo dos DHP inclui: os instrumentos normativos no âmbito internacional, tais como convenções, pactos, tratados e declarações em matéria de direitos humanos; bem como a jurisprudência internacional constituída pelas decisões dos órgãos de monitoramento dos direitos humanos da ONU e dos Sistemas Europeu, Interamericano e Africano dos Direitos Humanos (43, 45, 47).

Diferentemente da perspectiva consumerista que pressupõe que os serviços e tecnologias são mercadorias livremente disponíveis para que indivíduos escolham consumir de acordo com seus auto interesses, os DHP partem da perspectiva que os bens e serviços em saúde são elementos constituintes do direito humano à saúde, de forma que os sistemas de saúde universalistas, tal como o SUS, distribuem os recursos e promovem o acesso a todas as pessoas sem contrapartida financeira, alijando-se da ótica individualista do direito do consumidor (43). Os direitos do consumidor não são inerentes aos pacientes porque são humanos, mas sim porque são destinatários de uma transação comercial, aproximando-se mais dos direitos contratuais por não possuírem as características dos direitos humanos, a saber: universalidade, inalienabilidade e inerente a todos os seres humanos. Esse paradigma tampouco reconhece automaticamente a necessidade de colocar limitações aos direitos no contexto da saúde. A estrutura dos DHP permite uma abordagem mais balanceada e sistemática que reconhece limitações de direitos feitas para se adequar aos direitos humanos dos demais, de forma que os direitos de nenhum paciente são absolutos (44). Admite-se limitação por lei quando houver um interesse coletivo legítimo que justifique a sua restrição (45).

Outro aspecto importante é diferenciar o termo “usuário” do termo aqui defendido, ou seja, “paciente”. Usuário diz respeito a alguém que faz uso de determinado serviço, marcando uma relação impessoal. O conjunto de direitos do usuário trabalham com as expectativas destes ao regularem o funcionamento de determinado serviço de saúde, o que traduz uma relação de prestação de serviços de

natureza de direito administrativo. Ao passo que o “paciente” remete à condição específica de uma pessoa e sua relação com os demais nas prestações dos cuidados que, nos DHP, alude a todos os pacientes, independentemente de serem ou não usuários de determinados serviços de saúde, traduzindo uma relação de titularidade de direito humano (43). Enquanto centrados no paciente, os DHP não se limitam a um grupo particular de pessoas, apesar da abordagem exigir mais foco nas populações marginalizadas e com vulnerabilidade acrescida. Consequentemente, examina fatores sistemáticos e responsabilidades do Estado na prestação de cuidados em saúde que vão além da relação individual entre paciente e profissional (44).

Ademais, os DHP se estruturam em uma visão holística do paciente para superar o modelo de uma ética biomédica nos cuidados em saúde disseminada pela Teoria Principlista, formulada por Beauchamp e Childress (161) que passou a ser contundentemente contestada pelas bioéticas latino-americanas nos últimos anos (162). Pesquisas desenvolvidas no Programa de Pós-Graduação em Bioética da Universidade de Brasília passaram a conceber o referencial teórico dos DHP como modelo bioético de análise e resolução de conflitos nos cuidados em saúde na clínica médica (46, 47). A Teoria Principlista não reconhece a relação essencialmente de poder entre o profissional de saúde e o paciente. De modo contrário, os DHP partem do reconhecimento dessa assimetria de poder e conhecimento, empenhando-se em mitigá-la ao enfatizar as preferências e desejos dos pacientes, o respeito pelos seus valores, proporcionar que sejam ouvidos e incluídos nas decisões que dizem respeito ao seu corpo e sua vida, ou seja, adota o princípio do cuidado centrado no paciente (45). Os princípios da dignidade humana, da autonomia relacional e da responsabilidade do paciente também compõem os DHP (43).

Os DHP incluem uma série de direitos no âmbito dos cuidados em saúde: direito à vida; direito a não ser submetido à tortura nem a penas ou tratamentos cruéis, desumanos ou degradantes; direito ao respeito à vida privada; direito à liberdade e à segurança pessoal; direito à informação; direito de não ser discriminado; direito à saúde; direito à participar na política pública (44).

Ao aportarem proposições prescritivas que buscam influenciar os comportamentos dos pacientes, familiares, profissionais de saúde e provedores e agentes do Estado, os DHP se afastam da concepção de “uma ética profissional transvestida de bioética” (Albuquerque *et al.*, 2017, p.14). Obrigações a todos os atores que interagem no processo de cuidado são retiradas dos imperativos positivos

e negativos ético-jurídicos derivados das prescrições de direitos humanos. Isso possibilita que a prestação de cuidados seja eticamente guiada por regras, simplificando a solução de problemas na prática clínica (45).

Considerando que os provedores de cuidados são incapazes de proporcionar assistência de alta qualidade quando seus direitos não são respeitados, trabalham em condições precárias ou sem independência profissional, os DHP protegem também os profissionais da saúde. O conceito se refere não somente aos pacientes atuais, como também aos padrões de direitos humanos na prestação de cuidados que dizem respeito aos profissionais de saúde e a toda a comunidade. Isto porque, para executar a prestação de cuidados aos pacientes em todos os seus aspectos, há a exigência de uma vasta estrutura de direitos humanos, o que coloca luz sob questões de igualdade, transparência, responsabilidade e participação. Os direitos humanos, juntamente com outros conjuntos de padrões normativos que regem a assistência ao paciente, podem contribuir para que os sistemas de saúde sirvam como locais de tratamento, cuidado e apoio para todos (44).

Segundo Cohen e Ezer (2013), de forma distinta, mas complementar à bioética, os DHP têm força jurídica e podem ser aplicados por meio de ações judiciais. Eles também fornecem uma linguagem poderosa para articular, mobilizar e se engajar na defesa de temas sobre justiça por meio da mídia e da negociação política (44).

Concebe-se o referencial dos DHP como ferramenta ético-jurídica apta a concorrer para o exame e solução de questões emergentes das relações de cuidados em saúde (43), dentre elas o direito do paciente à participação na política pública e o direito ao mais elevado padrão de saúde possível. Entende-se que a inserção da Perspectiva do Paciente na ATS no âmbito do SUS pela Conitec constitui meio para o exercício daqueles direitos enquanto realizado de forma ativa e efetiva, repercutindo na fruição dos demais direitos, como o direito à vida, à informação, à segurança, a cuidados com qualidade e oportunos, à participação ativa em seus cuidados etc.

4.4 PARTICIPAÇÃO DO PACIENTE NA ATS COMO DIREITO HUMANO DO PACIENTE

Alguns tratados sobre direitos humanos aplicados aos cuidados de saúde estabelecem prescrições sobre o direito de participar na esfera da saúde. Ademais de ser decorrente do direito à saúde, a participação na política pública de saúde está amparada no direito de participar da condução dos assuntos públicos, previsto no artigo 25 do Pacto Internacional sobre Direitos Civis e Políticos de 1976, internalizado no Brasil por meio do Decreto nº 592 de 6 de julho de 1992 (163). O artigo 5 da Convenção Internacional sobre a Eliminação de Todas as Formas de Discriminação Racial de 1969 estipula a proibição de tratamento discriminatório racial em todas as suas formas no gozo dos direitos político e civis, como na direção dos assuntos públicos, acesso às funções públicas, direito à saúde pública e a tratamento médico (164). O artigo 7 da Convenção sobre a Eliminação de Todas as Formas de Discriminação contra a Mulher de 1979, determina que os Estados devem tomar medidas apropriadas para eliminar a discriminação contra a mulher na vida política e pública do país garantindo o direito a participar na formulação de políticas governamentais e na sua execução, ocupar cargos públicos e exercer funções públicas em todos os planos governamentais, participar em organizações e associações não-governamentais que se ocupem da vida pública e política do país (165).

O comentário Geral n.14 do Comitê sobre Direitos Econômicos, Sociais e Culturais sobre o direito ao mais alto padrão de saúde possível ressalta a importância da melhoria e promoção da participação da população na prestação de serviços de saúde, em particular da participação nas decisões políticas relativas ao direito à saúde tomadas tanto a nível comunitário como nacional. De acordo com o documento, entre outros princípios que devem ser respeitados, a formulação de estratégias efetivas para implementar o direito à saúde deve estar baseada nos princípios da responsabilidade, transparência, independência, não discriminação e participação popular. O que engloba o envolvimento comunitário, mais especificamente dos pacientes como se defende nesta tese, na definição de prioridades, tomada de decisões, planejamento, execução e avaliação de estratégias para alcançar uma saúde melhor. Neste sentido, a prestação eficaz de serviços de saúde só pode ser assegurada se a participação das pessoas for assegurada pelos Estados, em particular, o direito de indivíduos e grupos de participar nos processos de tomada de decisão que podem afetar seu desenvolvimento. Assim, a participação deve ser um componente integral de qualquer política, programa ou estratégia desenvolvida para

cumprir as obrigações governamentais de garantir o direito ao mais alto padrão de saúde física e mental possível estabelecido no artigo 12 do PIDESC (154).

Outros dos instrumentos dos quais o Brasil não é signatário também preveem a participação no âmbito da saúde, como a Convenção Quadro para a Proteção das Minorias Nacionais de 1995 e a Carta Africana dos Direitos Humanos e dos Povos de 1981. Com fulcro na dignidade humana, os tratados relacionam a falta de oportunidade dos cidadãos de comentar e participar do estabelecimento de prioridades de saúde pública como formas de violação dos direitos humanos, especialmente o direito ao mais alto padrão de saúde possível. Esses documentos respaldam o escopo dos DHP que enfatizam a defesa dos direitos de grupos de vulnerabilidade acrescida.

O direito humano à saúde, como os demais direitos humanos, está intrinsecamente conectado aos direitos civis, políticos, econômicos, sociais e culturais. De forma que, para que o paciente exerça plenamente seu direito à saúde, em posse de informações compreensíveis, faz-se mister que instituições democráticas trabalhem conjuntamente para incentivar e permitir a educação pública e a participação nas decisões em saúde em nível macro ou federal e de forma direta. Ou seja, uma ampla estrutura de direitos humanos é necessária para atingir o mais alto padrão de saúde e, para que isso seja possível, os pacientes devem participar e estarem inseridos nos processos decisórios sobre as políticas de saúde.

A esses processos são atribuídos valores importantes que sustentam a participação ativa e informada dos pacientes na ATS, tais como o livre acesso às informações confiáveis sobre a tecnologia em avaliação e aos recursos para realizar as contribuições. Cabe ao Estado possibilitar e facilitar a participação dos pacientes, especialmente dos que estão em condição de extrema vulnerabilidade, como os pacientes com doenças ultrarraras, obrigando-se a adotar condutas em várias dimensões (29):

(a) capacidade institucional: incluir a participação na definição da agenda e no desenho dos mecanismos participativos; a instituição de mecanismos participativos; a capacitação de agentes do Estado e dos interessados; a destinação de recursos para tal fim; (b) acesso informacional: garantir informação de qualidade e acessível; (c) mecanismos transparentes e efetivos: sistematizar e incorporar de forma séria, significativa, transparente e imparcial o conhecimento advindo da participação; incluir interessados nas instâncias decisórias; (d) avaliação da participação. (Oliveira; Eler, 2022, p.136)

De acordo com o Comentário Geral n.14 do Comitê sobre Direitos Econômicos, Sociais e Culturais, os Estados devem considerar a adoção de uma lei estruturante para operacionalizar sua estratégia nacional de direito à saúde que estabeleça mecanismos nacionais para monitorar a implementação de planos de ações nacionais de saúde (154).

Como os pacientes têm o direito de participar do planejamento e prestação de seus cuidados de saúde, e o processo de ATS determina quais bens e serviços de saúde lhes serão disponibilizados, segue-se que os pacientes têm o direito de serem ouvidos como parte do processo de ATS. A participação pode assumir várias formas: relatos de experiências, fornecimento de informações para estudos, representação direta nos Comitês de ATS permitindo com que os pacientes façam parte da tomada de decisão em nível nacional. Além de respeitar os direitos dos pacientes, essa participação aumenta a transparência e contribui para a confiança pública no processos de tomada de decisão no SUS (148).

Apesar do crescente reconhecimento da importância participação do paciente na ATS, sua implementação ainda enfrenta grandes obstáculos (16, 29, 129, 149). Paranhos *et al.* (45) apontam que “a bioética, até o presente momento, não conferiu o adequado espaço à voz dos pacientes por meio da inserção dos seus direitos no processo de deliberação ética” (2017, p.15). Reconhecendo a relação assimétrica de poder entre os pacientes e os tomadores de decisões na ATS - percebida pela presença do tokenismo - o emprego do referencial dos DHP no processo de tomada de decisão sobre as tecnologias em saúde oferece uma nova perspectiva de análise bioética. Ele confere ênfase ao paciente no processo decisório, respeitando seus valores e preferências, mitigando, assim, a assimetria de conhecimento e poder nas relações de cuidados em saúde.

Depreende-se do artigo 12 do PIDESC que a saúde como exercício de um direito humano compreendida em seu aspecto multidimensional está diretamente relacionada ao direito de participar livremente da condução de assuntos públicos disposto no artigo 25 do PIDCP, o que ampara o direito à participação na política pública de saúde. A inclusão das pessoas, mormente dos pacientes, nas várias esferas da prestação de cuidados e serviços em saúde é reconhecida como importante no comentário Geral n.14 do Comitê sobre Direitos Econômicos, Sociais e Culturais, sobremaneira no nível macro. A efetivação dos cuidados com qualidade se inicia com a ATS realizada pela Conitec que enseja na formulação de políticas

públicas pelo Estado. Em síntese, sustenta-se que a participação ativa e informada do paciente na tomada de decisão na ATS pela Conitec constitui elemento indispensável do direito humano à saúde.

Dotados de caráter universal, comprometidos com a salvaguarda da dignidade e construídos por meio de um processo democrático de diálogo entre diferentes grupos de países, os DHP reúnem interesses comuns em instrumentos normativos internacionais aplicáveis a todos. Os DHP é um referencial para uma bioética comprometida com os valores éticos nas relações de cuidado com o paciente, o que inclui o Estado como provedor de tecnologias em saúde e julgador, entre outros parâmetros, de critérios éticos para a sua concessão. Assim, destaca-se a relevância da utilização do referencial dos DHP como instrumento de fortalecimento dos debates éticos travados nas tomadas de decisões relacionadas aos cuidados em saúde, promovendo a cultura dos direitos humanos no setor.

A participação social é um fenômeno recente nas sociedades democráticas e, embora seja assegurada constitucionalmente e por meio de legislações específicas, as experiências democráticas na saúde são limitadas (166). O reconhecimento do direito à participação está alicerçado em princípios bioéticos defendidos pela DUBDH, como o respeito pela dignidade humana, aos direitos humanos, a autonomia dos indivíduos, a igualdade de direitos e dignidade, ao acesso a cuidados de saúde de qualidade, entre outros. Eles devem orientar indivíduos, comunidades, instituições e Estados na tomada de decisões e tratamentos de questões bioéticas, a exemplo das inerentes às ATS, para que os benefícios advindos do desenvolvimento científico e tecnológico ocorram em conformidade com os direitos humanos e as liberdades fundamentais.

A bioética como ética aplicada interage com o direito, mas não se limita a formas legais. A lei, estipula uma ética mínima, deixando vários questionamentos e discussões morais em aberto nas relações de cuidados em saúde individuais, mas, em especial, nas situações mediadas pelo Estado. Estas relações entre indivíduos e Estado suscitam uma atuação contundente da bioética diante da vulnerabilidade acrescida dos pacientes na posição que ocupam como destinatários das decisões do Estado sobre quais cuidados lhes serão ou não ofertados. O que remete as justificativas que sustentam a participação efetiva dos pacientes na ATS, como a garantia de justiça e legitimidade.

5 MÉTODOS

Para melhor alcançar os objetivos dessa tese optou-se por adotar métodos mistos. Originados nas ciências sociais e recentemente expandido para as disciplinas que compõem as ciências da saúde, especialmente nos modelos médicos domiciliares de cuidados centrados no paciente, os métodos mistos se referem a uma metodologia emergente de investigação que promove a integração sistemática de dados quantitativos e qualitativos em uma única investigação. Tal integração permite uma utilização mais completa e sinérgica dos componentes qualitativos e quantitativos de forma concorrente ou sequencial, com a mesma amostra ou com amostras diferentes. Um estudo de métodos mistos é vantajoso na comparação de dados quanti e qualitativos fornecendo flexibilidade metodológica para se adaptar a muitos desenhos de estudos e elucidando mais informações que estudos que utilizam apenas um método (39).

Destarte, a tese foi dividida em duas etapas: 1) pesquisa documental e 2) análise do conteúdo da Perspectiva do Paciente.

A primeira etapa analisou os vídeos, relatórios para a sociedade, relatórios finais de recomendação da Conitec sobre doenças raras no site da Conitec de dezembro de 2020 a dezembro de 2022 descrevendo demograficamente as tecnologias e os pacientes que participaram da Perspectiva do Paciente. A segunda etapa buscou compreender os critérios de avaliação da Perspectiva dos Pacientes pela Conitec.

5.1 RECORTE TEMPORAL E TEMÁTICO

Levando em consideração a maior participação social nas consultas públicas sobre incorporações de medicamentos e relacionados às doenças raras (27), buscou-se a análise da Perspectiva do Paciente nas ATS sobre incorporações de

medicamentos para doenças raras protocolados no site da Conitec de dezembro de 2020, quando teve início a Perspectiva do Paciente na Conitec, até dezembro de 2022.

A OMS define uma doença rara como aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos. As ultrarraras possuem prevalência de 1 ou menos em cada 1.000.000 pessoas. Quando agrupadas se tornam expressivas afetando cerca de 6% da população mundial, o que equivale a 13 milhões de brasileiros. Estima-se haja 6.172 tipos diferentes de patologias raras, das quais 80% têm origem genética e 75% atingem crianças. Cerca de 150 doenças raras compõem um grupo de maior impacto na população, por serem mais prevalentes. Algumas têm ocorrência restrita a grupos familiares ou indivíduos. Caracterizadas por uma ampla diversidade de sinais e sintomas, geralmente são condições crônicas que abarcam as anomalias congênitas, os erros inatos do metabolismo, os erros inatos da imunidade, as deficiências intelectuais, entre outras doenças. Outras etiologias podem estar associadas, como os Fatores nutricionais, ambientais, medicamentos e agentes teratogênicos são exemplos de outras etiologias que podem estar associadas com as doenças raras (167-169).

A escolha pelas doenças raras de seu pelo fato de que as evidências necessárias à ATS nestas afetações são bastante questionáveis, gerando discussões éticas e desafios na implementação de abordagens alternativas de padrões de referências de medidas de utilidade e valor (170). Isso introduz importantes fatores relacionados aos pacientes que deveriam ser considerados que vão além dos clínicos e econômicos. Como mencionado, a integração do *input* dos pacientes na ATS é ainda mais relevante em situações de incerteza de resultados, escassez de tratamentos, preferência não homogêneas dos pacientes, benefícios não nítidos e acesso precoce a tecnologias em doenças raras (16). O processo de ATS ampla é mais desafiador, à medida que aprovações de produtos inovadores apresentam uma pequena base de evidências clínicas ou desfechos não duros, ressaltando a participação ativa e informada dos pacientes de acrescida vulnerabilidade de forma responsiva às suas necessidades (17).

A avaliação ética sobre o impacto dos custos também é mais sensível, tanto que o Decreto nº 11.161 de 2022 prevê um procedimento administrativo da ATS para doenças ultrarraras diferenciado, por meio do uso de metodologias específicas para as avaliações da eficácia, acurácia, efetividade, segurança, econômica e de impacto orçamentário. A recente adoção de um limiar de custo-efetividade na avaliação

econômica pela Conitec como mais um parâmetro decisório salientou a necessidade de flexibilizar o limiar para doenças raras e ultrarraras com a existência de limiares alternativos. Dado que, alguns casos, não há opções terapêuticas, representam habitualmente um cenário de grande incerteza sobre os resultados, as evidências são de pior qualidade e o volume de venda dos medicamentos é menor (171).

5.2 ANÁLISE DOCUMENTAL

Selecionou-se as demandas de avaliação das tecnologias protocoladas no período de dezembro de 2020 a dezembro de 2022 no site da Conitec. Foram excluídos os protocolos de avaliação que não se referiam a tratamentos de doenças raras. Consecutivamente, descartaram-se os protocolos sobre procedimentos ou produtos, atualização de PCDT ou ampliação de uso, demandas de exclusão de tecnologias, bem como os que não possuíam relatório de recomendação.

As fontes primárias de análises consistiram em: relatórios de recomendação, relatórios para a sociedade, e vídeos das reuniões de apreciação inicial da Conitec dos protocolos para incorporação de medicamentos para tratamento de doenças raras.

Como esclarece Fonseca (2002), a pesquisa documental recorre a fontes mais diversificadas e dispersas, sem tratamento analítico ou científico, tais como: tabelas estatísticas, jornais, revistas, relatórios, documentos oficiais, fotografias, vídeos etc. (172).

Os relatórios de recomendação são documentos extensos elaborados pela Conitec e disponibilizados no site contendo em detalhe todos os tópicos que compõem a análise da tecnologia pela Conitec. Ou seja, declarações de conflito de interesses, a descrição da doença (aspectos clínicos, epidemiológicos, diagnósticos, prognósticos, tratamentos), a ficha técnica da tecnologia, análises das evidências clínicas e econômicas (incluindo as comparativas em relação às tecnologias já incorporadas), recomendações de outras agências de ATS, monitoramento do horizonte tecnológico, Perspectiva do Paciente, a recomendação preliminar e a final da Conitec, contribuições das consultas públicas, entre outros tópicos relevantes a cada tecnologia.

Os relatórios para a sociedade são versões resumidas dos relatórios técnicos de recomendação produzidos e disponibilizados pela Conitec para facilitar o entendimento sobre a avaliação de determinada tecnologia. Eles vêm sendo elaborados desde 2015 numa linguagem simples e utilizando figuras e são disponibilizados no site na Conitec dando suporte às participações sociais. Assim, estimula-se a participação da sociedade no processo de ATS.

As reuniões de deliberação sobre as tecnologias na Conitec são gravadas integralmente e disponibilizadas no prazo de até cinco dias úteis após sua realização. Podem ser acessadas as gravações desde julho de 2020.

A Perspectiva do Paciente é integrada aos três documentos. De modo que, o relato dado pelo paciente durante a reunião inicial de apreciação da tecnologia, é posteriormente inserido como um capítulo no relatório de recomendação e como um tópico do relatório para a sociedade.

5.3 ANÁLISE DO CONTEÚDO DA PERSPECTIVA DO PACIENTE

Com fundamento em Bardin (1991), a análise da Perspectiva do Paciente intentou averiguar como a Conitec valora os *inputs* dos pacientes (41). A análise do conteúdo se destaca a partir do início do século XX orientada pelo paradigma positivista, valorizando sobretudo a objetividade e a quantificação. Em constante aperfeiçoamento, trata-se de um conjunto de instrumentos metodológicos que se aplicam a discursos extremamente diversificados sistematizando e conferindo maior objetividade ao seu objeto. O elemento comum dessas técnicas de análises de comunicações que vão desde o cálculo de frequências que fornece dados cifrados, até a extração de estruturas traduzíveis em modelos, é uma hermenêutica controlada baseada na dedução. A primeira observação é que a linguagem é concebida como representação de uma realidade *a priori*, ou seja, um veículo de transmissão de uma mensagem subjacente ao qual se pretende chegar. A segunda observação diz respeito à não-problematização das perguntas que compõem o instrumento de pesquisa e da própria situação de entrevista acadêmica. Calçadas nas noções de legitimidade das investigações e neutralidade científica, isso nos conduz que o inquérito é uma ferramenta capaz de acessar o que se pretende descobrir vislumbrado

na possibilidade de fornecer técnicas precisas e objetivas que sejam suficientes para garantir a descoberta do objeto estudado (42).

Sem embargo, destaca-se que não foram encontradas informações disponíveis no site da Conitec sobre a metodologia utilizada pela agência para rever a Perspectiva do Paciente e incorporá-la na deliberação da ATS.

Tendo isso em vista, optou-se por embasar a avaliação das Perspectiva do Paciente sobre inclusão de medicamentos no SUS no guia publicado pela Conitec intitulado “Entendendo a Incorporação de Tecnologias em Saúde no SUS: como se envolver”(4). O guia descreve quais informações dos pacientes podem ser relevantes para a ATS tanto em relação à doença ou condição quanto em relação à tecnologia avaliada. Destarte, o paciente pode contribuir com informações sobre a natureza da doença ou condição; as limitações por ela impostas em diversos âmbitos (social, familiar, laboral, lazer e etc.); reflexos para o seu bem-estar mental; condução nos cuidados em saúde relacionados aos efeitos, sintomas e administração medicamentosa; expectativa com a tecnologia nova, benefícios e efeitos indesejáveis em comparação aos tratamentos existentes; impacto financeiro. Para isso, a Conitec disponibiliza em seu sítio eletrônico um formulário de contribuição intitulado “Formulário de Experiência e Opinião” para coleta dessas informações por meio de consultas públicas após seu parecer preliminar (anexo1). Podem prover considerações sobre experiências práticas com a doença ou com a tecnologia em questão os pacientes, cuidadores, amigos, familiares ou profissionais de saúde.

São quatro tópicos com subtópicos enumerados no formulário, a saber: 1) Concordância ou não com a recomendação preliminar; 2) Comentário sobre a recomendação preliminar; 3) Experiência com a tecnologia em avaliação, de que forma (como paciente, cuidador, familiar, responsável, profissional da saúde), efeitos positivos e negativos da tecnologia; 4) Experiência com outras tecnologias para tratamento da doença, de que forma, efeitos positivos e negativos das outras tecnologias. Neste sentido, o Formulário de Experiência e Opinião para coleta das informações dos pacientes tidas como relevantes pela Conitec durante as consultas públicas foi o documento que serviu de alicerce para extrair os critérios da avaliação da Perspectiva do Paciente numa tentativa de analisá-la sob uma abordagem instrumental, neutra e objetiva.

Os dados nos vídeos das reuniões, nos relatórios para a sociedade e nos relatórios finais de recomendação da Conitec foram tabelados e comparados entre si

para avaliar se o conteúdo dos tópicos dispostos no Formulário de Opinião e Experiência para consultas públicas foram abordados na Perspectiva do Paciente. Dessa forma, extraíram-se os seguintes critérios de avaliação das Perspectivas dos Pacientes: 1) Posicionamento do paciente sobre a tecnologia- se o paciente se manifestou de forma favoravelmente ou desfavoravelmente em relação à incorporação do medicamento; 2) Experiência com a tecnologia em avaliação – se o paciente já fez ou faz uso do medicamento em análise; 3) Efeitos positivos e negativos da tecnologia em avaliação; 4) Experiência com outras tecnologias – se o paciente utiliza ou já utilizou outros medicamentos ou procedimentos para o tratamento da doença ou condição; 5) Efeitos positivos e negativos das outras tecnologias disponíveis para o tratamento da doença ou condição.

6 RESULTADOS

6.1 ANÁLISE DOCUMENTAL

No período analisado foram encontrados 207 protocolos de avaliações de tecnologias. O número não representa demandas de ATS para tecnologias inéditas ou diferentes, pois a mesma tecnologia pode aparecer em mais de um protocolo por se referir a diferentes indicações, a exemplo do medicamento Risdiplam que foi avaliado para três tipos de Atrofia Muscular Espinhal (AME). Deste total, 73 protocolos eram relacionados às doenças raras, dos quais 17 não possuíam relatórios de recomendação (foram excluídos, encerrados ou estavam em análise), 9 eram sobre procedimentos ou produtos, 4 sobre atualização do PCDT ou ampliação de uso e 4 demandas de exclusão.

A pré-seleção resultou em de 39 protocolos de incorporações com suas respectivas portarias, vídeos, relatórios de recomendação e relatórios para a sociedade. O que corresponde a 36 medicamentos diferentes para doenças raras (os medicamentos Risdiplam e Lenalidomida tiveram mais de uma demanda para distintas indicações). Em 8 das 39 demandas não havia Perspectiva do Paciente. O fato se deu ou por não ter havido inscrições; ou pessoas inscritas não apresentavam a condição de saúde específica da demanda, bem como não fizeram uso da tecnologia avaliada; ou os pacientes não deram continuidade ao processo preparatório. As justificativas constavam nos relatórios.

Portanto, avaliou-se efetivamente 31 Perspectivas do Paciente e seus respectivos relatórios e vídeos (apêndices A e B).

Os 28 medicamentos abrangiam diversas doenças raras em várias especialidades médicas (cardiovascular, endocrinologia, infectologia, genética, hematologia, neurologia, oncologia, pneumologia e reumatologia), como a AME, aspergilose invasiva, doença de Fabry, polineuropatia amiloidótica familiar, esclerose múltipla, fibrose cística, angioedema hereditário, puberdade precoce central, porfirias hepáticas agudas, hemofilia A, mieloma múltiplo com algumas circunstâncias especiais, entre outras.

Em relação às demandas, 6 foram de origem interna, ou seja, pedidos de avaliação de iniciativa das Secretarias de Atenção Especializada à Saúde, Vigilância em Saúde e SCTIE. Das 25 de origem externa, 21 foram da indústria farmacêutica e 4 de organizações civis (Sociedade Brasileira de Reumatologia, Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras e Associação Brasileira de Hematologia Hemoterapia e Terapia Celular).

O número estimado do total de inscrições para participar da Perspectiva do Paciente ficou entre 1.201 a 1.220. A imprecisão se deu pela discrepância entre a informação relatada nos documentos impressos e a fornecida nos vídeos das reuniões da Conitec. O número de inscrições foi bastante variável para cada medicamento, de 1 a 501, com uma média de 38 a 39.

Quanto à forma de escolha do representante dos pacientes e suplentes nas perspectivas, 15 ocorreram por meio de consenso entre eles, 11 por sorteio, 1 perspectiva teve somente um inscrito e 4 não constavam nos relatórios.

Frisa-se que o número de documentos com a Perspectiva do Paciente não corresponde à quantidade de pacientes que forneceram suas contribuições. Não obstante o site da Conitec prever um depoimento para cada tema em pauta, algumas perspectivas contaram com a participação do titular e do suplente dividindo o tempo de 10 minutos destinado para a apresentação oral. Outras tiveram o relato do mesmo paciente aplicado na avaliação de mais de uma indicação do medicamento. Isto porque, a depender das características dos pacientes, eles apresentavam várias condições para diferentes indicações do medicamento ou particularidades diferentes para a mesma indicação do produto. De forma que, contabilizou-se a participação de 30 pacientes que relataram suas experiências.

Quanto à forma de participação, 24 eram pacientes afetados pelas doenças e 6 cuidadoras de pacientes. 20 eram do sexo feminino e 10 do sexo masculino. A informação sobre a idade estava ausente em muitos documentos, a paciente mais jovem tinha 17 anos e o mais velho 63. Quanto aos conflitos de interesses, 21 declararam não possuir relações com a indústria farmacêutica, 8 declararam relações com a indústria farmacêutica, seja por estarem inseridos em estudos por ela patrocinados, seja por receberem algum tipo de financiamento, e 1 paciente não informou conflito. Quanto aos vínculos associativos, 5 pacientes declararam fazer parte de associações de pacientes.

6.2 ANÁLISE DO CONTEÚDO DA PERSPECTIVA DO PACIENTE

Quanto aos critérios propostos de avaliação das perspectivas, verificou-se que apesar de o capítulo sobre a Perspectiva do o Paciente estar ausente em 9 Relatórios de recomendação da Conitec, ele estava presente em todos os Relatórios para a sociedade. As gravações de todas as 31 Perspectivas dos Pacientes também estavam dispostas no site da Conitec. A Perspectiva do Paciente é iniciada nos relatórios sempre informando o período de inscrições por meio das chamadas públicas e a quantidade de inscritos. Em seguida passa-se à transcrição do depoimento dos pacientes na 3ª pessoa.

1) Posicionamento do paciente sobre a tecnologia

Todos os pacientes que participaram da perspectiva se posicionaram favoravelmente às incorporações, mesmo aqueles pacientes que não tiveram experiência com os medicamentos.

2) Experiência com a tecnologia em avaliação

Dos 30 pacientes, 26 relataram ter experiência com a tecnologia em avaliação. Os outros 4 sem experiência contribuíram com seus pontos de vistas como pacientes ou cuidadora de paciente afetados pelas condições para as quais os medicamentos eram indicados.

3) Efeitos positivos e negativos da tecnologia em avaliação

Observou-se exposições sobre os efeitos positivos e negativos da tecnologia em avaliação. Mesmo aqueles pacientes que não tinham experiência com o medicamento avaliado, indicaram os efeitos a partir do que acreditavam ou conheciam sobre as tecnologias.

4) Experiência com outras tecnologias

25 pacientes tinham experiência com outras tecnologias em saúde para tratamento da doença rara ou dos sintomas dela decorrentes. Mencionaram-se

numerosos medicamentos e procedimentos, desde simples analgésicos para controle da dor até medicamentos diretamente concorrentes da tecnologia em avaliação.

5) Efeitos positivos e negativos das outras tecnologias

Os pacientes com experiências com outras tecnologias relataram os efeitos positivos e negativos delas provenientes. Já os 5 pacientes sem experiência com outras tecnologias, diferentemente do que se passou com os 4 pacientes sem experiência com a tecnologia em avaliação, não citaram efeitos positivos ou negativos delas.

Quanto à recomendação preliminar da Conitec nos 31 relatórios de recomendação, 3 foram favoráveis às incorporações e 28 desfavoráveis. Destas, 6 tiveram sua recomendação final alteradas para favoráveis após realização das consultas públicas e 1 após audiência pública. Todas as recomendações finais da Conitec foram aceitas e publicadas por meio de portarias pelo Secretário da Sectics. Como resultado final, houve a incorporação de 9 medicamentos diferentes para 10 indicações (o medicamento Risdiplam foi incorporado para AME tipo 1 e 2, mas não para o tipo 3). Logo, 21 demandas para incorporações de medicamentos foram negadas.

Outros aspectos foram identificados a partir da análise do material. Após o tempo de dez minutos sem interrupção para a apresentação da perspectiva pelo paciente, membros da Plenária fizeram indagações para 25 dos 30 pacientes. Os questionamentos giraram em torno do impacto na qualidade de vida para o paciente antes e depois da utilização do medicamento em avaliação, possibilitando com que eles se pronunciassem sobre os efeitos positivos e negativos das tecnologias em avaliação e das outras tecnologias disponíveis, tanto no SUS como no sistema privado. Questionou-se as formas de administração (quantidade, posologia, intervalo de administração, duração do tratamento e adesão ao esquema terapêutico) e de acesso aos medicamentos, tendo em vista que muitos remédios eram judicializados, outros foram recebidos por meio de pesquisas clínicas e alguns necessitavam de uma estrutura mais complexa para ser colocada em marcha, como internações, exames prévios ou consultas a centros de referências. Perguntaram também o impacto para a família com a doença e condução dos tratamentos, se os pacientes fazem algum tipo de acompanhamento e exames periódicos, se os remédios são usados isoladamente ou combinados com outras medicações, quais tecnologias eram preferidas pelos

pacientes, progressão da doença, como percebem a melhora, piora ou estagnação da doença e sintomas com a utilização das tecnologias.

7 DISCUSSÃO

A partir dos resultados obtidos a Perspectiva do Paciente à luz do referencial dos DHP foi analisada estruturando a discussão em eixos temáticos a partir do exercício do direito à participação social. Com base nesta análise, foi possível correlacionar a influência das contribuições dos pacientes nos relatórios de recomendação da Conitec e propor contribuições na condução da Perspectiva do Paciente pela Conitec.

Com o intuito de compreender o processo em si da participação do paciente da incorporação de medicamentos para doenças raras e os critérios de avaliação da Perspectiva do Pacientes pela Conitec à luz dos DHP, configurou-se a discussão em três eixos temáticos a partir do pleno exercício do direito à participação social: 1) Condições para o exercício do direito à participação do paciente; 2) Efetivação do direito à participação em ATS; 3) Responsabilidade do Estado.

As condições de participação do paciente se referem a preparação para o exercício do direito, pressupõe a apropriação dos conhecimentos e demais informações necessárias por parte do paciente para exercer seu direito. Correspondem, em sua maior parte ao direito do paciente à informação e ao princípio da capacitação do *HTAi Interest Group for Patient and Citizen Involvement*. Efetivação do direito diz respeito ao exercício do direito em si, ou seja, a existência de espaços e mecanismos institucionalizados de participação para o paciente poder contribuir e influenciar no processo de tomada de decisão em ATS e políticas públicas. Relacionam-se com os princípios da imparcialidade, equidade e legitimidade. Responsabilidade do Estado representa a obrigação positiva do Estado em acolher e propor ideias ou formular proposta de aprimoramento de políticas e serviços de cuidados prestados pelo SUS conjugando-se com o princípio da transparência e eficiência. Refletem padrões de qualidade como revisão dos procedimentos da participação dos pacientes e *feedback* (135, 173).

A partir das reflexões na condução da Perspectiva do Paciente à luz do direito do paciente à participação na ATS, foi possível formular recomendações que poderão servir para potencializar a participação do paciente na Conitec.

7.1 CONDIÇÕES PARA O EXERCÍCIO DO DIREITO À PARTICIPAÇÃO DO PACIENTE

A única forma que o paciente tem para participar da Perspectiva do Paciente é via remota. Ele deve estar logado na Plataforma Participa+Brasil e fazer a inscrição na chamada disponibilizada no site da Conitec. Vale lembrar que a Conitec não se responsabiliza por garantir o acesso à internet e recursos de ordem tecnológica aos participantes em qualquer etapa do processo. Assim, não foi possível considerar se as condições adequadas para a efetiva participação do paciente nos dois encontros preparatórios com a equipe do DGITS estavam presentes. Nessa esteira, esse aspecto pode ter contribuído para a inexistência, ou poucas inscrições, ou até mesmo desistência na etapa inicial do processo. Entende-se que em um país com dimensões continentais como o Brasil, a participação via remota apresenta-se como a melhor alternativa, visto que reuniões presenciais poderiam gerar ainda mais barreiras para a participação do paciente. Custos financeiros e de oportunidades com deslocamentos e as próprias restrições físicas e emocionais deles limitariam seu envolvimento.

A ampla divulgação e promoção da participação do paciente, acompanhadas de acesso às informações sobre as doenças, tratamentos e o processo de ATS, de maneira clara e acessíveis são primordiais para que os pacientes exerçam o seu direito de participar do planejamento e prestação de seus cuidados de saúde determinado pelo processo de ATS no SUS. O engajamento dos pacientes nesse processo com a destinação de recursos para tal fim perpassa pela capacitação de todos os agentes envolvidos (pacientes, suas organizações, gestores e profissionais da saúde) para trabalharem em conjunto, removendo as barreiras para o envolvimento. A capacitação por meio de cursos e oficinas promovidos por diversas agências internacionais de ATS são estratégias utilizadas para envolver os pacientes e a população em seus processos de ATS (174).

A capacitação abarca a literacia digital e em saúde que, em 2016, foi reconhecida pela OMS na Declaração de Xangai como um determinante crítico da saúde (175). Reformulando o paradigma concentrado na capacidade individual do cidadão de acessar, compreender, avaliar e usar informações para manter uma boa saúde, a OMS entendeu que a literacia em saúde deveria ser compreendida como uma prática social determinada por fatores organizacionais e políticos que afetam as

comunidades. Uma abordagem integrativa para capacitar e construir conhecimento implica melhor formação dos profissionais de saúde, tomadores de decisões e gestores que precisam interagir com a população e entender como suas intervenções impactarão a vida dessas pessoas. A capacidade de perceber o direito à saúde depende da compreensão de todos sobre sua própria saúde, sendo capacitados e empoderados para fazer escolhas saudáveis e tendo acesso a intervenções eficazes (176).

Sob a ótica dos DHP, o direito à informação como parte integrante do direito à saúde de receber e ter acesso às informações para a tomada de decisão requerem do Estado algumas obrigações. Cabe a ele destinar recursos humanos e financeiros para a capacitação dos atores sociais que participam da ATS; fornecer a população com informações acessíveis e de qualidade sobre a ATS, os mecanismos de participação social, as doenças e alternativas disponíveis para tratamento no SUS. Não é só o conteúdo em si das informações que deve ser levado em consideração, mas também o modo e circunstâncias em que são manuseadas. O acesso à informação é elemento indispensável para a autodeterminação do paciente afetando sua tomada de decisão sobre os cuidados em saúde adequados a ele (29, 43).

7.2 EFETIVAÇÃO DO DIREITO À PARTICIPAÇÃO EM ATS

A pesquisa constatou que a Conitec não utiliza uma metodologia para rever as Perspectivas dos Pacientes e incorporá-las na deliberação da ATS. A Perspectiva do Paciente corresponde à transcrição de seu relato na reunião de apreciação inicial da tecnologia. Esse momento ocorre após a apresentação da tecnologia e dos aspectos clínicos e econômicos, antes da recomendação preliminar. Incertezas sobre a avaliação dessa modalidade de participação e opiniões sobre a inserção e forma de condução da Perspectiva do Paciente foram exteriorizadas nas falas de alguns pacientes:

Eu vou falar de uma maneira bem rápida sobre esse tempo de 10 min que nós temos, é um tempo muito curto para nós que temos uma doença rara conseguir explicar, falar sobre todos os nossos desafios. A gente não sabe o que é importante para quem vai fazer a avaliação, porque não é, não somos nós que fazemos a avaliação, esse tempo é uma coisa bem difícil para nós. Então eu

vou tentar, mas mesmo assim está melhor que antes, porque antes a gente só podia assistir e não podia falar nada. Então pelo menos agora a gente já tem 10 minutos para defender. Então vamos lá agora sendo objetiva na experiência (...). Eu acho que já está chegando nos meus 10 min. Espero ter conseguido explicar um pouco da doença, da situação dele num período de tempo tão curto. Eu precisaria de mais tempo. (Perspectiva da cuidadora para o tratamento de pacientes com homocistinúria com o medicamento Betaína anidra)

Deixo aqui o meu abraço, foi um prazer muito grande poder participar e colaborar qual essa comissão. Estarei aqui sempre à disposição no que for necessário e no que eu puder ajudar. Contem comigo e eu estarei aqui sempre. (Perspectiva do paciente para o tratamento de mieloma múltiplo com os medicamentos Lenalidomida e Daratumumabe)

Gostaria de agradecer a oportunidade de participar representando os portadores de HPTEC e também parabenizar a iniciativa da Conitec pela inclusão do paciente nesta reunião tão importante. (Perspectiva da paciente para o tratamento da hipertensão pulmonar tromboembólica crônica com o medicamento Riociguate)

Eu acredito muito que este debate, ele é muito importante. E não é para ser só uma reunião, tem que ter várias, porque a nossa opinião, o nosso conhecimento hoje vem fazendo uma diferença muito grande na vida dessas pessoas. Como por exemplo, famílias que estão no Acre Roraima, procuram pela ABRAME, procuram a Fátima e acham o máximo que o meu filho vai fazer 18 anos com AME tipo 1 e aí eu posso indicar em cada Estado qual médico procurar, quais profissionais capacitados e que entendem da doença e isso tudo faz a diferença (...). Hoje a gente está aqui fazendo esta reunião que é de grande relevância, eu venho com a parte técnica e vocês vêm com a parte real, do nosso dia a dia. (Perspectiva da cuidadora para o tratamento da AME tipo 1 com Risdiplam)

Agradeço a oportunidade que nos foi dada através da perspectiva do paciente, pois a vivência e convivência dos pacientes com a doença pode refletir pontos obscuros para muitas pessoas, principalmente quando se trata de políticas públicas de saúde das quais dependerá o retorno desses pacientes a uma vida normal ou o mais próximo possível do normal. (...) O preço que se deve levar em maior consideração nos casos de medicamentos para porfirias agudas é o preço social desse retorno à vida, ao trabalho, à convivência útil e produtiva em família e em sociedade. (Perspectiva da cuidadora para o tratamento de pacientes adultos com porfirias hepáticas agudas com o medicamento Givosirana)

A despeito desses trechos sobre a percepção da Perspectiva do Paciente em si partirem de somente 5 pacientes, o conteúdo é significativo na representação dos princípios elaborados pelo *HTAi Interest Group for Patient and Citizen Involvement in HTA* que amparam a participação do paciente na ATS (135). Reconhecer o direito dos pacientes de contribuir para o processo de ATS; de ter acesso aos mecanismos eficazes de participação; a relevância das contribuições dos pacientes como agentes morais com seus conhecimentos, perspectivas e experiências únicas; o envolvimento como determinante para a equidade do sistema de saúde e legitimidade do processo de tomada de decisão na ATS são práticas estimuladas a partir de consensos

internacionais a fim de promover a participação dos pacientes na ATS e os benefícios dela advindos.

A paridade representativa nas reuniões da Conitec continua sendo um tema de discussão. A participação social está ancorada no artigo 198 da CF como uma das diretrizes do SUS, estabelecida como um dos princípios da Lei n. 8.080 de 1990 (Lei Orgânica do SUS), é o tema central da Lei n. 8.142 de 1990 para a gestão do SUS e especificada na ATS pela Lei n. 12.401 de 2011 com a representação de um indicado pelo CNS para compor a Conitec com poder de deliberação. Contudo, entende-se que essa representação não é satisfatória à inclusão do paciente, posto que o CNS, como bem apontado por Oliveira e Eler (2022) não é um órgão de representação dos pacientes e conta com apenas 9 representantes de associações dentre seus 48 conselheiros (29).

Os questionamentos realizados pelos membros da Plenária sobre os benefícios, efeitos adversos e administração dos medicamentos após os relatos dos pacientes enfatizam a necessidade de utilizar estratégias de comunicação proativas na condução da Perspectiva do Paciente para que o paciente verbalize os aspectos tidos como relevantes para a ATS reconhecidos no próprio guia da Conitec. Frisa-se que o paciente não participa da deliberação que ocorre seguidamente ao seu relato, conseqüentemente, não tem poder de voto na Conitec. Como concluiu Steffensen *et al.* (2022) sobre o ideal habermasiano de democracia deliberativa (31), é pouco provável que uma participação igualitária nas deliberações da Conitec seja promovida nesse modelo sem exploração e esclarecimentos explícitos dos tipos de contribuições de conhecimentos esperados dos pacientes.

Os conflitos epistêmicos entre os ideais científicos e o conhecimento experiencial dos pacientes podem ser resgatados com o conceito clássico da MBE proposto por Sackett e colaboradores (82), ou seja, integrar tanto a perícia clínica individual como a melhor evidência clínica externa disponível a partir de pesquisas sistemáticas contemplando as experiências e preferências dos pacientes. As perspectivas dos pacientes devem ser consideradas no mesmo patamar que as demais evidências e não ocupar um lugar secundário ou periférico no momento das apreciações. Não contemplar os valores e preferências dos pacientes nas ATS suscita em não assegurar uma adequada tomada de decisão baseada na evidência, agravando-se pela desintegração do contexto sociofamiliar, econômico, cultural e assistencial.

Inserese nessa esfera o princípio do cuidado centrado no paciente. Sob esse enfoque multiprofissional de concepção holística em contraposição ao modelo de uma ética biomédica, o paciente é concebido como protagonista de sua própria saúde com participação ativa no estabelecimento de prioridade e tomada de decisão sobre seus cuidados. Como principal beneficiário dos serviços de saúde, o paciente em colaboração com seus familiares e profissionais caminham para garantir que ele tenha informações acessíveis e de qualidade para a tomada de decisões sobre tratamentos que atendam suas necessidades físicas, sociais e emocionais (43). Fazendo-se, portanto, respeitar seus valores e preferências pelos demais atores envolvidos não somente no momento da prestação de cuidados, mas no processo que a antecede com a seleção desses cuidados na ATS. Uma cultura organizacional que integre esse princípio encorajando a sensibilização de seus profissionais para a integração dos pacientes e suas necessidades corroboram para consolidar cuidados de qualidade que concretizam o princípio da dignidade humana.

Na perspectiva dos DHP, é responsabilidade do Estado promover mecanismos efetivos de participação social na ATS, dando legitimidade aos processos de tomada de decisão em políticas públicas com o envolvimento de uma ampla gama de pacientes incluídos nas instâncias decisórias, sistematizando e incorporando o conhecimento advindo de suas participações, ademais de destinar recursos para tal fim.

7.3 RESPONSABILIDADE DO ESTADO

Um aspecto marcante da Perspectiva do Paciente foi a ausência de registro de *feedback* sobre essa modalidade participativa à sociedade nos documentos disponíveis no site da Conitec. Alguns poucos pacientes receberam *feedback* no sentido de terem aspectos de seus relatos esclarecidos e validação verbal da sua participação pelos membros da Conitec:

Eu gostaria de dizer para o senhor que o SUS oferta todos os tratamentos, inclusive todos os tipos de transplante, a questão que fica em jogo é se o preço que se cobra por esse medicamento justifica a evidência que ele demonstra. Então o senhor está nos fazendo aqui um bom relato de um caso de sucesso. Porque procedimento têm, vários procedimentos para tratar mieloma como

qualquer outro tipo de câncer. A questão que estamos discutindo aqui é se as evidências em um número de pessoas que foi estudado, não um relato de caso, se essas evidências são suficientes para prever reprodutibilidade desse resultado quando extrapolado para a rotina e atender a todos. (Perspectiva do Paciente para o tratamento do mieloma múltiplo com o medicamento Lenalidomida)

Muito obrigada, Felipe. Espero que a situação se resolva rapidamente. Eu vou passar para o pessoal da área interna a questão da falta dos medicamentos. (Perspectiva do Paciente para o tratamento da esclerose múltipla com o medicamento Ofatumumabe)

Primeiro agradecer a Fátima pela participação. Eu concordo plenamente com a avaliação, a gente discute muito aqui as evidências disponibilizadas, controladas e a gente lida realmente com médias. Nem todo mundo se comporta como a média. A gente tem essa heterogeneidade e é muito importante você trazer essa perspectiva do que vem por trás das escalas, isso é importante sim e acho que tem que ser considerado na nossa discussão. Por mais que sejam evoluções [mínimas], você mostra o nível de independência que você pode dar para o seu filho a partir de uma movimentação. Isso é importante do ponto de vista de liberdade que ele vai poder ter. (Perspectiva do Paciente para o tratamento da AME tipo 1 com o medicamento Risdiplam)

Lembrando, Fátima, que o que a gente avalia aqui são as evidências clínicas, são os estudos clínicos. Então nos estudos clínicos os pacientes estão sendo totalmente acompanhados, estudos clínicos feitos pela própria indústria farmacêutica que é a detentora do produto. Então a gente avalia a evidência publicada, a melhor evidência disponível e é com base nisso que a gente faz as análises todas. Então é preciso que as empresas apresentem estudos com melhor qualidade e nesses estudos as pessoas são acompanhadas. Diferente da efetividade que é a medida na prática clínica sem ter todo aquele acompanhamento rigoroso que tem no ensaio clínico. Então é só para ficar claro essa diferenciação. (Perspectiva do Paciente para o tratamento da AME tipo 1 com o medicamento Risdiplam)

Muito obrigado Iris, você teve um papel fundamental aqui que é uma dificuldade que eu estava tendo em conseguir traduzir o que são essas escalas. Então acho que você teve o papel fundamental de traduzir na vida real o que que é você interromper uma degradação que é o que vai acontecer com a história natural não tendo acesso a terapia. Então essas escalas têm um reflexo na sua vida, na liberdade de coisas que te dão uma qualidade funcional. Com certeza a Comissão vai ouvir. (Perspectiva do Paciente para o tratamento da AME tipo 2 com o medicamento Risdiplam)

Só para esclarece que os critérios de exclusão do protocolo são baseados nas evidências científicas produzidas pelos laboratórios. Os laboratórios fazem os estudos clínicos e eles utilizam critérios de exclusão [dos pacientes] que não deveriam utilizar nos seus estudos para provar ali a eficácia. Então os critérios de exclusão de idade de diagnóstico, de idade de pacientes que entraram nos estudos estão nesses ensaios clínicos que são a base para a nossa análise aqui e também dos protocolos clínicos. (Perspectiva do Paciente para o tratamento da AME tipo 2 com o medicamento Risdiplam)

Muito obrigada pela tua contribuição. Acho que ajuda muito no escopo do que a gente está conversando. Queria realmente saber e tu trouxe a questão do lloprosta (tecnologia concorrente) que realmente as pessoas reclamam muito da administração, inclusive ele pode chegar a ter a administração a cada 10 minutos. (Perspectiva do Paciente para o tratamento da Hipertensão Arterial Pulmonar com o medicamento Selexipague)

Eu queria agradecer a Thais. O depoimento dela é muito importante para nós que estamos aqui decidindo nos colocarmos na pele dela e entendermos como é o sofrimento de pacientes que passam por esse seu tipo de doença. Eu também acompanho pacientes desse tipo e sei o que é isso. O seu depoimento foi muito claro pra gente, é bom a gente se colocar na pele do paciente também, ter esse componente no processo de decisão. Embora comparações entre antes e depois no mesmo paciente não possa ser consideradas provas de eficácia, mas é importante o seu relato quanto o que é a doença para o paciente. Eu vejo esse o maior valor de um depoimento de um paciente. (Perspectiva do Paciente para o tratamento da Hipertensão Arterial Pulmonar com o medicamento Selexipague)

Eu queria aproveitar a oportunidade e agradecer a Thais pelo seu depoimento. Achei bem interessante a sua história, passou por vários médicos, fez vários exames e ninguém diagnosticou você e eu entendo como isso é frustrante muitas das vezes para quem está por perto. Mas a sua fala que bateu fundo em mim foi uma coisa que eu aprendi desde cedo na medicina: foi que a trajetória de um doente tem uma família doente. Então você não está só tratando uma pessoa, está tratando um pai, uma mãe, um irmão, uma irmã. Pessoas que ficam aflitas, que não dormem com o trauma, que não têm mais sossego, ficam preocupados com o parente querido. Eu queria ressaltar isso para a gente lembrar dessa questão. (Perspectiva do Paciente para o tratamento da Hipertensão Arterial Pulmonar com o medicamento Selexipague)

O padrão de conduta de quem dirige a reunião é questionar aos membros da Conitec se há perguntas a serem feitas ao paciente. Todavia, esse comportamento não foi observado no sentido inverso. Não há um momento estabelecido para que os pacientes tirem dúvidas na reunião de apreciação da Conitec.

O *feedback* é tido como padrão de qualidade que deve ser fornecido aos pacientes e suas organizações que contribuíram com a ATS compartilhando quais informações foram mais úteis e fornecendo sugestões para ajudar em seus futuros envolvimento (135). A ausência de *feedback* é percebida como uma estratégia de tokenismo praticada pelas agências de ATS. A não obrigatoriedade de adotar *feedback* ou o fato de os pacientes não dispuserem de poder de decisão trazem preocupações sobre o tokenismo nas perdas de oportunidades para considerar os *inputs* dos pacientes (35).

Reportar a influência da contribuição da Perspectiva do Paciente nos relatórios da Conitec e realizar a validação verbal dos componentes cognitivos e afetivos do paciente pelos tomadores de decisão compõem o cuidado empático e centrado no paciente. A não objetificação e a escuta atenta e direcionada às necessidades dos pacientes constituem obrigações morais que coadunam com a ótica dos DHP, cujas práticas para uma cultura organizacional de respeito aos direitos humanos são de responsabilidade do Estado enquanto tomador de decisões e prestador de serviços em saúde.

Exaltam-se atitudes louváveis que versam sobre a transparência no processo de ATS que vêm sendo adotadas pela Conitec. A disponibilização de relatórios para a sociedade com as informações sobre a tecnologia a ser avaliada com linguagem simplificada; a publicização do conteúdo das contribuições das consultas públicas e das gravações das reuniões deliberativas em sua integralidade; a clareza do processo de seleção do representante dos pacientes; a própria inserção do representante do paciente por meio da Perspectiva do Paciente nas reuniões deliberativas. Essas ações dão maior credibilidade às decisões da agência aperfeiçoando, ao mesmo tempo, a participação do paciente nesse processo. Transparência em todas as etapas da ATS é crucial para incentivar a participação social. Mesmo que ausente em alguns relatórios de recomendação da tecnologia, a transcrição da Perspectiva do Paciente estava presente em todos os relatórios para a sociedade referente aos respectivos medicamentos. Agências de ATS com maior incentivo à participação social são as que publicizam as contribuições públicas e suas análises (177).

Apesar de não ter sido objeto de pesquisa dessa tese, um aspecto notável foi que, na mesma direção dos estudos referidos (25-27, 36), as consultas públicas continuam representando o maior volume de participações dos pacientes apontando para influência no processo de tomada de decisão da Conitec. Visto que 6 das 28 recomendações preliminares desfavoráveis tiveram as recomendações finais alteradas para favoráveis às incorporações medicamentosas após realização das consultas públicas.

Em relação à Perspectiva do Paciente, um ponto central da pesquisa foi a não observância de influência neste sentido, posto que não foram encontradas menções das contribuições das Perspectivas dos Pacientes nas recomendações da Conitec, sejam preliminares ou finais. Isto indica que a Perspectiva do Paciente está sendo pouco explorada pela Conitec e não está perceptível a forma que esta modalidade participativa está a contribuir para o processo avaliativo dos tomadores de decisão. Assim como no estudo de Hashem *et al.* (38), as evidências desta pesquisa mostraram que a prioridade da Conitec foi avaliar a tecnologia em termos de custo-efetividade e impacto orçamentário sendo os fatores decisivos nas recomendações para as incorporações. Não houve evidências de avaliação do impacto da Perspectiva do Paciente nas recomendações da Conitec.

7.4 RECOMENDAÇÕES NA CONDUÇÃO DA PERSPECTIVA DO PACIENTE

A partir dos achados e reflexões das etapas anteriores, objetivou-se contribuir com recomendações na condução da Perspectiva do Paciente pela Conitec em consonância com os DHP, propõem-se:

- Reforçar os mecanismos de literacia em saúde (e digital) como política no SUS, o que implica em destinar recursos e capacitar pacientes e tomadores de decisão precocemente;
- Esclarecer o processo de preparação do paciente no site da Conitec;
- Elaborar um guia/formulário para que os pacientes contribuam mais produtivamente na Perspectiva do Paciente com os critérios ou pontos de maiores interesses aos atores envolvidos na avaliação;
- Destinar legalmente/oficialmente vaga própria e permanente para representante dos pacientes nas reuniões deliberativas da Conitec;
- Instituir comitês de pacientes especialistas ou de reuniões de pacientes e associações de pacientes extraíndo informações de forma sistematizada. A iniciativa para conhecer e mapear as associações de pacientes pode futuramente servir para preencher esse espaço;
- Adotar uma conduta recíproca permitindo que o paciente sane dúvidas decorrentes de sua participação e dos questionamentos realizados pelos avaliadores;
- Prever um espaço de tempo para que ele possa sanar essas dúvidas;
- Esclarecer conceitos ou ideias equivocadas relatadas pelos pacientes que possam influenciar em sua percepção sobre a tecnologia ou organização da Conitec;
- Inserir a figura de um “intermediador” capacitado que possa fazer essa ponte esclarecendo e traduzindo as informações aos pacientes;
- Identificar e relatar os temas mais importantes para os pacientes e avaliadores extraídos das falas dos pacientes nos relatórios da Conitec;

- Direcionar as contribuições das Perspectivas dos Pacientes para as consultas públicas personalizando-as e aprofundando-as nas questões mais estratégicas ou de maior peso para as avaliações pela Conitec;
- Referendar as experiências dos pacientes validando seus componentes cognitivos e afetivos;
- Aprimorar e encorajar a pesquisa qualitativa para evidência baseada no paciente e sua utilização na ATS, sobretudo no contexto de evidências mais frágeis como nas doenças raras;
- Definir uma metodologia de análise da Perspectiva do Paciente;
- Realizar *feedback* da Perspectiva do Paciente sob diversos aspectos: satisfação do paciente; avaliação do processo em si e avaliação do impacto. Mostrar à população e aos pacientes os resultados, a utilidade de suas contribuições.

Há, portanto, várias medidas a serem adotadas pela Conitec para o aprimoramento da participação do paciente na modalidade Perspectiva do Paciente nas deliberações sobre incorporações de tecnologias no SUS.

8 CONSIDERAÇÕES FINAIS

O objetivo dessa investigação foi trazer para discussão um tema atual e em constante evolução que é a participação social do paciente na ATS. O trabalho centrou-se na modalidade participativa da “Perspectiva do Paciente” em razão de ser um mecanismo relativamente novo e pouco explorado pela Conitec e demais pesquisadores. O recorte das doenças raras para pesquisa documental pautou-se pela convicção que esses pacientes possuem uma vulnerabilidade acrescida em relação à materialização do atendimento de suas necessidades especiais pelo SUS, concentrando nossos esforços para uma representação mais significativa dessa participação. A literatura também apontou a fragilidade e sensibilidade na tomada de decisão na ATS para essas doenças devido a fragilidade das evidências científicas, escassez de tratamentos, desfechos clínicos questionáveis e alto impacto dos custos dos medicamentos nos sistemas de saúde.

A ATS realizada pela Conitec no Brasil é um instrumento de extrema importância para dar suporte ao Estado na elaboração de políticas públicas sustentáveis no SUS. Considerando que o processo de decisão é pautado em critérios além dos puramente científicos, julgamentos baseados em valores morais, legais e sociais são intrínsecos ao processo. As evidências científicas que sustentam a ATS não são por si só suficientes para apoiar a decisão, pois apresentam frequentemente incertezas inerentes ao método científico. Logo, é imprescindível que as várias partes interessadas com suas respectivas preferências estejam diretamente incluídas no processo de tomada de decisão. Os pacientes, diretamente afetados pelas decisões da Conitec, são os maiores interessados em participar desse processo. Portanto, se as políticas públicas tendem a servir os pacientes, é eticamente defensável integrá-los ao processo de definição de prioridades de avaliação na ATS, juntamente com a avaliação de suas necessidades e preferências para equilibrar a ênfase em novas tecnologias. A realidade da escassez de recursos no SUS deve ser reconhecida para desenvolver e aprimorar bons métodos de ATS que atendam às necessidades dos pacientes substancializando o direito à saúde. Destaca-se que a economia para o SUS não está limitada a um custo financeiro, tendo em vista que o investimento na incorporação não está condicionado à diminuição de preço, mas sim aos benefícios

proporcionados pela tecnologia que só podem ser aferidos a partir da experiência do paciente. A vista disso, defende-se uma ATS abrangente que englobe para além de aspectos clínicos e econômicos, os éticos, legais, organizacionais, sociais e do paciente para que o sistema forneça tecnologias de forma segura, eficiente e racional mitigando as injustiças em saúde.

Ademais de eticamente defensável, a participação social do paciente na condução da política pública de saúde, conseqüentemente, nas escolhas sobre alocação de bens e serviços em saúde, é decorrente do direito humano à saúde. Este direito reconhecido como aquele que toda pessoa possui de desfrutar do mais elevado nível de saúde e mental possível é conjugado com a necessária participação popular nas decisões políticas relativas às prestações de cuidados em saúde. A concepção ampla de saúde está diretamente relacionada ao desenvolvimento de instrumentos que potencializam a democracia e o exercício da cidadania. Portanto, diz respeito a outros direitos, como a participação social, o acesso à informação e à comunicação, revelando a interdependência e inter-relação próprias dos direitos humanos. A participação na condução de assuntos públicos no âmbito da saúde também está amparada em vários documentos internacionais de direitos humanos.

Os DHP referem-se à aplicação dos direitos humanos a todos os indivíduos submetidos a cuidados em saúde. A estruturação em uma visão holística do paciente, a contraposição a uma ética biomédica, a titularidade do direito a todos os pacientes, o reconhecimento da assimetria de poder entre profissionais e pacientes, o princípio do cuidado centrado no paciente, da dignidade humana, da autonomia relacional e da responsabilidade do paciente são elementos que diferenciam a posição de relevo dos DHP.

Os DHP examinam os fatores sistemáticos e as responsabilidades do Estado na prestação de cuidados em saúde. Resguardados pelos pactos internacionais de direitos humanos, os princípios da responsabilidade, transparência, não discriminação e participação popular na melhoria e promoção na prestação de serviços de saúde se compatibilizam com os preceitos defendidos pelos DHP e que, portanto, devem ser aplicados em todas as etapas da ATS. Diante disso, em termos de responsabilidades, cabe ao Estado adotar medidas institucionais para que a participação seja um componente integral de suas ações proporcionando informações acessíveis, de qualidade e meios de participação, avaliando o impacto da participação, destinando recursos para capacitação, instituindo processo de ATS transparentes e sistemáticos.

Assim, a prestação eficaz de serviços de saúde pelo SUS que efetivam o direito fundamental à saúde consagrado na Constituição da República, implica na participação ativa e informada dos pacientes nos processos de tomadas de decisões que os afetam, o que inclui, evidentemente, a seleção de quais tecnologias serão ofertadas pelo sistema.

A pesquisa documental com os materiais disponibilizados pela Conitec, em adição a permitir conhecer o perfil demográfico dos pacientes que participaram da Perspectiva do Paciente, possibilitou a avaliação do processo em si dessa modalidade participativa. À luz dos DHP foi possível refletir sobre a atuação da agência e contribuir com as recomendações elencadas ao final do capítulo anterior para o desenvolvimento na condução da Perspectiva do Paciente pela Conitec (antes, durante e depois de sua utilização) explorando seu potencial participativo.

Conclui-se que há um longo caminho a ser percorrido na ATS brasileira em direção a uma participação social do paciente mais inclusiva que incorpore os direitos humanos como referencial das ações e serviços aplicados aos cuidados em saúde, do qual se destaca o direito do paciente à participação e à tomada de decisão (autodeterminação) como componentes do direito à saúde, imperativos ético-jurídicos que não podem ser ignorados na prática cotidiana dos profissionais de saúde e gestores. A aplicação dos DHP na ATS poderia, sob esse prisma, ser considerada universalmente aplicável no sentido de aportar proposições prescritivas para influenciar os comportamentos dos agentes inseridos no processo de tomada de decisão inserindo imperativos positivos e negativos ético-jurídicos derivados das prescrições de direitos humanos.

Essa tese apresenta limitações por ser um recorte da Perspectiva do Paciente sobre incorporação de medicamentos para doenças raras na Conitec. Perspectiva do Paciente sobre outras tecnologias, doenças ou condições ou mesmo tipos de demandas (exclusão de tecnologia ou atualização de PCDT) não foram objeto de exame dessa tese. Outra limitação importante é a ausência de informações disponíveis no site da Conitec sobre a metodologia utilizada para avaliar as perspectivas dos pacientes e incorporá-las nos relatórios. Destarte, os critérios de análise da Perspectiva do Paciente foram baseados no formulário para consultas públicas disponibilizado no site da Conitec. Diferentemente de estudos que abordaram o impacto da participação do paciente por meio de entrevistas diretas com os pacientes ou com os tomadores de decisão, a avaliação da Perspectiva do Paciente

se deu exclusivamente por meio de consultas aos documentos e materiais produzidos pela Conitec.

Mais pesquisas são necessárias para desenvolver orientações claras sobre o aprimoramento e utilidade da Perspectiva do Paciente tanto para os membros da Conitec quanto aos pacientes e suas organizações. Estudos sobre o impacto do emprego da Perspectiva do Paciente no Brasil ainda são incipientes. Pesquisas adicionais são primordiais para avaliar o que os tomadores de decisões e pacientes entendem sobre o que é o impacto da Perspectiva do Paciente e de outras formas de participação social e potencializar as estratégias de participação.

Não obstante os DHP partirem da ótica do direito à saúde como um bem público, eles se aplicam a todos os pacientes independentemente da natureza da relação com os prestadores de serviços, portanto sugere-se ampliar a pesquisa sobre o direito à participação do paciente para outras agências de ATS, como a ANS.

REFERÊNCIAS

1. Amorim FF, Ferreira Júnior PN, Faria ER, Almeida KJQd. Avaliação de tecnologias em saúde: contexto histórico e perspectivas. *Comun ciênc saúde*. 2010:[343-8].
2. ibgecomunica. Agência IBGE. Notícias. Conta-Satélite de Saúde: 9,6% do PIB foram gastos no consumo de bens e serviços de saúde em 2019 | Agência de Notícias: @ibgecomunica; 2022 [updated 2022-04-14. Available from: <https://agenciadenoticias.ibge.gov.br/agencia-sala-de-imprensa/2013-agencia-de-noticias/releases/33482-conta-satelite-de-saude-9-6-do-pib-foram-gastos-no-consumo-de-bens-e-servicos-de-saude-em-2019>.
3. International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA). [página na internet] <https://www.inahta.org/> [
4. Brasil. Ministério da Saúde. Entendendo a Incorporação de Tecnologias em Saúde no SUS: como se envolver. internet: Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde.; 2016.
5. Novaes HMD, Soárez PCd. Health technology assessment (HTA) organizations: dimensions of the institutional and political framework. *Cad Saúde Pública*. 2016;32:e00022315.
6. Kleijnen S, Goettsch W, d'Andon A, Vitre P, George E, Goulden S, et al. EUnetHTA JA WP5: Relative effectiveness assessment (REA) of pharmaceuticals. Background review July. 2011.
7. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC) internet2022 [Available from: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/conitec>.
8. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos PORTARIA Nº 13, DE 19 DE DEZEMBRO DE 2008 Aprova o Regimento Interno da Comissão de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde - CITEC [internet]2008 [Available from: https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/sctie/2008/prt0013_19_12_2008.html.
9. Ministério da Saúde. Gabinete do Ministro. PORTARIA Nº 2.690, DE 5 DE NOVEMBRO DE 2009 Institui, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), a Política Nacional de Gestão de Tecnologias em Saúde: internet; 2009 [Available from: https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2009/prt2690_05_11_2009.html.
10. Ministério da Saúde. Portaria nº 2.915, de 12 de dezembro de 2011. Institui a Rede Brasileira de Avaliação de Tecnologias em Saúde (REBRATS) internet2011 [Available from: https://rebrats.saude.gov.br/images/REBRATS/Portaria2915_2011.pdf.
11. Ministério da Saúde. Portaria GM/MS nº 146, de 26 de janeiro de 2021. Altera o Anexo XIV da Portaria de Consolidação GM/MS nº 3, de 28 de setembro de 2017, para dispor sobre a Rede Brasileira de Avaliação de Tecnologias em Saúde - REBRATS internet2021 [Available from: https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2021/prt0146_03_02_2021.html.
12. Rawlins MD. Evidence, values, and decision making. *Int J Technol Assess Health Care*. 2014;30(2):233-8.
13. Hofmann B, Cleemput I, Bond K, Krones T, Droste S, Sacchini D, et al. Revealing and acknowledging value judgments in health technology assessment. *International journal of technology assessment in health care*. 2014;30(6):579-86.
14. Reddy K. Evidence Based Medicine: A Paradigm for Clinical Practice. *Journal of Gandaki Medical College-Nepal*. 2018;11(02):74-81.
15. Gauvin F-P, Abelson J, Giacomini M, Eyles J, Lavis JN. "It all depends": conceptualizing public involvement in the context of health technology assessment agencies. *Social science & medicine*. 2010;70(10):1518-26.
16. Huls SPI, Whichello CL, van Exel J, Uyl-de Groot CA, de Bekker-Grob EW. What Is Next for Patient Preferences in Health Technology Assessment? A Systematic Review of the Challenges. *Value Health*. 2019;22(11):1318-28.
17. Facey KM. As health technology assessment evolves so must its approach to patient involvement. *Journal of comparative effectiveness research*. 2019;8(8):549-54.

18. Gauvin F-P, Abelson J, Giacomini M, Eyles J, Lavis JN. Moving cautiously: public involvement and the health technology assessment community. *International journal of technology assessment in health care*. 2011;27(1):43-9.
19. Rand L, Dunn M, Slade I, Upadhyaya S, Sheehan M. Understanding and using patient experiences as evidence in healthcare priority setting. *Cost Effectiveness and Resource Allocation*. 2019;17(1):1-13.
20. Dipankui MT, Gagnon M-P, Desmartis M, Légaré F, Piron F, Gagnon J, et al. Evaluation of patient involvement in a health technology assessment. *International journal of technology assessment in health care*. 2015;31(3):166-70.
21. Wortley S, Wale J, Grainger D, Murphy P. Moving beyond the rhetoric of patient input in health technology assessment deliberations. *Australian Health Review*. 2016;41(2):170-2.
22. Facey KM, Hansen HP, Single AN. *Patient involvement in health technology assessment*: Springer; 2017.
23. Brasil. Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011. Altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para dispor sobre a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS internet2011 [Available from: https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2011/lei/l12401.htm].
24. Silva AS. A participação social no processo de incorporação de tecnologias em saúde no Brasil. 2020.
25. Silva AS, Sousa MSAd, Silva EVd, Galato D. Social participation in the health technology incorporation process into Unified Health System. *Revista de saúde publica*. 2019;53:109.
26. Lopes ACdF, Novaes HMD, Soárez PCd. Participação social na gestão de tecnologias em saúde em âmbito federal no Brasil. *Revista de Saúde Pública*. 2020;54:136.
27. Vieira FS, Piola SF, Servo LMS. Avaliação e decisão sobre tecnologias em saúde no SUS: uma análise de fatores de influência sobre o processo decisório. 2022.
28. Caetano R, Hauegen RC, Osorio-de-Castro CGS. A incorporação do nusinersena no Sistema Único de Saúde: uma reflexão crítica sobre a institucionalização da avaliação de tecnologias em saúde no Brasil. *Cadernos de Saúde Pública*. 2019;35:e00099619.
29. Oliveira AASAd, Eler KCG. Participação social dos pacientes na avaliação de tecnologia em saúde: fundamentação, desafios e reflexões sobre a CONITEC. *Revista de Direitos e Garantias Fundamentais*. 2022;23(1):127-54.
30. Souliotis K, Agapidaki E, Peppou LE, Tzavara C, Varvaras D, Buonomo OC, et al. Assessing Patient Organization Participation in Health Policy: A Comparative Study in France and Italy. *Int J Health Policy Manag*. 2018;7(1):48-58.
31. Steffensen MB, Matzen CL, Wadmann S. Patient participation in priority setting: Co-existing participant roles. *Social Science & Medicine*. 2022;294:114713.
32. Boivin A, Lehoux P, Burgers J, Grol R. What are the key ingredients for effective public involvement in health care improvement and policy decisions? A randomized trial process evaluation. *The Milbank Quarterly*. 2014;92(2):319-50.
33. Ocloo J, Matthews R. From tokenism to empowerment: progressing patient and public involvement in healthcare improvement. *BMJ quality & safety*. 2016;25(8):626-32.
34. Coulter A. Perspectives on health technology assessment: response from the patient's perspective. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2004;20(1):92-6.
35. Weeks L, MacPhail E, Berglas S, Mujoomdar M. Canada. In: Facey KM, Hansen HP, Single ANV, editors. *Patient Involvement in Health Technology Assessment*. Singapore: Springer Nature; 2017.
36. Gagnon M-P, Dipankui MT, Poder TG, Payne-Gagnon J, Mbemba G, Beretta V. Patient and public involvement in health technology assessment: update of a systematic review of international experiences. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2021;37(1).
37. Bidonde J, Vanstone M, Schwartz L, Abelson J. An institutional ethnographic analysis of public and patient engagement activities at a national health technology assessment agency. *International journal of technology assessment in health care*. 2021;37(1).

38. Hashem F, Calnan MW, Brown PR. Decision making in NICE single technological appraisals: How does NICE incorporate patient perspectives? *Health Expectations*. 2018;21(1):128-37.
39. Patient-Centered WS. *Mixed Methods*.
41. Bardin L. *Análisis de contenido*: Ediciones Akal; 1991.
42. Rocha D, Deusdará B. Análise de Conteúdo e Análise do Discurso: aproximações e afastamentos na (re) construção de uma trajetória. *Alea: estudos neolatinos*. 2005;7:305-22.
43. Albuquerque A. *Direitos Humanos dos Pacientes*. Curitiba: Juruá Editora; 2016.
44. Cohen J, Ezer T. Human rights in patient care: a theoretical and practice framework. *Health & Hum Rts*. 2013;15:7.
45. Paranhos D, Santos M, Albuquerque A. Os direitos humanos dos pacientes como novo referencial da bioética clínica. *Rev Redbioética*. UNESCO [Internet]. 2017;2(16):12-22.
46. Paranhos DGdAMe. *Direitos Humanos dos Pacientes Idosos (Tese)* [Internet]. Brasília: Universidade de Brasília (UnB); 2018.
47. Eler KCG. *Capacidade sanitária da criança sob a perspectiva dos direitos humanos dos pacientes. (Tese Doutorado em Bioética)* [Internet]. Brasília: Universidade de Brasília (UnB); 2019. p. 200.
48. Paranhos DG, Albuquerque A. Direitos humanos dos pacientes como instrumentos bioéticos de proteção das pessoas idosas. *Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário*. 2019;8(1):53-64.
49. Albuquerque A, Neto JARS. Organizações de pacientes e seu papel na implementação de direitos nos cuidados em saúde. *Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário*. 2022;11(1):144-62.
50. Eler K, Albuquerque A. Direitos humanos da paciente criança. *Cadernos Ibero-Americanos de Direito Sanitário*. 2019;8(1):36-52.
51. Brasil. *Constituição da República Federativa do Brasil de 1988*. Brasília 5 de outubro de 1988.
52. Dickson EM, Bowers R. *The Video Telephone; Impact of a New Era in Telecommunications*. A Preliminary Technology Assessment. 1974.
53. Columbia University. *The Automobile and the Regulation of Its Impact on the Environment*. New York, N. Y.: Legislative Research Fund of Columbia University, 1975. .
54. MS M, RM G. National health expenditures, fiscal year 1975. *Soc Secur Bull*. 1976;39(2):3-20.
55. Office of Technology Assessment USCTAAotNSFHbtTAB, June 12,13,1974. Washington, D.C.: U.S. Government Printing Office, 1974. .
56. Institute SR. *Technology Assessment of Winter Orographic Snowpack Augmentation in the Upper Colorado River Basin: The impacts of Snow Enhancement*. 1972;2.
57. U.S. Congress HoR, Committee on Science and Astronautics. *A Study of Technology Assessment. Report of the Committee on Public Engineering Policy, National Academy of Engineering*. Washington, D. C. July 1969.
58. (OTA) OOTA. *Development of Medical Technology: Opportunities for Assessment*. . August 1976.
59. Goodman CS. *HTA 101 Introduction to health technology assessment* 2014.
60. Inouye A, Süsskind C. "Technological Trends and National Policy," 1937: The First Modern Technology Assessment. *Technology and Culture*. 1977;18(4):593-621.
61. Banta D, Jonsson E. History of HTA: Introduction. *INTL J OF TECHNOLOGY ASSESSMENT IN HEALTH CARE*. 2009;25:1-6.
62. Australian Government. Department of Health and Aged Care [página na internet] <https://www.pbs.gov.au/pbs/home>. [
63. Swedish Agency For Health Technology Assessment And Assessment Of Social Services [página na internet]. <https://www.sbu.se/en/about-sbu/> [
64. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH). [página na internet] <https://www.cadth.ca/>. [
65. Hailey D. Development of the international network of agencies for health technology assessment. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2009;25(S1):24-7.
66. Hailey D, Menon D. A short history of INAHTA. *International journal of technology assessment in health care*. 1999;15(1):236-42.

67. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). [página na internet]. <https://www.nice.org.uk/>; [
68. Health Technology Assessment International (HTAi). [página na internet]: <https://htai.org/>; [
69. European Network for Health Technology Assessment (EUnetHTA). [página na internet]: <https://www.eunethta.eu/about-eunethta/>; [
70. Organization WH. Primary health care: report of the International Conference on primary health care, Alma-Ata, USSR, 6-12 September 1978: World Health Organization; 1978.
71. Organization WH. Targets for health for all 2000: WHO Regional Office for Europe; 1985.
72. Organization WH. Health for all targets: the health policy for Europe: World Health Organization. Regional Office for Europe; 1993.
73. Organization WH. The world health report 2002: reducing risks, promoting healthy life: World Health Organization; 2002.
74. Bertram MY, Edejer TTT. Introduction to the Special Issue on “The World Health Organization Choosing Interventions That Are Cost-Effective (WHO-CHOICE) Update”. International Journal of Health Policy and Management. 2021;10(Special Issue on WHO-CHOICE Update):670-2.
75. Wad A, Radnor M, Unesco. Technology assessment: review and implications for developing countries: Unesco; 1984.
76. Alves BOOMSM. RedETSA internet2022 [Available from: <https://redetsa.bvsalud.org/que-es-redetsa/>].
77. Goodman CS. Healthcare technology assessment: methods, framework, and role in policy making. Am J Manag Care. 1998;4(special issue):SP200-SP14.
78. Draborg E, Gyrd-Hansen D, Poulsen PB, Horder M. International comparison of the definition and the practical application of health technology assessment. International journal of technology assessment in health care. 2005;21(1):89-95.
79. O'Rourke B, Oortwijn W, Schuller T. The new definition of health technology assessment: A milestone in international collaboration. International journal of technology assessment in health care. 2020;36(3):187-90.
80. HTA Glossary.net internet2022 [Available from: <http://htaglossary.net/evidence-based-medicine?highlight=evidence>].
81. Guyatt G, Cairns J, Churchill D, Cook D, Haynes B, Hirsh J, et al. Evidence-based medicine: a new approach to teaching the practice of medicine. Jama. 1992;268(17):2420-5.
82. Sackett DL, Rosenberg WM, Gray JM, Haynes RB, Richardson WS. Evidence based medicine: what it is and what it isn't. British Medical Journal Publishing Group; 1996. p. 71-2.
83. Sackett D. Using evidence-based medicine to help physicians keep up-to-date. Serials. 1996;9(2).
84. Saúde Md, Secretaria de Ciência TeIe, Tecnologia DdCe. Diretrizes Metodológicas: Sistema GRADE-Manual de graduação da qualidade da evidência e força de recomendação para tomada de decisão em saúde. Ministério da Saúde Brasília; 2014.
85. Faria L, Oliveira-Lima JAd, Almeida-Filho N. Medicina baseada em evidências: breve aporte histórico sobre marcos conceituais e objetivos práticos do cuidado. História, Ciências, Saúde-Manguinhos. 2021;28.
86. Schneider LR, Pereira RPG, Ferraz L. Prática Baseada em Evidências e a análise sociocultural na Atenção Primária. Physis: Revista de Saúde Coletiva. 2020;30.
87. Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência TleIEs. Diretriz metodológica : síntese de evidências para políticas. In: Tecnologia DdCe, editor. Brasília2020. p. 70.
88. EUnetHTA Joint Action 2 WP. HTA Core Model[®] version 3.0 (Pdf). WP8 DELIVERABLE. 2016.
89. Facey K, Henshall C, Sampietro-Colom L, Thomas S. Improving the effectiveness and efficiency of evidence production for health technology assessment. International journal of technology assessment in health care. 2015;31(4):201-6.
90. Nielsen CP, Funch TM, Kristensen FB. Health technology assessment: research trends and future priorities in Europe. Journal of health services research & policy. 2011;16(2_suppl):6-15.

91. Banta D. What is technology assessment? International journal of technology assessment in health care. 2009;25(S1):7-9.
92. Banta D, Jonsson E. History of HTA: introduction. International journal of technology assessment in health care. 2009;25(S1):1-6.
93. W. Oortwijn RR, M. Decker. Ethical inquiry and (health) technology assessment: The social shaping perspective. Springer; 2004. p. 91-.
94. Lehoux P, Blume S. Technology assessment and the sociopolitics of health technologies. Journal of health politics, policy and law. 2000;25(6):1083-120.
95. Agency for Healthcare Research and Quality (AHRQ) 2022 [Available from: <https://www.ahrq.gov/cpi/about/index.html>].
96. Assembly WH. Health intervention and technology assessment in support of universal health coverage. WHA Resolution 6723. 2014.
97. United Nations. OHCHR | About the right to health and human rights: @UNHumanRights; 2022 [Available from: <https://www.ohchr.org/en/special-procedures/sr-health/about-right-health-and-human-rights>].
98. Brasil. Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990. Dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências internet [Available from: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l8080.htm#:~:text=LEI%20N%C2%BA%208.080%2C%20DE%2019%20DE%20SETEMBRO%20DE%201990.&text=Disp%C3%B5e%].
99. Federal D. LEI N 8.142, DE 28 DE DEZEMBRO DE 1990. Dispõe sobre a participação da comunidade na gestão do Sistema Único de Saúde (SUS) e sobre as transferências intergovernamentais de recursos financeiros na área da saúde e dá outras providências Diário Oficial da União. 1990;28.
100. IBGE II. Projeção da população do Brasil e das Unidades da Federação. Rio de Janeiro. 2019.
101. AGÊNCIA NACIONAL DE SAÚDE SUPLEMENTAR (ANS). Dados Gerais. Tabelas de beneficiários de planos de saúde, taxas de crescimento e cobertura: @; 2022 [Available from: <https://www.gov.br/ans/pt-br/aceso-a-informacao/perfil-do-setor/dados-gerais>].
102. Atun R, De Andrade LOM, Almeida G, Cotlear D, Dmytraczenko T, Frenz P, et al. Health-system reform and universal health coverage in Latin America. The Lancet. 2015;385(9974):1230-47.
103. Rache B, Mrejen M, Rosa L, Rocha R. A Saúde dos Estados em Perspectiva Comparada: Uma Análise dos Indicadores Estaduais do Portal IEPS Data. Instituto de Estudos para Políticas de Saúde; 2022.
104. Abimo. Relatório Setorial da ABIMO dados consolidados de 2021 perspectivas 2022 2022 [Available from: https://abimo.org.br/docs/ABIMO_Relatorio-Setorial_2021-22.pdf].
105. Ministério da Economia. Balança Comercial - Dados consolidados internet2022 [updated 02/12/2022. Available from: <https://www.gov.br/produtividade-e-comercio-exterior/pt-br/assuntos/comercio-exterior/estatisticas/balanca-comercial-brasileira-acumulado-do-ano>].
106. Felipe MSS, Rezende KS, Rosa MFF, Gadelha CAG. Um olhar sobre o Complexo Econômico Industrial da Saúde e a Pesquisa Translacional. Saúde em Debate. 2020;43:1181-93.
107. Brasil. Lei nº 12.466, de 24 de agosto de 2011. Acrescenta arts. 14-A e 14-B à Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, que “dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências”, para dispor sobre as comissões intergestores do Sistema Único de Saúde (SUS), o Conselho Nacional de Secretários de Saúde (Conass), o Conselho Nacional de Secretarias Municipais de Saúde (Conasems) e suas respectivas composições, e dar outras providências internet2011 [Available from: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/ato2011-2014/2011/lei/l12466.htm].
108. Banta D, Almeida RT. The development of health technology assessment in Brazil. International journal of technology assessment in health care. 2009;25(S1):255-9.
109. Lima SGG, Brito Cd, Andrade CJCd. O processo de incorporação de tecnologias em saúde no Brasil em uma perspectiva internacional. Ciência & Saúde Coletiva. 2019;24:1709-22.

110. Brasil. Lei no 6.360, de 23 de setembro de 1976. Vigência Regulamento Regulamento Dispõe sobre a Vigilância Sanitária a que ficam sujeitos os Medicamentos, as Drogas, os Insumos Farmacêuticos e Correlatos, Cosméticos, Saneantes e Outros Produtos, e dá outras Providências internet1976 [Available from: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l6360.htm].
111. Brasil. Lei nº 9.782, de 26 de janeiro de 1999. Define o Sistema Nacional de Vigilância Sanitária, cria a Agência Nacional de Vigilância Sanitária, e dá outras providências internet1999 [Available from: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l9782.htm].
112. Brasil. Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022. Altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990 (Lei Orgânica da Saúde), para dispor sobre os processos de incorporação de tecnologias ao Sistema Único de Saúde (SUS) e sobre a utilização, pelo SUS, de medicamentos cuja indicação de uso seja distinta daquela aprovada no registro da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) internet2022 [Available from: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2022/lei/L14313.htm].
113. Rede brasileira de Avaliação de Tecnologias em Saúde (Rebrats). NATS internet2022 [Available from: <https://rebrats.saude.gov.br/destaques/institucional/110-os-nats>].
114. Jurídicos. BpDRS-GSpA. DECRETO Nº 11.161, DE 4 DE AGOSTO DE 2022. Altera o Decreto nº 7.508, de 28 de junho de 2011, e o Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011, para dispor sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo Sistema Único de Saúde. 2022.
115. DECRETO Nº 7.646, DE 21 DE DEZEMBRO DE 2011. Dispõe sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo Sistema Único de Saúde - SUS, e dá outras providências http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2011/Decreto/D7646.htm [Available from: http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2011/Decreto/D7646.htm].
116. Toscas FS, Oliveira VCdM, Silva AS. O papel da sociedade civil na inovação e incorporação de dispositivos médicos no Brasil. J bras econ saúde (Impr). 2022.
117. Silva AS, Facey K, Bryan S, Galato D. A framework for action to improve patient and public involvement in health technology assessment. International Journal of Technology Assessment in Health Care. 2022;38(1):e8.
118. Battista RN, Hodge MJ. The evolving paradigm of health technology assessment: reflections for the millennium. CMAJ. 1999;160(10):1464-7.
119. Abelson J, Giacomini M, Lehoux P, Gauvin F-P. Bringing 'the public' into health technology assessment and coverage policy decisions: from principles to practice. Health policy. 2007;82(1):37-50.
120. Facey K, Boivin A, Gracia J, Hansen HP, Scalzo AL, Mossman J, et al. Patients' perspectives in health technology assessment: a route to robust evidence and fair deliberation. International journal of technology assessment in health care. 2010;26(3):334-40.
121. Gagnon M-P, Desmartis M, Lepage-Savary D, Gagnon J, St-Pierre M, Rhoads M, et al. Introducing patients' and the public's perspectives to health technology assessment: A systematic review of international experiences. International journal of technology assessment in health care. 2011;27(1):31-42.
122. Boivin A, Lehoux P, Lacombe R, Burgers J, Grol R. Involving patients in setting priorities for healthcare improvement: a cluster randomized trial. Implementation Science. 2014;9:1-10.
123. Gauvin F-P, Abelson J, Lavis JN. Evidence brief: strengthening public and patient engagement in health technology assessment in Ontario. 2014.
124. van de Bovenkamp HM, Vollaard H. Representative claims in healthcare: identifying the variety in patient representation. Journal of Bioethical Inquiry. 2018;15:359-68.
125. Baggott R, Forster R. Health consumer and patients' organizations in Europe: towards a comparative analysis. Health expectations. 2008;11(1):85-94.

126. van de Bovenkamp HM, Zuiderent-Jerak T. An empirical study of patient participation in guideline development: exploring the potential for articulating patient knowledge in evidence-based epistemic settings. *Health Expectations*. 2015;18(5):942-55.
127. Nielsen KD, Langstrup H. Tactics of material participation: How patients shape their engagement through e-health. *Social Studies of Science*. 2018;48(2):259-82.
128. Rabeharisoa V. The struggle against neuromuscular diseases in France and the emergence of the “partnership model” of patient organisation. *Social science & medicine*. 2003;57(11):2127-36.
129. Wale JL, Chandler D, Collyar D, Hamerlijnck D, Saldana R, Pemberton-Whitely Z. Can We Afford to Exclude Patients Throughout Health Technology Assessment? *Front Med Technol*. 2021;3:796344.
130. Toledo-Chávarri A, Gagnon M-P, Álvarez-Pérez Y, Perestelo-Pérez L, Pego YT, Aguilar PS. Development of a decisional flowchart for meaningful patient involvement in Health Technology Assessment. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2021;37(1).
131. Berglas S, Vautour N, Bell D. Creating a patient and community advisory committee at the Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. *Int J Technol Assess Health Care*. 2021;37:e19.
132. EXCELLENCE NIFHAC. NICE health technology evaluations: the manual (PMG36). 2022.
133. Norburn L, Thomas L. Expertise, experience, and excellence. Twenty years of patient involvement in health technology assessment at NICE: an evolving story. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2021;37(1).
134. Facey KM. Developing the Mosaic of Patient Participation in HTA. In: Facey KM, Hansen HP, Single ANV, editors. *Patient Involvement in Health Technology Assessment*. Singapore: Springer Nature; 2017. p. 51-66.
135. HTAi. HTAi values and quality standards for patient involvement in HTA. 2014.
136. Staniszewska S, Werkö SS. Mind the evidence gap: the use of patient-based evidence to create “complete HTA” in the twenty-first century. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2021;37(1).
137. Staniszewska S, Crowe S, Badenoch D, Edwards C, Savage J, Norman W. The PRIME project: developing a patient evidence-base. *Health Expect*. 2010;13(3):312-22.
138. Staniszewska S, Werkö S. Patient-Based Evidence in HTA. 2017. In: *Patient involvement in health technology assessment [Internet]*. Springer; [43-50].
139. Kristensen FB, Sigmund H. *Health Technology Assessment Handbook*. Copenhagen
Danish Centre for Health Technology Assessment, National Board of Health
2007. Available from: <https://www.sst.dk/~media/ECAAC5AA1D6943BEAC96907E03023E22.ashx>.
140. Lehoux P, Jimenez-Pernett J. Discussion: Making Sense of Patients’ Perspectives, Experiences, and Preferences in HTA. In: Facey KM, Hansen HP, Single ANV, editors. *Patient Involvement in Health Technology Assessment*. Singapore: Springer Nature; 2017.
141. Weighing up the evidence: making evidence-informed guidance accurate, achievable, and acceptable. A summary of the workshop held on September 29, 2005
evidence_e.pdf(2006).
142. EUnetHTA Joint Action 2 WP. HTA Core Model[®] version 3.0 (Pdf). 2016.
143. Staley K, Doherty C. It’s not evidence, it’s insight: bringing patients’ perspectives into health technology appraisal at NICE. *Research Involvement and Engagement*. 2016;2(1):1-12.
144. Hahn DL, Hoffmann AE, Felzien M, LeMaster JW, Xu J, Fagnan LJ. Tokenism in patient engagement. *Family practice*. 2017;34(3):290-5.
145. Majid U. The dimensions of tokenism in patient and family engagement: a concept analysis of the literature. *Journal of Patient Experience*. 2020;7(6):1610-20.
146. Majid U, Gagliardi A. Clarifying the degrees, modes, and muddles of “meaningful” patient engagement in health services planning and designing. *Patient Education and Counseling*. 2019;102(9):1581-9.

147. Hamilton CB, Hoens AM, Backman CL, McKinnon AM, McQuitty S, English K, et al. An empirically based conceptual framework for fostering meaningful patient engagement in research. *Health Expectations*. 2018;21(1):396-406.
148. Wale J, Scott AM, Hofmann B, Garner S, Low E, Sansom L. Why patients should be involved in health technology assessment. *International journal of technology assessment in health care*. 2017;33(1):1-4.
149. Wale JL, Thomas S, Hamerlijnck D, Hollander R. Patients and public are important stakeholders in health technology assessment but the level of involvement is low—a call to action. *Research involvement and engagement*. 2021;7(1):1-11.
150. Albuquerque A, Barroso A. *Curso de Direitos Humanos*. Rio de Janeiro: Lumen Juris; 2018.
151. UNESCO. Declaração Universal de Direitos Humanos. Adotada e proclamada pela resolução 217 A (III) da Assembléia Geral das Nações Unidas em 10 de dezembro de 1948.
152. Brasil. Decreto nº 591 ddjdAIPisDE, Sociais e Culturais. Promulgação. Diário Oficial da União 7 de jul de 1992.
153. Brasil.
- DECRETO No 3.321, DE 30 DE DEZEMBRO DE 1999. Promulga o Protocolo Adicional à Convenção Americana sobre Direitos Humanos em Matéria de Direitos Econômicos, Sociais e Culturais "Protocolo de São Salvador", concluído em 17 de novembro de 1988, em São Salvador, El Salvador. D.O.U. de 31.12.19991999.
154. Rights OfHCoH. CESCR general comment no. 14: the right to the highest attainable standard of health (Art 12). Adopted at the Twenty-second Session of the Committee on Economic, Social and Cultural Rights, on 11 August 2000 (Contained in Document E/C.12/2000/4). 2000.
155. Potter V. *A bridge to the future*. Nova York: Prentice-Hall; 1971.
156. Lopes JA. Bioética: uma breve história: de Nuremberg (1947) a Belmont (1979). *Revista Médica de Minas Gerais*. 2014;24(2):262-73.
157. Sass H-M. Fritz Jahr's 1927 concept of bioethics. *Kennedy Institute of Ethics Journal*. 2007;17(4):279-95.
158. Oliveira AASd. *Interface entre bioética e direitos humanos: perspectiva teórica, institucional e normativa*. 2011.
159. ten Have H, Jean M. *La déclaration universelle sur la bioéthique et les droits de l'homme: histoire, principes et application*. Paris: Editions UNESCO; 2009.
160. Garrafa V, da UnB CUdB. *Declaração Universal sobre Bioética e Direitos Humanos. Bases conceituais da bioética: enfoque latino-americano*: Gaia; Unesco São Paulo; 2006.
161. Beauchamp T, Childress J. *Principles of Biomedical Ethics*. Washington: Oxford University Press; 2012.
162. Garrafa V, Martorell LB, Nascimento WFd. Críticas ao principialismo em bioética: perspectivas desde o norte e desde o sul. *Saúde e Sociedade*. 2016;25:442-51.
163. Nation U. *International Covenant on Civil and Political Rights*. Adopted and opened for signature, ratification and accession by General Assembly resolution 2200A (XXI) of 16 December 1966, entry into force 23 March 1976, in accordance with Article 49 1976.
164. NATIONS U. OFFICE OF THE UNITED NATIONS HIGH COMMISSIONER FOR HUMAN RIGHTS. *International convention on the elimination of all forms of racial discrimination*. UN General Assembly (UNGA)2006.
165. Assembly UNG. *Convention on the elimination of all forms of discrimination against women (CEDAW)*. Retrieved April1979. p. 2006.
166. Silva AS, de Agostino Biella C, Petramale CA. *Envolvimento do público na avaliação de tecnologias em saúde:: experiências mundiais e do Brasil*. *Revista Gestão & Saúde*. 2015;ág. 3313-37.
167. Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção à Saúde. Departamento de Atenção Especializada e Temática. *Coordenação Geral de Média e Alta Complexidade. Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no Sistema Único de Saúde – SUS / Ministério da Saúde*.

Secretaria de Atenção à Saúde. Departamento de Atenção Especializada e Temática. Coordenação Geral de Média e Alta Complexidade.

. Brasília: Ministério da Saúde; 2014. p. 41.

168. Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção Especializada à Saúde/Departamento de Atenção Especializada e Temática/Coordenação Geral da Atenção Especializada. Linha de Cuidado Pessoas com Condições Raras na Rede de Atenção à Saúde (RAS) Brasília: Ministério da Saúde; 2022. p. 15.

169. Santos M. Diretrizes oncológicas 2 / Marcos Santos ... [et al.]. . São Paulo Doctor Press Ed. Científica; 2019.

170. Meregaglia M, Nicod E, Drummond M. The estimation of health state utility values in rare diseases: overview of existing techniques. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2020;36(5):469-73.

171. Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência T, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde. O uso de limiares de custo-efetividade nas decisões em saúde : recomendações da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Brasília: Ministério da Saúde; 2022. p. 108.

172. da Fonseca JJS. Apostila de metodologia da pesquisa científica: João José Saraiva da Fonseca; 2002.

173. Guizardi FL, Pinheiro R. Dilemas culturais, sociais e políticos da participação dos movimentos sociais nos Conselhos de Saúde. *Ciência & Saúde Coletiva*. 2006;11:797-805.

174. Wale JL, Scott AM, Bertelsen N, Meade N, Patient H, org CliHIGHwh. Strengthening international patient advocacy perspectives on patient involvement in HTA within the HTAi Patient and Citizen Involvement Interest Group—Commentary. *Research Involvement and Engagement*. 2017;3:1-10.

175. Organization WH. Shanghai declaration on promoting health in the 2030 Agenda for Sustainable Development. World Health Organization; 2017.

176. Lancet T. Why is health literacy failing so many? 2022. p. 1655.

177. Participação de pacientes na CONITEC: teoria, prática e estratégias. Organizadoras Helena Borges Martins da Silva Paro, Renata da Rocha, Aline Albuquerque. Ponta Grossa - PR: Atena; 2022.

APÊNDICE A - ANÁLISE DOCUMENTAL RELATÓRIOS

Data protocolo	Tema da Saúde	Nome da tecnologia	Indicação	Demandante	Relatório final
4 de ago. de 2022	Reumatologia	Bellimumabe	Lúpus Eritematoso Sistêmico	GlaxoSmithKline Brasil Ltda.	mar/23
21 de jul. de 2022	Reumatologia	Rituximabe	Recidiva de vasculites	Sociedade Brasileira de Reumatologia	jun/23
1 de jul. de 2022	Genética	Alfagalsidase	Doença de Fabry	Takeda Pharma Ltda.	mar/23
24 de mai. de 2022	Neurologia	Onasemnogeno abeparvovec	Atrofia Muscular Espinhal	Novartis Biociências S.A.	dez/22
16 de mai. de 2022	Genética	Betaina anidra	Homocistinúria	Recordati Rare Diseases Comércio de Me	nov/22
4 de mai. de 2022	Endocrinologia	Hemina	Porfíria aguda intermitente	SAES/MS	set/22
26 de abr. de 2022	Cardiovascular	Tafamidis meglumina	Cardiomiopatia amiloide	Wyeth Indústria Farmacêutica Ltda.	dez/22
5 de abr. de 2022	Infectologia	Isavuconazol	Mucormicose	SVS/MS	jun/22
22 de fev. de 2022	Neurologia	Inotersena	Polineuropatia amiloídica familiar	PTC Farmacêutica do Brasil Ltda.	mar/23
20 de jan. de 2022	Cardiovascular	Sildenafil e Ambrisentana	Hipertensão arterial pulmonar	SCTIEMS	mai/22
19 de jan. de 2022	Hematologia	Carfilzomibe	Mieloma múltiplo	Associação Brasileira de Hematologia Her	set/22
11 de jan. de 2022	Genética	Alfa-glicocidase	Doença de Pompe de início tardio	Sanofi Medley Farmaceutica Ltda.	fev/21
3 de dez. de 2021	Hematologia	Ruxolitnibe	Mielofibrose	Associação Brasileira de Hematologia, He	jun/22
26 de nov. de 2021	Hematologia	Lenalidomida	Mieloma múltiplo	SCTIEMS	fev/22
26 de nov. de 2021	Hematologia	Lenalidomida	Mieloma múltiplo	SCTIEMS	fev/22
26 de nov. de 2021	Hematologia	Daratumumabe	Mieloma múltiplo	SCTIEMS	fev/22
2 de nov. de 2021	Neurologia	Ofatumumabe	Esclerose múltipla recorrente	Novartis Biociências S.A.	jun/22
1 de set. de 2021	Neurologia	Cladribina oral	Esclerose múltipla remittente-recorrente	Merck S/A	jun/22
28 de jul. de 2021	Pneumologia	Tezacaftor-ivacaftor	Fibrose cística	Vertex Farmacêutica do Brasil LTDA.	mai/22
23 de jun. de 2021	Pneumologia	Riociguate	Hipertensão pulmonar tromboembólica	Febrararas	fev/22
8 de jun. de 2021	Neurologia	Risdiplam	Atrofia Muscular Espinhal tipo I	Produtos Roche Químicos e Farmacêutico	fev/22
7 de jun. de 2021	Neurologia	Risdiplam	Atrofia Muscular Espinhal tipo IIIa	Produtos Roche Químicos e Farmacêutico	fev/22
7 de jun. de 2021	Neurologia	Risdiplam	Atrofia Muscular Espinhal tipo II	Produtos Roche Químicos e Farmacêutico	fev/22
19 de mai. de 2021	Genética	Alfacerliponase	Lipofuscinose Ceróide Neuronal tipo 2	Biomarin Brasil Farmacêutica Ltda.	abr/22
29 de abr. de 2021	Oncologia	Larotrectinibe	Tumores sólidos	Bayer S.A.	nov/21
5 de abr. de 2021	Terapia	Voretigemo neparovoveque	Distrofia hereditária da retina	Novartis Biociências S.A.	set/21
24 de dez. de 2020	Hematologia	Alfarunococogue Pegol	Hemofilia A	Takeda Pharma Ltda	set/21
21 de dez. de 2020	Genética	Givosirana	Porfírias hepáticas agudas.	Specialty Pharma Goiás	jun/21
18 de dez. de 2020	Genética	Lanadelumabe	Angioedema hereditário	Takeda Pharma Ltda.	jun/21
9 de dez. de 2020	Genética	Migastatale	Doença de Fabry	Pint Pharma Ltda.	jun/21
1 de dez. de 2020	Cardiovascular	Selexpague	Hipertensão arterial pulmonar	Janssen-Cilag Farmacêutica	jul/21

Indicação preliminar	C N° inscrições	Forma escolha	Status Paciente	Vínculo Ass	Sexo	Idade	Recomendação pcte.	Experiência	Efeitos +
desfavorável	193	sorteio	paciente	não indústria	F	28	incorporação	sim	sim
desfavorável	2	sorteio	paciente	X	M	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	33	sorteio	paciente	organização	M	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	501	sorteio	cuidador familiar	indústria - ei	F	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	2	consenso	cuidador familiar	X	F	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	18	consenso	paciente	X	F	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	3	X	cuidador e pacien	indústria - pr	F	X	incorporação	sim	sim
favorável	13	consenso	paciente	X	M	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	2	consenso	paciente	indústria - ei	M	X	incorporação	sim	sim
favorável	87	sorteio	paciente	X	M	56	incorporação	sim	sim
desfavorável	3	sorteio	paciente	X	M	56	incorporação	sim	sim
desfavorável	2	consenso	paciente	sim, livres pá	M	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	3	consenso	paciente	indústria - ei	F	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	15	X	paciente	não indústria	M	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	15	X	paciente	não indústria	M	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	15	X	paciente	não indústria	M	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	39	sorteio	paciente	não indústria	M	43	incorporação	não	X
desfavorável	42	sorteio	paciente	não indústria	F	25	incorporação	sim	sim
desfavorável	4	consenso	paciente	não indústria	F	40	incorporação	sim	sim
desfavorável	12	consenso	paciente	X	F	X	incorporação	sim	sim
favorável	1	nem nem	cuidador familiar	X	F	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	8	consenso	paciente	X	F	17	incorporação	sim	sim
desfavorável	8	consenso	paciente	X	F	17	incorporação	sim	sim
desfavorável	5	consenso	cuidador familiar	não indústria	F	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	3	consenso	paciente	X	F	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	7	consenso	paciente	não indústria	F	26	incorporação	sim	sim
desfavorável	14	sorteio	paciente	não indústria	M	35	incorporação	não	sim
desfavorável	2	consenso	cuidador familiar	membro ass	F	X	incorporação	não	sim
desfavorável	179	sorteio	paciente	não indústria	F	X	incorporação	sim	sim
desfavorável	6	consenso	paciente	X	F	40	incorporação	não	X
desfavorável	9	centain	variante	Y	F	Y	incorporação	sim	sim

Tempo dividido suplente?	Pontos adicionados	Relatório para soc.	Perspectiva Pcte. na Integr.	Decisão final Conitec
não: relatou caso da suplente	limitações e as incertezas das evidências, proposição	sim	sim	não incorporar
sim; sexo F	Encaminharam para consulta pública com parecer de	sim	sim	incorporar
X	aprimorar análises de evidências clínicas, efetividade	sim	sim	incorporar
suplente apresentou	incerteza na eficácia comparativa ptes maiores de	sim	sim	incorporar
X	Certeza da evidência classificada como baixa demor	sim	sim	não incorporar
X	Conitec considerou que as evidências acerca da efica	sim	sim	não incorporar
X	Embora tratamento para condição clínica rara, com h	sim	sim	não incorporar
X	Menor custo e a eficácia semelhante, permite a desc	sim	sim	incorporar
X	Embora a demanda envolva proposta de tratamento	sim	sim	não incorporar
X	A recomendação justifica-se pela maior custo-efetiv	sim	sim	incorporar
X	Os membros consideraram a evidência científica mu	sim	sim	não incorporar
X	Os membros da Conitec entenderam que apesar dos	sim	sim	não incorporar
X	Os membros consideraram que o tratamento está as	não	não	não incorporar
X	Considerou-se o elevado impacto orçamentário Incte	sim	sim	não incorporar
X	Considerou-se o elevado impacto orçamentário Incte	sim	sim	não incorporar
X	considerou os indicadores de eficiência apresentado	sim	sim	não incorporar
X	Os membros da Conitec consideraram dois aspectos	sim	sim	não incorporar
X	Os membros da Conitec consideraram que a evidên	sim	sim	não incorporar
não: relatou caso da suplente	Considerou-se a fragilidade na evidência científica ar	sim	sim	não incorporar
X	Considerou-se a ausência de evidências quanto ao u	sim	sim	não incorporar
X	O Plenário pontuou o fato da evidência de baixa qual	sim	sim	incorporar
X	O Plenário considerou que apesar das evidências de	sim	sim	não incorporar
X	O Plenário considerou que apesar das evidências de	sim	sim	incorporar
X	Considerou-se após apreciação inicial que há incerte	sim	sim	incorporar depois da audiência
sim; cuidador familiar	Plenário considerou que os estudos sobre benefícios	sim	sim	não incorporar
X	Incorporação da tecnologia com os indicadores de ef	sim	não	não incorporar
X	Plenário considerou que a evidência apresentou ince	sim	sim	incorporar depois consulta, ma
X	Devido ao elevado valor da razão de custo-efetivida	sim	sim	não incorporar
X	Apesar da magnitude da eficácia apresentada por ur	sim	sim	não incorporar
X	Considerou-se que a evidência clínica sobre o miga	sim	sim	não incorporar
X	Os membros da Conitec consideraram que apesar d	sim	sim	incorporar

APENDICE B - ANÁLISE DOCUMENTAL GRAVAÇÕES

Data protocolo	Tema da Saúde	Nome da tecnologia	Indicação
4 de ago. de 2022	Reumatologia	Belimumabe	Lúpus Eritematoso Sistêmico
21 de jul. de 2022	Reumatologia	Rituximabe	Recidiva de vasculites
1 de jul. de 2022	Genética	Alfagalsidase	Doença de Fabry
24 de mai. de 2022	Neurologia	Onasemogeno a be parvoveque	Atrofia Muscular Espinhal
16 de mai. de 2022	Genética	Betaina anidra	Homocistinúria
4 de mai. de 2022	Endocrinologia	Hemina	Porfíria aguda intermitente
26 de abr. de 2022	Cardiovascular	Tafamidis meglumina	Cardiomiopatia amiloide
5 de abr. de 2022	Infectologia	Isavuconazol	Mucormicose
22 de fev. de 2022	Neurologia	Inotersena	Polineuropatia amiloídica familiar
20 de jan. de 2022	Cardiovascular	Sildenafil e Ambrisentana	Hipertensão arterial pulmonar
19 de jan. de 2022	Hematologia	Carfilzomibe	Mieloma múltiplo
11 de jan. de 2022	Genética	Alfa-glicosidase	Doença de Pompe de início tardio
3 de dez. de 2021	Hematologia	Ruxolitribe	Mielofibrose
26 de nov. de 2021	Hematologia	Lenalidomida	Mieloma múltiplo
26 de nov. de 2021	Hematologia	Lenalidomida	Mieloma múltiplo
26 de nov. de 2021	Hematologia	Daratumumabe	Mieloma múltiplo
2 de nov. de 2021	Neurologia	Ofatumumabe	Esclerose múltipla recorrente
1 de set. de 2021	Neurologia	Qadnibina oral	Esclerose múltipla remitante-recorrente
28 de jul. de 2021	Pneumologia	Tezacaftor-ivacaftor	Fibrose cística
23 de jun. de 2021	Pneumologia	Riociguate	Hipertensão pulmonar tromboembólica
8 de jun. de 2021	Neurologia	Risdiplam	Atrofia Muscular Espinhal tipo I
7 de jun. de 2021	Neurologia	Risdiplam	Atrofia Muscular Espinhal tipo IIIa
7 de jun. de 2021	Neurologia	Risdiplam	Atrofia Muscular Espinhal tipo II
19 de mai. de 2021	Genética	Alfacetilponase	Upofuscinose Ceróide Neuronal tipo 2
29 de abr. de 2021	Oncologia	Larotrectinibe	Tumores sólidos
5 de abr. de 2021	Terapia	Voretigemo neparvoveque	Distrofia hereditária da retina
24 de dez. de 2020	Hematologia	Alfarunotocogue Pegol	Hemofilia A
21 de dez. de 2020	Genética	Givosirana	Porfírias hepáticas agudas.
18 de dez. de 2020	Genética	Lanadelumabe	Angioedema hereditário
9 de dez. de 2020	Genética	Milgastate	Doença de Fabry
1 de dez. de 2020	Cardiovascular	Selexipague	Hipertensão arterial pulmonar

Demandante	Status	Reunião	Data e Hora
GlaxoSmithKline Brasil Ltda.	não incorporação	11ª Extraordinária	11/11/2022 tarde
Sociedade Brasileira de Reumatologia	incorporação	116ª	14/03/2023 tarde
Takeda Pharma Ltda.	incorporação	11ª	09/11/2022 tarde
Novartis Biodefências S.A.	incorporação	10ª	17/08/2022 manhã
Recordati Rare Diseases Comércio de Medicam	não incorporação	113ª	05/10/2022 tarde
SAES/MS	não incorporação	110ª	06/07/2022 manhã
Wyeth Indústria Farmacêutica Ltda.	não incorporação	113ª	06/10/2022 tarde
SVS/MS	incorporação	107ª	06/04/2022 tarde
PTC Farmacêutica do Brasil Ltda.	não incorporação	110ª	07/07/2022 manhã
SCTIE/MS	incorporação	105ª	10/02/2022 tarde
Associação Brasileira de Hematologia Hemoter	não incorporação	109ª	08/06/2022 tarde
Sanoft Medley Farmaceutica Ltda.	não incorporação	94ª	03/02/2021 tarde
Associação Brasileira de Hematologia, Hemoter	não incorporação	106ª	09/03/2022 tarde
SCTIE/MS	não incorporação	104ª	08/12/2021 manhã
SCTIE/MS	não incorporação	104ª	08/12/2021 manhã
SCTIE/MS	não incorporação	104ª	08/12/2021 manhã
Novartis Biodefências S.A.	não incorporação	106ª	09/03/2022 manhã
Merck S/A	não incorporação	106ª	09/03/2022 manhã
Vertex Farmacêutica do Brasil LTDA.	não incorporação	105ª	09/02/2022 tarde
Felbrararas	não incorporação	102ª	07/10/2021 tarde
Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A.	incorporação	102ª	06/10/2021 tarde
Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A.	não incorporação	102ª	06/10/2021 tarde
Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A.	incorporação	102ª	06/10/2021 tarde
Biomarin Brasil Farmacêutica Ltda.	incorporação	102ª	06/10/2021 tarde
Bayer S.A.	não incorporação	100ª	04/08/2021 manhã
Novartis Biodefências S.A.	não incorporação	99ª	30/06/2021 tarde
Takeda Pharma Ltda	incorporação	5ª Extraordinária	12/05/2021 tarde
Specialty Pharma Goiás	não incorporação	96ª	08/04/2021 tarde
Takeda Pharma Ltda.	não incorporação	96ª	08/04/2021 tarde
Pint Pharma Ltda.	não incorporação	96ª	08/04/2021 tarde
Janssen-Cilag Farmacêutica	incorporação	97ª	06/05/2021 manhã

Datas chamada pública	N° inscrições	Nome	Vínculo indústria	Local
09/08/2022 a 19/08/2022	174	Tais Paetzold Palma	não	PR
13/09/2022 a 26/09/2022	30	Renato Padilha Sewaybricker	não	SP
13/07/2022 a 24/07/2022	38	Bruno Mathews Sabino	não	MG
22/06/2022 a 03/07/2022	501	X	X	X
22/06/2022 a 03/07/2022	2	Simone Arede	associação de paci	X
16/02/2022 a 21/02/2022	18	Bárbara Costa Albuquerque	associação de paci	CE
12/05/2022 a 22/05/2022	3	Ilana Cláudia Uriarte Ferronato	de paciente relação	MT
13/03/2022 a 28/03/2022	13	Juliano Vieira	X	SC
15/03/2022 a 28/03/2022	2	Fabio Figueiredo de Almeida	ente em estudo pa	SP
23/06/2021 a 07/07/2021	87	Ronaldo Soares Couto	não	X
15/03/2022 a 28/03/2022	3	Imbert Krahl	não	GO
17/12/2020 a 07/01/2021	2	Welton Correia Alves	ves patrocinadas in	RJ
16/02/2022 a 02/03/2022	3	Fernanda Pereira	ente em estudo pa	X
18/10/2021 a 24/10/2021	15	Francisco Rodrigues de Sousa	não	MG
18/10/2021 a 24/10/2021	15	Francisco Rodrigues de Sousa	não	MG
18/10/2021 a 24/10/2021	15	Francisco Rodrigues de Sousa	não	MG
16/12/2021 a 02/01/2022	39	José Felipe da Cunha	não	SP
13/09/2021 a 27/09/2021	42	ra Abrantes Lages Marinha Sil	não	MG
13/08/2021 a 27/08/2021	9	diana Karla Laranjeira B. Camp	não	PE
16/07/2021 a 30/07/2021	12	Mércia Salzman	não	MG
23/06/2021 a 07/07/2021	1	Fátima Braga	associação de paci	X
23/06/2021 a 07/07/2021	8	Ins Giuliani Oliveira Assis	não	X
23/06/2021 a 07/07/2021	8	Ins Giuliani Oliveira Assis	não	X
23/06/2021 a 07/07/2021	5	Mayara Ferraz Pierote	não	BA
17/05/2021 a 31/05/2021	3	Iraci Maria Silva Fraga	ente em estudo pa	X
17/05/2021 a 31/05/2021	7	Ana Beatriz Vaz de Azevedo	não	X
19/01/2021 a 02/02/2021	14	Wdenilson Rocha Jesus	não	X
19/01/2021 a 02/02/2021	2	Ja Maria Scandelari Bussmann	o de paciente e em	X
19/01/2021 a 02/02/2021	179	lrbara Salatiel Matos de Alenc	não	X
19/01/2021 a 02/02/2021	6	Lais Serão Domingues	X	SP
17/12/2020 a 07/01/2021	2	Thais Senna de Faria	não	X

Duração	Recomendação p/cte	Sexo	Idade	Experiência tecnol.	Efeitos +	Efeitos -
03:20:16 - 03:35:33	favorável	F	28	sim	sim	sim
01:53:27 - 02:15:43	favorável	M	X	sim	sim	sim
19:18:00 - 32:28:00	favorável	M	X	sim	sim	sim
01:29:24 - 01:44:14	X	X	X	X	X	X
01:25:11 - 01:38:52	favorável	F	X	sim	sim	sim
02:55:52 - 03:11:53	favorável	F	X	sim	sim	sim
02:39:36 - 02:49:21	favorável	F	X	sim	sim	sim
01:31:18 - 01:35:12	favorável	M	X	sim	sim	sim
02:00:38 - 02:16:00	favorável	M	46	sim	sim	sim
02:10:50 - 02:18:40	favorável	M	56	sim	sim	sim
00:32:51 - 00:38:17	favorável	M	57	sim	sim	sim
02:24:00 - 02:54:30	favorável	M	X	sim	sim	sim
03:31:12 - 03:41:36	favorável	F	X	sim	sim	sim
01:31:00 a 01:50:54	favorável	M	53	sim	sim	sim
01:31:00 a 01:50:54	favorável	M	53	sim	sim	sim
01:31:00 a 01:50:54	favorável	M	53	sim	sim	sim
03:11:44 a 03:21:20	X	M	43	não	X	X
02:18:03 a 02:30:10	favorável	F	25	sim	sim	sim
01:30:40 a 01:49:20	favorável	F	40	sim	sim	sim
01:20:45 a 01:39:00	favorável	F	63	sim	sim	sim
01:07:17 a 01:28:10	favorável	F	X	sim	sim	sim
3:04:37 AM	favorável	F	17	sim	sim	sim
	favorável	F	17	sim	sim	sim
03:46:43 a 03:59:35	favorável	F	X	sim	sim	sim
02:15:30 a 02:44:00	favorável	F	X	sim	sim	sim
00:32:08 a 00:46:49	favorável	F	26	sim	sim	sim
03:53:53 a 03:57:11	favorável	M	35	não	X	X
01:50:13 a 02:01:50	favorável	F	X	não	sim	sim
00:35:48 a 00:55:30	favorável	F	X	sim	sim	sim
02:31:30 a 02:41:50	favorável	F	40	não	sim	sim
01:19:39 a 01:35:43	favorável	F	25	sim	sim	sim

Experiência outras tecnol.	Efeitos + outras	Efeitos - outras	Questionado Contec?	Quais aspectos?
sim	sim	sim	sim	; melhoria da qualidade de vida
sim	sim	sim	sim	; outras infusões? Qualidade de
sim	sim	sim	sim	nava antes; Como as dores está
X	X	X	X	X
sim	sim	sim	sim	uso do medicamento; se a betaf
sim	sim	sim	sim	é percebe a relação do uso da g
sim	sim	sim	sim	eitos do remédio com dosagem
sim	sim	sim	sim	to após sair do hospital ou só q
não	não	não	sim	ar o medicamento? Se os benefi
sim	sim	sim	sim	fila com outro medicamento; Se
sim	sim	sim	não	X
sim	sm	sim	sim	o PIBAP e evolução da função f
sim	sim	sim	não	X
sim	sim	sim	sim	tratado; Se ele sentiu diferença
sim	sim	sim	sim	tratado; Se ele sentiu diferença
sim	sim	sim	sim	tratado; Se ele sentiu diferença
sim	sim	sim	sim	está tomando essa medicação
sim	sim	sim	sim	po em que usa a cladrilina, a quant
sim	sim	sim	sim	; se essas pessoas percebem resulta
sim	sim	sim	sim	ém do medicamento continua com
sim	sim	sim	sim	is complexa para ser administrado.
sim	sim	sim	sim	tratamento por via oral com o nsdi
sim	sim	sim	sim	tratamento por via oral com o nsdi
não	X	X	sim	percebida alguma melhoria, sobre o
sim	sim	sim	sim	u outra; quanto tempo deixou de t
não	X	X	Sim	elhora da visão, estabilização e não
sim	sim	sim	não	X
sim	sim	sim	não	X
sim	sim	sim	sim	se teve alguma crise antes desses r
sim	sim	sim	sim	re o manejo da dor; de sintomas g
sim	sim	sim	sim	medicamento avaliado associado co

ANEXO - FORMULÁRIO EXPERIÊNCIA OU OPINIÃO

ANEXOS

ANEXO A

FORMULÁRIO

EXPERIÊNCIA OU OPINIÃO

Contribuição

1) A recomendação preliminar da CONITEC foi FAVORÁVEL/NÃO FAVORÁVEL à incorporação da tecnologia X para o tratamento Y. Você concorda?

- Concordo totalmente com a recomendação preliminar
- Concordo parcialmente da recomendação preliminar
- Discordo parcialmente da recomendação preliminar
- Discordo totalmente da recomendação preliminar

2) Comente:

3) Você já teve alguma experiência com o(s) medicamento(s), produto(s) ou procedimento(s) em avaliação?

- Sim, como paciente
- Sim, como cuidador ou responsável
- Sim, como profissional de saúde
- Não

MINISTÉRIO DA SAÚDE

3.1) Com qual(is) medicamento(s), produto(s) ou procedimento(s) em avaliação você já teve experiência?

3.2) Descreva os efeitos positivos:
Especifique os efeitos positivos de cada medicamento, produto ou procedimento que você utilizou.

3.3) Descreva os efeitos negativos:
Especifique os efeitos negativos de cada medicamento, produto ou procedimento que você utilizou.

4) Você já teve alguma experiência com outro(s) medicamento(s), produto(s) ou procedimento(s) para esta doença?

- Neste campo considerar medicamento, produto ou procedimento para esta doença.
- Sim, como paciente
- Sim, como cuidador ou responsável
- Sim, como profissional de saúde
- Não

ENTENDENDO A INCORPORAÇÃO DE **TECNOLOGIAS EM SAÚDE NO SUS**

4.1) Com qual(is) medicamento(s), produto(s) ou procedimento(s) você já teve alguma experiência?

Especifique mais de um medicamento, produto ou procedimento.

4.2) Descreva os efeitos positivos:

Especifique os efeitos positivos de cada medicamento, produto ou procedimento que você utilizou.

4.3) Descreva os efeitos negativos:

Especifique os efeitos negativos de cada medicamento, produto ou procedimento que você utilizou.
