

## Implementação de acordos de compartilhamento de risco no SUS para o tratamento de atrofia muscular espinhal: uma análise de viabilidade e impacto

### **Anderson Ricardo Fogaça**

Doutorando em Direito pela Universidade Federal do Paraná (UFPR).  
Mestre em Direito pelo Centro Universitário Internacional.  
Professor da Escola da Magistratura do Paraná (EMAP) e da Escola Judicial do Paraná (EJUD-PR).  
Juiz de Direito em 2º Grau no Tribunal de Justiça do Estado do Paraná (TJPR).  
Desembargador Eleitoral do Tribunal Regional Eleitoral do Paraná (TRE-PR).  
Diretor Executivo da Escola Judiciária Eleitoral do Paraná (EJE-PR).

### **Miguel Kfoury Neto**

Pós-Doutor em Ciências Jurídico-Civis junto à Faculdade de Direito da Universidade de Lisboa.  
Doutor em Direito das Relações Sociais pela Pontifícia Universidade Católica de São Paulo.  
Mestre em Direito das Relações Sociais pela Universidade Estadual de Londrina.  
Bacharel em Direito pela Universidade Estadual de Maringá.  
Coordenador da pós-graduação em Direito Médico e Bioética da EBRADI.  
Coordenador do grupo de pesquisas "Direito da Saúde e Empresas Médicas".  
Desembargador do Tribunal de Justiça do Estado do Paraná.

### **Rodrigo Luís Kanayama**

Doutor e Mestre em Direito pela UFPR.  
Professor Associado do Departamento de Direito Público da Faculdade de Direito da Universidade Federal do Paraná (UFPR), da Graduação e Pós-Graduação (Mestrado e Doutorado).  
Advogado.

### **Resumo**

A Atrofia Muscular Espinhal (AME) é uma condição genética debilitante que requer tratamentos de alto custo. Este estudo visa explorar a eficácia dos Acordos de Compartilhamento de Risco (ACR) entre o governo e as empresas farmacêuticas como uma estratégia para reduzir os custos e aumentar o acesso aos tratamentos para AME no Sistema Único de Saúde (SUS). No Brasil, apesar do altíssimo custo dos medicamentos evrysdi (Risdiplam), nusinersena (Spiranza) e onasemnogene abeparvovec (Zolgensma), é possível acessá-los através do Sistema Único de Saúde, garantindo assim uma expectativa de vida mais prolongada para os pacientes com essa doença, com maior qualidade de vida. Foi utilizada uma abordagem qualitativa e quantitativa, coletando dados do Relatório de Recomendação nº 793, da CONITEC, de dezembro de 2022, que concluiu pela decisão de incorporar

o medicamento onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma) para o tratamento de pacientes pediátricos até 6 meses, com Atrofia Muscular Espinhal do tipo 1, que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia, conforme protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde e Acordo de Compartilhamento de Risco (ACR). Os resultados preliminares indicam uma redução relevante nos custos totais para o SUS, com um aumento na proporção de pacientes recebendo tratamento precoce e de forma eficaz. Além disso, observou-se uma melhoria na negociação dos preços dos medicamentos, o que contribuiu para uma maior sustentabilidade financeira do sistema de saúde. O Relatório de Recomendação nº 793/2022, da CONITEC, permite concluir que o Acordo de Compartilhamento de Risco se trata de uma ferramenta importante para o Poder Público, ao expandir o acesso a tratamentos inovadores para AME sem comprometer os recursos financeiros do sistema de saúde, além de demonstrar que o Zolgensma, apesar de ser considerado o medicamento mais caro do mundo, apresenta maior custo-efetividade que os demais medicamentos para o tratamento dessa doença rara.

**Palavras-chave:** Doenças raras; Atrofia muscular espinhal; Acesso a medicamentos; Sistema Único de Saúde; Tratamento de alto custo.

## Sumário

*1. Introdução. 2. Atrofia Muscular Espinhal (AME). 3. Opções de tratamento para a AME. 3.1 Terapia Gênica. 4. Custos dos tratamentos. 4.1 Incorporação de tecnologias da saúde e Acordos de Compartilhamento de Riscos (ACRs). 4.2 A necessidade de manter a racionalidade orçamentária no contexto do direito financeiro. 5. Considerações finais. Referências*

## 1 Introdução

A Atrofia Muscular Espinhal (AME) representa um grande desafio clínico e econômico, caracterizando-se por ser uma doença genética progressiva que compromete severamente a função motora dos pacientes afetados. No Brasil, a incorporação de tratamentos de alto custo, como o risdisplan, o nusinersena (Spiranza), o onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma) e outros medicamentos inovadores, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), requer estratégias eficazes que equilibrem a necessidade de acesso universal com a sustentabilidade financeira do sistema de saúde. Dentre essas estratégias, os Acordos de Compartilhamento de Risco (ACRs) emergem como uma solução com grande potencial de minimizar os custos e garantir a efetividade do tratamento, propondo um modelo no qual os riscos financeiros e os benefícios clínicos são compartilhados entre as entidades governamentais e as empresas farmacêuticas.

A incorporação do Zolgensma pelo SUS, conforme Relatório de Recomendação nº 793, da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), em dezembro de 2022, é um marco na adoção de ACRs em doenças raras e de tratamento dispendioso no Brasil. Este artigo propõe-se a analisar a eficácia desses acordos, investigando como eles podem redu-

zir custos e, ao mesmo tempo, expandir o acesso a tratamentos essenciais, garantindo não só a viabilidade econômica, mas também a melhoria da qualidade de vida dos pacientes.

Utilizando uma metodologia que combina abordagens qualitativas e quantitativas, este estudo tenta avaliar os resultados do ACR no que diz respeito ao tratamento da AME em termos de discussão de preços, efeito no orçamento global do SUS e eficácia do tratamento. O objetivo é participar da discussão das políticas públicas de saúde a partir dos dados coletados e das análises realizadas, destacando a importância do ACR como ferramenta prática na gestão de doenças raras e de elevado custo no sistema de saúde brasileiro.

Para garantir a robustez dos resultados apresentados neste estudo, utilizou-se uma metodologia que combina abordagens qualitativas e quantitativas.

A coleta de dados foi realizada a partir de fontes secundárias, incluindo o Relatório de Recomendação nº 793, da CONITEC, publicações científicas e bases de dados oficiais do SUS.

A análise qualitativa envolveu a revisão crítica dos documentos e a identificação de padrões e temas recorrentes relacionados à implementação dos Acordos de Compartilhamento de Risco (ACR) no tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME).

A análise quantitativa incluiu a aplicação de modelos econômicos como o Diagrama de Tornado e os modelos de Markov para avaliar a relação custo-efetividade dos medicamentos incorporados ao SUS, como o Zolgensma, Spinraza e Risdiplam, extraídos do Relatório de Recomendação nº 793, da CONITEC.

Os dados foram tratados utilizando software estatístico adequado, garantindo a precisão e a confiabilidade das análises.

A combinação dessas abordagens permitiu uma compreensão abrangente dos impactos econômicos e clínicos dos ACRs no sistema de saúde brasileiro.

## 2 Atrofia Muscular Espinhal (AME)

Há cerca de 7 mil doenças raras descritas, sendo 80% de origem genética e 20% de causas infecciosas, virais ou degenerativas<sup>1</sup>. São consideradas doenças raras (DRs) aquelas que afetam 65 de cada 100 mil indivíduos<sup>2</sup>. Em 2014, o Ministério da Saúde (MS) estabeleceu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (PNAIPDR) no âmbito do SUS. O objetivo é contribuir para a redução da mortalidade e a melhoria da qualidade de vida dos pacientes, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos.

A Atrofia Muscular Espinhal (AME) é uma doença genética rara e progressiva caracterizada pela degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e tronco encefálico, o

<sup>1</sup> FEDERHEN, A. *et al.* Pesquisa clínica e doenças raras: a situação no Brasil. *Jornal Brasileiro de Economia da Saúde, Edição Especial – Doenças Raras*, p. 18, 2014. Cf. Santo Agostinho. *A cidade de Deus. Parte II.* Petrópolis, Vozes, 2001.

<sup>2</sup> GUIMARÃES, R. Novos desafios na avaliação de tecnologias em saúde (ATS): o caso Zolgensma. *Ciência & Saúde Coletiva*, v. 28, n. 7, p. 1883, 2023. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/1413-81232023287.18122022>. Acesso em: 11 maio 2024

que resulta em fraqueza muscular progressiva e atrofia dos músculos voluntários, levando à perda progressiva da força muscular. É uma condição debilitante que afeta principalmente bebês e crianças, limitando a expectativa de vida a apenas dois anos, comprometendo sua capacidade de movimento, respiração e sua qualidade de vida. O tratamento adequado para a AME é essencial para retardar a progressão da doença e aumentar a sobrevida dos pacientes.

A AME é diagnosticada por meio da observação dos sintomas característicos da doença, como fraqueza muscular, dificuldade para engolir, respiração comprometida e dificuldade para movimentar-se. Além disso, existem exames específicos que são utilizados para confirmar o diagnóstico, como o teste de DNA, que permite identificar alterações genéticas no gene SMN1, responsável pela doença. Um dos exames mais comuns é a eletromiografia, que avalia a atividade elétrica dos músculos e nervos. Além disso, a ressonância magnética pode ser utilizada para identificar alterações na medula espinhal e músculos afetados. Outro exame importante é a biópsia muscular, que consiste na análise de uma pequena amostra de tecido muscular para identificar possíveis anormalidades. Esses exames são essenciais para confirmar o diagnóstico da doença, avaliar seu estágio e orientar o tratamento mais adequado para cada caso.

Nos últimos anos surgiram diferentes opções terapêuticas inovadoras, mas todas de altíssimo custo e, portanto, de acesso muito limitado às pessoas com AME, sendo necessário o fornecimento pelo sistema público de saúde aos portadores dessa doença.

A classificação da AME é de vital importância para o diagnóstico preciso e para a compreensão do prognóstico da doença, permitindo um planejamento e acompanhamento mais eficazes do tratamento específico para cada paciente<sup>3</sup>.

O médico deve se basear em critérios clínicos e genéticos para classificar a doença, sendo dividida em quatro tipos principais, conforme a idade de início dos sintomas, nível de gravidade e habilidade de locomoção do paciente<sup>4</sup>. O tipo 1 é considerado o mais grave, com início dos sintomas ocorrendo antes dos 6 meses, com dificuldade significativa ou até mesmo incapacidade total de locomoção, muitas vezes necessitando de suporte ventilatório para auxiliar na respiração. O tipo 2 apresenta início dos sintomas entre 6 e 18 meses de vida, com uma habilidade de locomoção mais limitada.

Por sua vez, o tipo 3 apresenta início dos sintomas após os 18 meses, com a habilidade de locomoção preservada por um tempo considerável. Já o tipo 4 apresenta início dos sintomas na vida adulta, com locomoção preservada, sendo o tipo mais leve.

### **3 Opções de tratamento para a AME**

Segundo Mattos e Janz<sup>5</sup> durante o início da década de 1990, a expectativa de vida de pacientes com AME era de cerca de 8 meses de idade, e cerca de 70 a 90% dos sobreviventes

<sup>3</sup> DOMINGOS, E. M.; AGUIAR, A. M. O uso do nusinersena no tratamento da atrofia muscular espinhal: revisão de literatura. Revista Visão Acadêmica, v. 21, n. 1, p. 57, 2020.

<sup>4</sup> ALVES, J. S. O. P. et al. Uma análise da atrofia muscular espinhal. Revista Eletrônica Acervo Saúde, v. 24, n. 4, p. e15591, 18 abr. 2024

tes chegavam somente até o segundo ano de vida. A partir de 1995 as taxas de mortalidade começaram a decair com utilização de novas técnicas e medicamentos paliativos<sup>6</sup>.

A Atrofia Muscular Espinhal (AME) possui algumas opções de tratamento que visam minimizar os sintomas e melhorar a qualidade de vida dos pacientes. Atualmente, existem terapias específicas para o tratamento dessa doença, que podem ajudar a retardar a sua progressão e garantir uma qualidade de vida melhor ao paciente, especialmente se iniciada precocemente. É necessário um tratamento conjunto de diversos profissionais, como fisioterapeuta, terapeuta ocupacional, nutricionista e psicólogo.

Entre as opções de tratamento da doença está o nusinersena, comercializado com o nome Spiranza, tendo sido o primeiro das três opções atualmente existentes de tratamento. Antes disso, os portadores desta doença não possuíam alternativas de tratamentos<sup>7</sup>. Surgido em 2016, o Spiranza atua gerando o aumento da produção da proteína SMN (Survival Motor Neuron), mas exige doses periódicas ao longo da vida, por meio de injeções intratecais. Ele age corrigindo a produção defeituosa da proteína SMN causada por mutação genética. Por meio desse tratamento de última geração, os pacientes podem experimentar uma melhoria considerável na função muscular e no controle dos sintomas, o que impacta de maneira positiva sua qualidade de vida. Esse foi o primeiro medicamento aprovado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) para o tratamento da AME, em agosto de 2017, tendo sido disponibilizado pelo SUS a partir de 2019.

De forma semelhante é a ação do evrysdi (Risdiplam), que possui administração via oral, o que representa uma opção terapêutica mais conveniente e eficaz, proporcionando maior adesão ao tratamento pelos pacientes. Esse medicamento também tem eficácia comprovada em estudos clínicos, promovendo melhorias significativas na função motora dos indivíduos diagnosticados com AME, além de contribuir para um aumento da sobrevida, tendo sido incluído na lista de medicamentos disponibilizados pelo Sistema Único de Saúde (SUS) no ano de 2021.

### 3.1 Terapia gênica

A terapia gênica representa um grande avanço na busca por tratamentos cada vez mais eficazes e personalizados para doenças genéticas raras, como a Atrofia Muscular Espinhal (AME).

A terapia gênica visa corrigir a mutação genética responsável pela doença, consistente na inserção de um gene saudável e funcional no corpo do paciente, para compensar a ausência ou disfunção do gene defeituoso causador da atrofia. Essa terapia tem o objetivo de restaurar

<sup>5</sup> MATTOS, L. S.; JANZ, F. L. O processo de incorporação do nusinersena ao Sistema Único de Saúde para tratamento da Atrofia Muscular Espinhal. *Revista Ensaios e Ciência*, v. 25, n. 2, p. 261, 2021.

<sup>6</sup> FUJAK, A. et al. Natural course of scoliosis in proximal spinal muscular atrophy type II and IIIa: Descriptive clinical study with retrospective data collection of 126 patients. *BMC Musculoskeletal Dis.*, v. 14, p. 283, 2013 apud MATTOS, L. S.; JANZ, F. L. O processo de incorporação do nusinersena ao Sistema Único de Saúde para tratamento da Atrofia Muscular Espinhal. *Revista Ensaios e Ciência*, v. 25, n. 2, p. 261, 2021.

<sup>7</sup> VALADARES, L. D. N.; UHLMANN, L. A. C. Nusinersena (Spinraza): uma abordagem sobre a judicialização e o alto custo do medicamento. *Revista Artigos.Com*, v. 29, p. e7801, 2021.

a função muscular e tem como principal finalidade estimular a produção da proteína SMN, essencial para a sobrevivência e o funcionamento adequado dos neurônios motores.

A terapia gênica para o tratamento da AME é feita com o medicamento Zolgensma, que é considerado atualmente o medicamento mais caro do mundo. Ele se diferencia dos outros dois medicamentos disponíveis no mercado por ter como alvo direto o gene afetado pela mutação que causa a doença, exercendo sua influência diretamente no interior das células, com pacientes que têm apresentado grande melhora da função motora, além de uma extensão de sobrevida que antes não era considerada possível. Todavia, por se tratar de um medicamento relativamente novo no mercado, ainda são necessárias mais pesquisas e estudos científicos para determinar com precisão a eficácia e a segurança dessa terapia a longo prazo.

Dabbous e Vamshi<sup>8</sup> realizaram ensaios clínicos em pacientes com Atrofia Muscular Espinhal tipo 1 (AME 1), comparando a eficácia do nusinersena com o onasemnogene abeparvovec (Zolgensma). Ambos os estudos demonstraram melhorias significativas na sobrevida geral dos pacientes. O Zolgensma mostrou uma vantagem maior, com 100% dos pacientes vivos e sem necessidade de ventilação assistida, enquanto o nusinersena apresentou uma taxa de 61%. Em relação à função motora, ambas as terapias mostraram melhorias, porém, os autores concluíram que o Zolgensma pode estar associado a maiores benefícios clínicos comparados ao nusinersena.

No entanto, é fundamental que a distribuição e o acesso a esses medicamentos sejam acompanhados de perto, garantindo que todos os pacientes elegíveis possam se beneficiar desses tratamentos. Além disso, é imprescindível investir em programas de capacitação dos profissionais de saúde, a fim de que o diagnóstico da AME seja cada vez mais preciso e precoce, permitindo um cuidado adequado desde os estágios iniciais da doença.

Embora os dados de longo prazo ainda estejam sendo coletados, os tratamentos têm mostrado resultados muito promissores em estender a expectativa de vida e melhorar a função motora de bebês e crianças com a AME tipo 1, com o alcance de referenciais de desenvolvimento anteriormente não esperados.

#### 4 Custos dos tratamentos

Importante registrar que a Atrofia Muscular Espinhal (AME) não tem cura. O uso de qualquer dos medicamentos disponíveis, aliado à fisioterapia e reabilitação, visam promover a melhora da qualidade de vida dos pacientes e diminuir os sintomas e as complicações associadas à doença, além de aumentar a expectativa de vida. No entanto, esses tratamentos são associados a altos custos financeiros, o que pode representar, na grande maioria das vezes, um desafio intransponível para os pacientes e suas famílias.

O acesso aos tratamentos para a AME no sistema público de saúde pode variar confor-

---

<sup>8</sup> DABBOUS, O. et al. Survival, Motor Function, and Motor Milestones: comparison of a VXS-101 relative to Nusinersena for the treatment of infants with spinal muscular atrophy type 1. *R. AveXis*, v. 36, n. 5, p. 1164-1176, May 2019. apud DOMINGOS, E. M.; AGUIAR, A. M. O uso do nusinersena no tratamento da atrofia muscular espinhal: revisão de literatura. *Revista Visão Acadêmica*, v. 21, n. 1, p. 55, 2020.

me a disponibilidade e as políticas públicas adotadas em cada país.

No Brasil, os três medicamentos disponíveis no mercado para o tratamento da AME estão sendo disponibilizados pelo Sistema Único de Saúde, dependendo a indicação do preenchimento dos critérios técnicos elencados pelo Ministério da Saúde, entre eles o tipo da doença, a faixa etária, uso ou não de ventilação mecânica, entre outros.

Para Guimarães<sup>9</sup>, é preciso que o Ministério da Saúde indique com quais números de pessoas com AME no Brasil ele trabalha, diante da existência de diferentes números a depender da entidade divulgadora. Para o Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal, em outubro de 2022, havia no Brasil 1.509 pacientes com AME, sendo 511 do tipo 1. Mais de 900 pacientes estavam em tratamento com o nusinersena (Spiranza), 108 com o Risdiplam e 119 receberam o Zolgensma. Destes, 84 receberam a medicação do Poder Público, pela via judicial. Já para a Associação Brasileira de AME estima uma prevalência entre 5 mil e 10 mil pacientes dos quatro tipos. E o portal para as doenças raras e os medicamentos órfãos (ORPHANET) estima prevalência de 1 caso para cada 30 mil pessoas, o que fornece um número aproximado de 7 mil pacientes no país.

Em relação aos custos dos tratamentos, todos eles são considerados medicamentos de alto custo.

Em estudo sobre os custos associados ao tratamento da AME no Brasil com o nusinersena, Etges<sup>10</sup> et al. (2021) identificam uma variação muito grande dos custos baseada tanto na idade dos pacientes quanto nos tipos específicos da doença. Pacientes mais jovens e aqueles diagnosticados com tipos 1 e 2 da AME, que geralmente requerem cuidados mais intensivos, apresentaram custos anuais significativamente mais elevados. Esse padrão indica a necessidade de uma estrutura de suporte diferenciada para esses grupos, refletindo a gravidade e a progressão rápida da doença nessas faixas etárias e tipos clínicos. A análise detalha que os custos diretos e indiretos, incluindo hospitalizações frequentes e tratamentos intensivos, são fatores que contribuem para o aumento dos custos.

Devem ser adotadas estratégias de gestão a fim de equilibrar a implementação de políticas de saúde com a sustentabilidade financeira do sistema de saúde público, considerando principalmente avaliações de custo-efetividade e acessibilidade das terapias. O objetivo é assegurar que as inovações médicas sejam disponibilizadas de maneira justa e equitativa, sem comprometer a integridade financeira dos sistemas de saúde<sup>11</sup>.

Essas estratégias de gestão baseiam-se em uma análise detalhada dos custos envolvidos no tratamento de doenças como a AME, sendo o Relatório de Recomendação nº 793, da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), de dezembro de 2022, um relatório completo e detalhado que faz uso de diversos modelos estatísticos largamente utilizados por policymakers para se chegar a uma conclusão satisfatória sobre quais políticas de saúde devem ser adotadas pelo Poder Público.

<sup>9</sup> GUIMARÃES, R. Novos desafios na avaliação de tecnologias em saúde (ATS): o caso Zolgensma. *Ciência & Saúde Coletiva*, v. 28, n. 7, p. 1887, 2023.

<sup>10</sup> ETGES, A. P. B. et al. Custos com os cuidados da AME: uma avaliação econômica. *Revista Economia e Saúde*, v. 13, n. 2, p. 155. 2021.

<sup>11</sup> *Ibidem*

A CONITEC é um órgão que tem como principal função assessorar o Ministério da Saúde na tomada de decisões sobre a incorporação, exclusão ou alteração de tecnologias em saúde pelo SUS, incluindo medicamentos, produtos e procedimentos, além da constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas.

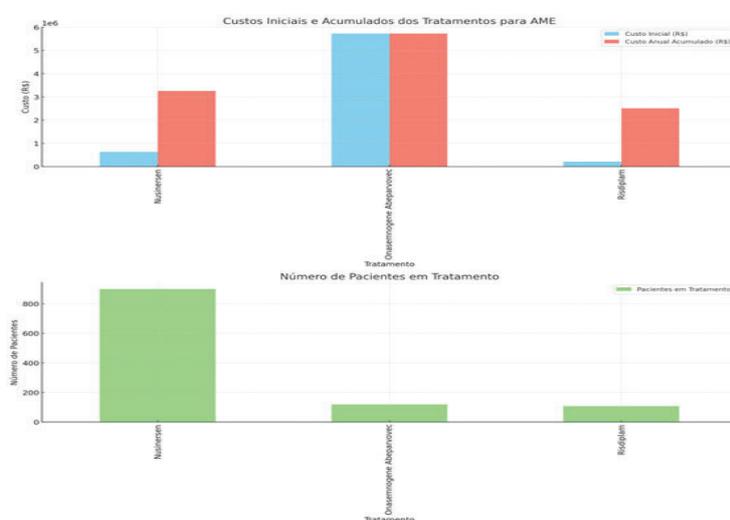
A CONITEC analisa as evidências sobre a eficácia, acurácia, efetividade e segurança das tecnologias, e também avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já existentes. A Comissão ainda promove a participação social no processo de decisão, tanto de pesquisadores quanto da sociedade em geral, garantindo que haja transparência e fundamentação nas decisões.

Em conformidade com as práticas de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) adotadas mundialmente, o Brasil, através da CONITEC, tem avançado na incorporação de medicamentos de alto custo para o tratamento de doenças raras como a Atrofia Muscular Espinhal (AME).

Entre as opções disponíveis para o tratamento da AME, o Zolgensma destaca-se por se tratar de uma terapia gênica de dose única, cujo preço, segundo a Recomendação nº 793/2022, é de R\$ 5.722.712,79 (CONITEC, 2022, p. 41). Comparativamente, o nusinersena, administrado por meio da aplicação de quatro doses no primeiro ano e três doses por ano pelo resto da vida do paciente, com punções intratecais, possui um custo aproximado de R\$ 160.000,00 por dose (p. 47), e o Risdiplam, que exige dosagens diárias, via oral, custa cerca de R\$ 21.370,00 por frasco, com a quantidade de frascos variando entre 10 e 30 por ano, dependendo do caso (p. 48).

O custo acumulado ao longo do tempo para o nusinersena foi aproximadamente R\$ 3.253.562, e para o Risdiplam, cerca de R\$ 2.510.135 (CONITEC, 2022, p. 41). Estes valores refletem a necessidade de administrações contínuas ao longo da vida do paciente, destacando a importância de uma análise que considere tanto os custos diretos quanto os benefícios a longo prazo dos tratamentos.

**Gráfico 1 - Dados do CONITEC.**



**Fonte:** Gráficos elaborados pelos autores a partir de dados do CONITEC.

A análise econômica descrita no Relatório de Recomendação nº 793/2022, utiliza uma série de métodos avançados para avaliar a custo-efetividade do Zolgensma, incluindo o Diagrama de Tornado, Razão de Custo-Efetividade Incremental (RCEI), análises de sensibilidade, a medida de utilidade em anos de vida ajustados pela qualidade (QALY) e modelos de Markov. Essas ferramentas auxiliaram o órgão técnico a determinar se a incorporação do Zolgensma ao Sistema Único de Saúde (SUS) é mais vantajosa ao paciente e ao próprio sistema público de saúde, considerando tanto o impacto financeiro quanto os benefícios clínicos.

O conceito de anos de vida ajustados pela qualidade (QALYs) é fundamental para avaliar a eficácia dos tratamentos em termos de qualidade de vida. No relatório da CONITEC, o Zolgensma demonstrou proporcionar um ganho maior de QALYs em comparação com nusinersena e Risdiplam, indicando uma melhoria significativa na qualidade de vida dos pacientes tratados.

O QALY é uma medida que combina a quantidade e a qualidade de vida ganha através de intervenções médicas. Um ano de vida perfeito de saúde é igual a 1 QALY. Isso ajuda a comparar a eficácia de diferentes tratamentos médicos.

A Recomendação nº 793/2022, da CONITEC, indica que o Zolgensma proporciona um ganho muito maior de QALYs quando comparado aos outros dois tratamentos disponíveis (nusinersena e Risdiplam), o que significa que o Zolgensma confere melhor qualidade de vida ao paciente. Em um cenário com o Risdiplam, o Zolgensma apresentou um ganho de 7 QALYs, enquanto o Risdiplam, mostrou um ganho de 2,68 QALYs. No cenário com o nusinersena, o Zolgensma apresentou um ganho de 5,94 QALIS, enquanto o nusinersena teve um ganho de 3,02 QALYs.

A RCEI – Razão de Custo-Efetividade Incremental compara o custo adicional de uma nova intervenção (neste caso, Zolgensma) em relação ao seu comparador (nusinersena e Risdiplam) em termos de custo por QALY ganho, auxiliando na compreensão se o custo adicional de um tratamento vale os benefícios que ele traz. Quanto menor o valor de RCEI, maior será a relação custo-efetividade.

A análise da CONITEC mostrou que a RCEI quando utilizado o Zolgensma, por QALY ganho, comparada ao nusinersena e ao Risdiplam, foi de R\$ 883.587 e R\$ 766.549, respectivamente (CONITEC, 2022, p. 50). A Recomendação nº 793/2022 reforça que esses valores estão dentro do que é frequentemente aceitável para terapias de doenças raras em diversos sistemas de saúde ao redor do mundo, embora o SUS não tenha um limiar de custo-efetividade estabelecido oficialmente.

Confira-se:

**Tabela 1 – análise da CONITEC**

Tecnologia	Custo do tratamento (R\$)	Utilidade (QALY)	Custo incremental	Efetividade incremental	RCEI (R\$/QALY)
Nusinersena	3.253.562	3,02	-		
Onasemnogeno abeparvoeque	5.833.342	5,94	2.579.780	2,92	883.587

Tabela 5. Resultado de custos e efetividades para a comparação com o risdiplam

Tecnologia	Custo do tratamento (R\$)	Utilidade (QALY)	Custo incremental	Efetividade incremental	RCEI (R\$/QALY)
Risdiplam	2.510.135	2,68	-	-	
Onasemnogeno abeparvoeque	5.826.707	7,00	3.316.571	4,33	766.549

**FONTE:** CONITEC (2022). Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207\\_relatorio\\_Zolgensma\\_ame\\_tipo\\_i\\_793\\_2022.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207_relatorio_Zolgensma_ame_tipo_i_793_2022.pdf). Acesso em: maio. 2024.

Apesar do alto custo inicial do Zolgensma, os benefícios a longo prazo em termos de QALYs ganhos justificam esse investimento inicial, especialmente considerando a melhoria na qualidade e expectativa de vida dos pacientes em relação às outras opções de tratamento.

Na avaliação econômica de tratamentos de saúde, deve-se compreender como variações nas premissas e parâmetros podem afetar os resultados, principalmente quando se trata de determinar o custo-efetividade de novas intervenções. A análise de sensibilidade determinística ajusta individualmente cada variável-chave do modelo, como os custos dos tratamentos e as taxas de eficácia, enquanto mantém as outras constantes, para observar o impacto dessas alterações na Razão de Custo-Efetividade Incremental (RCEI). Esse método permite identificar quais parâmetros são mais influentes nos resultados do modelo, ajudando a entender as incertezas e a robustez das conclusões.

Para visualizar os resultados desta análise, a Comissão utiliza o Diagrama de Tornado, uma ferramenta gráfica que ordena as variáveis de acordo com seu impacto na RCEI, do maior para o menor. Isso não apenas facilita a identificação das variáveis que mais influenciam os resultados, mas também ajuda a entender as incertezas associadas a cada um desses parâmetros. Ao fazer isso, os policymakers e stakeholders podem avaliar mais criticamente as áreas onde a incerteza ou a variabilidade dos dados podem levar a mudanças nas conclusões sobre o custo-efetividade de um tratamento.

Em cenários onde grandes investimentos e decisões políticas estão em jogo, como na incorporação de novos medicamentos pelo Sistema Único de Saúde (SUS), compreender a dinâmica entre as variáveis e seus impactos no valor final é fundamental.

As análises de sensibilidade testam a consistência dos resultados do modelo econômico sob diferentes premissas e incertezas dos dados de entrada. Essas análises ajudam a verificar se as conclusões do estudo se mantêm mesmo quando variáveis críticas são alteradas.

No caso do Zolgensma, o Diagrama de Tornado indicou que o preço do medicamento é a variável com maior impacto na RCEI, destacando a importância de negociar preços aces-

síveis para a sustentabilidade do SUS. Ao mesmo tempo, também indicou que os benefícios clínicos do tratamento mantêm sua custo-efetividade em uma ampla gama de cenários clínicos e econômicos, justificando a incorporação do Zolgensma ao SUS como política pública de saúde.

Na Recomendação nº 793/2022, da CONITEC, os modelos de Markov também foram empregados para realizar uma avaliação econômica comparativa do onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma). Este modelo foi utilizado para analisar a relação custo-efetividade do tratamento em comparação com as alternativas disponíveis no SUS, como o nusinersena e o Risdiplam.

Os modelos de Markov são usados para analisar a progressão de uma doença ao longo do tempo em estados discretos de saúde. A vida de um paciente é dividida em estados de saúde (por exemplo, saudável, doente, grave, morto). Em cada ciclo do modelo, há uma probabilidade definida de transição de um estado para outro. É utilizado para calcular a eficácia de uma intervenção médica em termos de custos, qualidade de vida ajustada por anos (QALYs) e outros resultados de saúde, permitindo aos tomadores de decisão (policymakers) avaliar a relação custo-benefício de diferentes tratamentos médicos.

Nos modelos aplicados, os estados de saúde representam diferentes graus de capacidade funcional e progressão da doença, permitindo simular a trajetória clínica dos pacientes ao longo do tempo, considerando transições entre esses estados com probabilidades específicas para cada transição.

Os resultados dos modelos de Markov indicam que o Zolgensma tem potencial para ser custo-efetivo em comparação com as opções de tratamento existentes, dependendo de certos parâmetros, como a idade de início do tratamento e a progressão da doença.

A análise demonstrou que o alto investimento inicial no tratamento pode ser compensado por benefícios substanciais em termos de redução da progressão da doença e melhoria da qualidade de vida, o que é uma consideração importante para políticas de saúde destinadas a doenças raras e severas como a AME.

O relatório da CONITEC apresenta análise do impacto orçamentário associado à incorporação do Zolgensma, considerando a carga financeira e o número de pacientes que potencialmente se beneficiariam deste tratamento. Conforme mencionado nas páginas 61 e 62 do relatório, estima-se que o número de pacientes elegíveis para o tratamento com Zolgensma seja de aproximadamente 45 novos pacientes por ano. Esta estimativa se baseia na incidência da AME Tipo 1, a forma mais grave da doença, e na faixa etária recomendada para a administração do tratamento.

A análise do impacto orçamentário detalhada no relatório indica que o custo total para o SUS, considerando o preço unitário do Zolgensma após negociações de preço, seria de aproximadamente R\$ 258.548.076 ao ano, sem esquecer dos demais pacientes elegíveis para os demais tratamentos. Este valor reflete o custo de fornecer o Zolgensma a todos os pacientes elegíveis, incorporando o custo unitário proposto de R\$ 5.742.712,79 por tratamento. É importante destacar que, apesar do alto custo unitário, a análise considera um cenário de pagamento baseado em resultados, onde pagamentos futuros estão condicionados à eficácia do tratamento, proporcionando uma camada de segurança financeira ao sistema de saúde.

O relatório sugere que, apesar do alto investimento inicial, o tratamento com Zol-

gensma pode resultar em economias futuras substanciais para o sistema de saúde, ao reduzir a necessidade de intervenções contínuas e o manejo de complicações severas associadas à progressão da AME. A melhoria na qualidade de vida dos pacientes e a redução da mortalidade infantil também são benefícios intangíveis que precisam ser considerados ao avaliar o impacto orçamentário total.

Esta conclusão apoia a decisão de incorporar esta terapia no SUS, destacando-a não apenas como um avanço terapêutico, mas também como uma escolha economicamente viável sob a perspectiva do sistema de saúde público.

A discussão inclui recomendações para a monitoração contínua dos resultados clínicos e econômicos do tratamento, sugerindo que ajustes podem ser necessários conforme mais dados se tornem disponíveis.

Combinando todos esses dados, o relatório da CONITEC conclui que a incorporação do Zolgensma ao SUS pode ser benéfica tanto para o sistema de saúde quanto para os pacientes, apesar de seu alto custo inicial. A análise de sensibilidade, que explora como as incertezas nos parâmetros afetam os resultados do modelo, mostrou que o tratamento mantém a relação custo-efetividade sob uma variedade de cenários clínicos e econômicos, condição importante para a tomada de decisão em saúde pública, onde os recursos são limitados e as necessidades são grandes.

Os benefícios em termos de melhoria na qualidade de vida e expectativa de vida dos pacientes, justificados pelos ganhos em QALYs, e suportados pelas análises de sensibilidade, destacam a superioridade da relação custo-efetividade do tratamento com Zolgensma em relação aos demais medicamentos.

Políticas de saúde que priorizam tratamentos com maior eficácia a longo prazo e benefícios significativos em qualidade de vida podem proporcionar um melhor retorno sobre o investimento em saúde pública. Portanto, o Zolgensma não apenas oferece um avanço terapêutico relevante para pacientes com AME, mas também apresenta uma opção custo-efetiva para o SUS, considerando seu impacto transformador na vida dos pacientes.

Este cenário reforça a urgência de desenvolver estratégias de gestão de saúde que possam prever e mitigar os altíssimos custos associados à doença, garantindo ao mesmo tempo que todos os pacientes recebam os cuidados necessários segundo a severidade de suas condições. Tais estratégias poderiam incluir o desenvolvimento de programas específicos de suporte e a alocação eficiente de recursos que atendam às demandas complexas dos pacientes com tipos mais severos de AME.

#### **4.1 Incorporação de tecnologias da saúde e Acordos de Compartilhamento de Riscos (ACRs)**

Em relação à incorporação de novas tecnologias no SUS, observa-se um padrão predominante de demandas internas, com as secretarias e órgãos vinculados ao Ministério da Saúde liderando as solicitações. Esta tendência é evidenciada pela análise de Rodrigues Filho<sup>12</sup>, que aponta que 380 tecnologias da saúde foram incorporadas entre 2012 e 2019, sendo 82,4% demandadas por órgãos internos do SUS, destacando a prevalência de medicamentos,

que corresponderam a 46,6% do total de incorporações. Esse perfil de demanda interna reflete uma priorização das necessidades identificadas pelos próprios gestores do sistema de saúde, buscando otimizar os recursos disponíveis e atender às principais demandas clínicas e epidemiológicas do país.

O compartilhamento de riscos é uma estratégia utilizada no setor de saúde para distribuir os riscos financeiros e clínicos entre diferentes entidades, como governos, instituições de saúde e empresas farmacêuticas. Essa forma de contratação é particularmente relevante no contexto de tratamentos de alto custo e incerteza quanto à eficácia<sup>13</sup>.

Os Acordos de Compartilhamento de Riscos começaram principalmente na Europa e nos Estados Unidos como uma resposta aos desafios impostos pelos altos custos dos medicamentos biológicos e das terapias inovadoras, especialmente no início dos anos 2000. Países como Itália, Reino Unido e Alemanha foram pioneiros nessas abordagens, desenvolvendo diferentes modelos para negociar com as companhias farmacêuticas. Esses modelos podem incluir pagamentos baseados em resultados, acordos de preço-volume, ou reembolsos condicionais.

O governo italiano e a Biogen, fabricante do Spiranza, firmaram acordo de compartilhamento, no ano de 2016, para o tratamento de pessoas com AME, pelo qual o pagamento está condicionado à eficácia do tratamento nos pacientes. Os resultados são medidos periodicamente e ajustes são feitos com base na eficácia demonstrada.

O NHS (National Health Service) do Reino Unido e a Novartis negociaram um acordo de compartilhamento de risco para Kymriah (tisagenlecleucel), uma terapia de células CAR-T para leucemia linfoblástica aguda. Este acordo condiciona os pagamentos a partir do sucesso clínico a longo prazo do tratamento em pacientes.

A França negociou um acordo com a Vertex Pharmaceuticals para o tratamento da fibrose cística, com o medicamento Orkambi (lumacaftor/ivacaftor). O acordo permite acesso precoce ao medicamento enquanto dados adicionais sobre sua eficácia e impacto no orçamento de saúde são coletados. Este tipo de acordo é frequentemente chamado de “acesso gerenciado” e inclui componentes de compartilhamento de risco.

Nos Estados Unidos se deu um dos primeiros casos em que o fabricante, Spark Therapeutics, ofereceu um reembolso se os pacientes não tivessem um resultado clínico significativo após um certo período de tempo para o tratamento de Luxturna (voretigene neparvovec), uma forma rara de cegueira.

Os Acordos de Compartilhamento de Risco (ACRs), também conhecidos como *Risk-Sharing Agreements (RSAs)*, são estratégias relativamente novas no sistema de saúde brasileiro, usadas principalmente para a incorporação de medicamentos de alto custo no Sistema Único de Saúde (SUS).

Até o momento, foram celebrados Acordos de Compartilhamento de Riscos no Brasil

<sup>12</sup> RODRIGUES FILHO, F. J.; PEREIRA, M. C. O perfil das tecnologias em saúde incorporadas no SUS de 2012 a 2019: quem são os principais demandantes? **Saúde em Debate**, v. 45, n. 130, p. 707, 2021.

<sup>13</sup> GUIMARÃES, R. Novos desafios na avaliação de tecnologias em saúde (ATS): o caso Zolgensma. **Ciência & Saúde Coletiva**, v. 28, n. 7, p. 1884, 2023.

envolvendo os medicamentos onasemnogeno abeparvovec (Zolgensma), nusinersena (spin-raza) e pembrolizumabe (keytruda), usado no tratamento de diversos tipos de câncer.

Esses acordos refletem uma tendência crescente em sistemas de saúde de todo o mundo de buscar formas de incorporar tecnologias inovadoras de maneira sustentável. Os ACRs ajudam a equilibrar o acesso a medicamentos essenciais e inovadores com a responsabilidade fiscal, garantindo que os investimentos em saúde pública gerem os resultados desejados. É uma estratégia relevante em um cenário de recursos limitados e necessidade de gerenciamento eficiente dos fundos públicos.

O Acordo de Compartilhamento de Riscos apresenta diversas vantagens: a) facilita o acesso dos pacientes a medicamentos e tratamentos novos e inovadores, que de outra forma seriam muito caros ou arriscados para serem adotados rapidamente pelo sistema de saúde; b) reduz o risco financeiro para os sistemas de saúde ao vincular o pagamento ao desempenho do tratamento, o que pode ajudar a controlar os custos; c) incentiva as empresas farmacêuticas a investir em pesquisa e desenvolvimento de tratamentos para condições raras ou complexas, sabendo que haverá um mecanismo para dividir o risco associado à introdução desses produtos no mercado.

De outro lado, também há desvantagens, visto que podem ser complexas para administrar e exigem acompanhamento e avaliação rigorosos para garantir a sua eficácia. Pode-se pensar também que esses acordos podem não oferecer incentivos adequados à inovação se os fabricantes se sentirem restritos pelos critérios de eficácia que limitam a compensação.

O principal desafio é a realização de medição do desempenho de um tratamento em termos de resultados de saúde, especialmente para doenças com variações individuais significativas nos resultados.

Essa é uma estratégia que reflete uma tentativa de equilibrar acesso, sustentabilidade financeira e incentivo à inovação no sistema de saúde brasileiro. Porém, como qualquer estratégia política, apresenta desafios que precisam ser gerenciados para maximizar os benefícios e minimizar os riscos.

Guimarães<sup>14</sup> afirma que o Acordo de Compartilhamento de Risco, exemplificado nas negociações entre o Ministério da Saúde do Brasil e a Novartis para a incorporação do Zolgensma, representa um grande avanço nas políticas públicas de saúde, ao permitir uma nova forma de avaliar a eficácia dos tratamentos em condições reais, com o financiamento condicionado à obtenção de resultados positivos.

Esse modelo alivia a sobrecarga sobre o sistema judiciário ao prevenir a judicialização por acesso a tratamentos, já que estabelece critérios claros e baseados em evidências para a disponibilização de medicamentos de alto custo no sistema de saúde pública.

---

<sup>14</sup> GUIMARÃES, R. Novos desafios na avaliação de tecnologias em saúde (ATS): o caso Zolgensma. **Ciência & Saúde Coletiva**, v. 28, n. 7, p. 1884, 2023.

## 4.2 A necessidade de manter a racionalidade orçamentária no contexto do direito financeiro

A gestão financeira pública é um desafio complexo que envolve a conciliação de múltiplos interesses e necessidades sociais. A racionalidade orçamentária é fundamental nesse contexto, especialmente quando consideramos a incorporação de tecnologias médicas de alto custo e que possam comprometer, por longo período, as finanças públicas. A manutenção da racionalidade do orçamento serve, em ultima ratio, para preservar o próprio sistema de saúde.

A incorporação de medicamentos caros, como o onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) e outros, no Sistema Único de Saúde (SUS), representa desafio significativo. Esses tratamentos, que são essenciais para a qualidade de vida dos pacientes com AME, exigem um planejamento financeiro rigoroso para garantir que o impacto orçamentário seja sustentável.

Segundo Guimarães<sup>15</sup>, originalmente, a empresa Novartis solicitou o preço de R\$ 12 milhões/tratamento no país, e a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamento (CMED) definiu preço máximo de venda no Brasil em R\$ 6,5 milhões. O remédio foi oferecido inicialmente ao SUS por R\$ 6,4 milhões/tratamento e, no entendimento com o Ministério da Saúde, chegou-se ao preço de R\$ 5,7 milhões.

O relatório da CONITEC estima um impacto orçamentário total de R\$ 2.851.704.927,00 ao longo de cinco anos para tratar uma média de 410 pacientes, com variações anuais crescentes de R\$347 milhões no primeiro ano para R\$493 milhões no quinto ano (p. 54). Este aumento reflete a crescente adoção do tratamento conforme a conscientização e diagnóstico precoce melhoram.

A implementação de terapias de alto custo como o Zolgensma no SUS é dificultada não apenas pelo aspecto financeiro, mas também logístico e de infraestrutura. Conforme discutido no Relatório da CONITEC, a terapia gênica requer uma logística de armazenamento e administração cuidadosa, além de um acompanhamento detalhado dos pacientes para monitorar efeitos e resultados a longo prazo (p. 18).

Após concluir que o Zolgensma é uma opção economicamente viável de ser incorporada pelo SUS, a Recomendação nº 793/2022, da CONITEC, indica que o Acordo de Compartilhamento de Risco é um caminho viável para mitigar os custos e garantir acesso equitativo aos tratamentos (p. 63).

Estes acordos permitem que o SUS gerencie melhor seus recursos, garantindo ao mesmo tempo que os pacientes recebam os tratamentos necessários sem atrasos ou restrições financeiras. Veja abaixo trecho do Relatório sobre a proposta de ACR:

---

<sup>15</sup> Idem, p. 1886.

**Figura 1 – condições de pagamento**

**Condições de pagamento e compartilhamento de risco**

O demandante apresenta uma proposta para viabilizar a incorporação de onasemnogeno abeparvoeque ofertando a possibilidade de parcelamento do pagamento do valor do tratamento por paciente da seguinte forma: 50% na infusão (1ª parcela), 30% após 12 meses da infusão (2ª parcela) e 20% após 24 meses da infusão (3ª parcela).

Como extensão do parcelamento, propõe-se um compartilhamento de risco com o seguinte desenho:

- parcelamento de pagamento (por paciente da seguinte forma: 50% na infusão (1ª parcela), 30% após 12 meses da infusão (2ª parcela) e 20% após 24 meses da infusão (3ª parcela));
- acompanhamento dos pacientes em instituição (ões) escolhida (s) pelo Ministério da Saúde e treinada(s) pela Novartis;
- após a infusão serão medidos os seguintes desfechos: morte ou necessidade de ventilação invasiva permanente em decorrência da evolução da doença;
- na ocorrência de qualquer um dos desfechos mencionados, as parcelas de pagamento faltantes serão canceladas.

O demandante salienta que essa proposta de compartilhamento de risco deve ser entendida como uma etapa inicial de implementação do primeiro real acordo de compartilhamento de riscos no SUS.

**Fonte:** CONITEC, (2022) [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207\\_relatorio\\_Zolgensma\\_ame\\_tipo\\_i\\_793\\_2022.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207_relatorio_Zolgensma_ame_tipo_i_793_2022.pdf). Acesso em: maio. 2024.

Esses acordos representam uma maneira de o SUS acessar tratamentos inovadores e caros sem comprometer a sustentabilidade financeira do sistema. Além disso, eles refletem uma tendência global em políticas de saúde de buscar soluções criativas e eficazes para a gestão de terapias de alto custo, alinhando interesses entre fabricantes, pacientes e sistemas de saúde.

Esses acordos são particularmente importantes quando envolvem doenças raras, onde os tratamentos disponíveis são poucos e frequentemente muito caros, visto que os incentivos para pesquisas de tratamentos envolvem um número potencial menor de pacientes. O sucesso dos ACRs depende de uma estrutura robusta de monitoramento e avaliação, garantindo que os recursos sejam utilizados de forma eficaz e que os resultados clínicos justifiquem os investimentos.

Manter a racionalidade orçamentária é crucial para assegurar que os recursos públicos sejam empregados de maneira responsável e estratégica. Isso envolve avaliação de custo-benefício, planejamento de longo prazo, transparência e definição de prioridades e metas.

## 5 Considerações finais

O Zolgensma, apesar do alto custo inicial, oferece uma melhoria significativa na qualidade e expectativa de vida dos pacientes com AME, o que pode justificar seu preço em comparação com tratamentos contínuos que são menos eficazes em termos de QALYs ganhos. Portanto, a longo prazo, pode ser uma opção mais econômica para o sistema de saúde.

A decisão do Relatório da Recomendação nº 793/2022, da CONITEC, de incorporar o Zolgensma no SUS baseia-se em uma ampla análise de custos e efetividades, realizada a partir dos modelos de Markov. A administração única do Zolgensma possui um custo elevado de

aproximadamente R\$ 5,7 milhões por tratamento, tornando-o um dos medicamentos mais caros do mundo. No entanto, essa análise não deve ser vista isoladamente.

Quando comparado aos tratamentos tradicionais para AME, como Spiranza e Risdiplam, que apresentam custos totais menores no curto prazo, mas requerem administração contínua ao longo da vida do paciente, o Zolgensma demonstra um benefício claro. Os ganhos em QALYs são superiores, totalizando 7, enquanto Spiranza e Risdiplam apresentam 3,02 e 2,68 QALYs, respectivamente. Isso demonstra que, ao fornecer uma dose única, o Zolgensma reduz de forma significativa a progressão da doença e, conseqüentemente, a carga de tratamento contínuo.

Outro ponto a ser observado é a importância das análises de sensibilidade, que mostram como as variações nos parâmetros afetam a RCEI. No caso do Zolgensma, o Diagrama de Tornado revelou que as taxas de eficácia e o custo do tratamento são os fatores mais influentes nos resultados. Apesar de o custo ser alto, os ganhos em qualidade de vida são substanciais, especialmente considerando que o tratamento pode prevenir complicações severas da AME.

Ao proporcionar um tratamento único, os custos do Zolgensma são equilibrados pelos ganhos a longo prazo em qualidade de vida e redução da progressão da doença. Esta decisão também demonstra como a incorporação de tecnologias de saúde inovadoras pode beneficiar o sistema de saúde como um todo, sendo fundamental que essas avaliações sejam conduzidas de maneira rigorosa para assegurar um acesso justo e custo-efetivo a tratamentos de ponta no contexto das doenças raras.

Com base na análise de custo-efetividade e impacto orçamentário, é necessário que políticas de saúde sejam adaptadas para melhor gerir os recursos e maximizar os benefícios dos tratamentos disponíveis para AME. O relatório da CONITEC indica que Acordos de Compartilhamento de Risco representam uma perspectiva viável para mitigar os custos e garantir acesso equitativo aos tratamentos disponíveis, sem prejudicar a sustentabilidade financeira do sistema.

Os Acordos de Compartilhamento de Risco representam uma tendência global em políticas de saúde, que busca soluções criativas e eficientes para gerenciar terapias dispendiosas, visando harmonizar os interesses de fabricantes, pacientes e sistemas de saúde.

Apesar dos resultados promissores apresentados neste estudo, é importante reconhecer algumas limitações que podem influenciar a interpretação dos dados. Primeiramente, a análise baseou-se em dados secundários obtidos de relatórios e estudos publicados, o que pode limitar a abrangência das informações. A disponibilidade e a qualidade dos dados variam, e algumas fontes podem não refletir completamente a realidade dos pacientes com AME no Brasil.

Além disso, a utilização de modelos econômicos, como o de Markov, embora robusta, depende de várias suposições e parâmetros que podem alterar os resultados finais. Variáveis como custos de tratamento, taxas de eficácia e progressão da doença foram estimadas com base em dados disponíveis, mas podem variar na prática clínica real. A análise de sensibilidade foi conduzida para mitigar essa incerteza, mas ainda assim, os resultados devem ser interpretados com cautela.

Outra limitação relevante é o foco exclusivo no contexto brasileiro. As políticas de

saúde, os custos e a infraestrutura variam significativamente entre países, o que pode limitar a generalização dos achados para outras regiões. Por fim, a implementação dos ACRs requer monitoramento contínuo e ajustes baseados em resultados clínicos e econômicos reais, algo que não foi possível avaliar neste estudo devido à limitação temporal dos dados disponíveis.

Reconhecer essas limitações serve para contextualizar os resultados e orientar futuras pesquisas que possam aprofundar a compreensão sobre a viabilidade e o impacto dos ACRs na gestão de doenças raras e de alto custo no SUS.

## Referências

SUALVES, J. S. O. P. *et al.* Uma análise da atrofia muscular espinhal. **Revista Eletrônica Acervo Saúde**, v. 24, n. 4, p. e15591, 18 abr. 2024.

BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. **Relatório nº 793**: onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME). Brasília: CONITEC, 2022. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207\\_relatorio\\_Zolgensma\\_ame\\_tipo\\_i\\_793\\_2022.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2022/20221207_relatorio_Zolgensma_ame_tipo_i_793_2022.pdf). Acesso em: maio. 2024.

DABBOUS, O.; *et al.* Survival, motor function, and motor milestones: comparison of AVXS-101 relative to nusinersena for the treatment of infants with spinal muscular atrophy type 1. *R. AveXis*, v. 36, n. 5, p. 1164-1176, May. 2019 *apud* DOMINGOS, E. M.; AGUIAR, A. M. O uso do nusinersena no tratamento da atrofia muscular espinhal: revisão de literatura. **Revista Visão Acadêmica**, v. 21, n. 1, p. 50-59, 2020.

DOMINGOS, E. M.; AGUIAR, A. M. O uso do nusinersena no tratamento da atrofia muscular espinhal: revisão de literatura. **Revista Visão Acadêmica**, v. 21, n. 1, p. 50-59, 2020.

ETGES, A. P. B. *et al.* Custos com os cuidados da AME: uma avaliação econômica. *Revista Economia e Saúde*, v. 13, n. 2, p. 145-159. 2021.

FEDERHEN, A. *et al.* Pesquisa clínica e doenças raras: a situação no Brasil. *Jornal Brasileiro de Economia da Saúde*, Edição Especial – Doenças Raras, p. 17-23, 2014.

FUJAK, A. *et al.* Natural course of scoliosis in proximal spinal muscular atrophy type II and IIIa: Descriptive clinical study with retrospective data collection of 126 patients. *BMC Musculoskeletal Dis.*, v.14, p. 283, 2013 *apud* MATTOS, L. S.; JANZ, F. L. O processo de incorporação do nusinersena ao Sistema Único de Saúde para tratamento da Atrofia Muscular Espinhal. **Revista Ensaios e Ciência**, v. 25, n. 2, p. 259-266, 2021.

GUIMARÃES, R. **Novos desafios na avaliação de tecnologias em saúde (ATS): o caso Zolgensma.** *Ciência & Saúde Coletiva*, v. 28, n. 7, p. 1881-1889, 2023.

MATTOS, L. S.; JANZ, F. L. O processo de incorporação do nusinersena ao Sistema Único de Saúde para tratamento da Atrofia Muscular Espinhal. **Revista Ensaios e Ciência**, v. 25, n. 2, p. 259-266, 2021.

RODRIGUES FILHO, F. J.; PEREIRA, M. C. O perfil das tecnologias em saúde incorporadas no SUS

de 2012 a 2019: quem são os principais demandantes? **Saúde em Debate**, v. 45, n. 130, p. 707-719, 2021. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/0103-1104202113011>. Acesso em: mar. 2024.

VALADARES, L. D. N.; UHLMANN, L. A. C. Nusinersena (Spinraza): uma abordagem sobre a judicialização e o alto custo do medicamento. **Revista Artigos.Com**, v. 29, p. e7801, 2021.