

ID 289

# O Brasil está Acompanhando as Tendências Mundiais para Tratamentos de Alto Custo? O Exemplo da Doença de Pompe

Eixo temático: Inovação em ATS e monitoramento de tecnologias

Bruna Bento dos Santos, Cecília de Oliveira Carvalho Faria, Herica Nubia Cardoso Cirilo, Alicia Dorneles Dornelles, Haliton Alves de Oliveira Junior, Ida Vanessa D. Schwartz

Estudo com seres humanos/protocolo CEP: Não

**Introdução:** A maioria das doenças raras não possui tratamento específico, e os que estão disponíveis são geralmente de alto custo. O Ministério da Saúde define como raras as doenças que afetam até 65:100.000 indivíduos. A doença de Pompe (DP), também conhecida como glicogenose tipo II ou deficiência de maltase ácida, é um exemplo de doença genética rara com tratamento específico de alto custo. A escolha da DP como modelo neste estudo reflete suas características únicas, que exemplificam os desafios e avanços no acesso a tratamentos de alto custo para doenças raras no Brasil. Este estudo busca caracterizar o acesso a medicamentos de alto custo para doenças raras no Brasil, utilizando a DP como exemplo, e comparar o modelo brasileiro com as tendências globais no tratamento da DP.

**Método:** Revisão documental abrangente e pesquisa no Sistema de Informação Ambulatorial do Sistema Único de Saúde (SIA/SUS) para a dispensação de alfa-*alglicosidase* (janeiro/2020 a maio/2024). Os dados de dispensação foram comparados às estimativas de impacto orçamentário para a inclusão da tecnologia no SUS.

**Resultados:** A alfa-*alglicosidase* e a alfa-*avalglucosidase* possuem registro sanitário ativo no Brasil (ambas da mesma fabricante), mas apenas a alfa-*alglicosidase* está disponível na rede pública, e exclusivamente para pacientes com a DP de início infantil. Houve um intervalo de 12 anos entre o registro sanitário da alfa-*alglicosidase* e sua avaliação para inclusão no SUS. As estimativas da demanda de frascos de alfa-*alglicosidase* pela Conitec parecem superestimadas, de acordo com os dados de dispensação do medicamento no SUS. Em comparação com as tendências internacionais, um ponto de convergência entre o Brasil e a maioria dos países avaliados é a recomendação da alfa-*alglicosidase* exclusivamente para a forma infantil. No entanto, o Brasil ainda se diferencia por não ter avaliado a incorporação da alfa-*avalglucosidase* no SUS e pela ausência de registro sanitário para a combinação de alfa-*cipaglucosidase* com miglustate.

**Conclusão:** O Brasil está parcialmente alinhado com as tendências mundiais no tratamento da DP, mas há diferenças importantes. O País tem avançado no acesso a medicamentos de alto custo por meio de estratégias como a criação do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf), que centraliza a compra de medicamentos de alto impacto financeiro, e a priorização de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para doenças raras, como a DP. Além disso, a inclusão de medicamentos para doenças raras na Política de Parcerias para o Desenvolvimento Produtivo mostra um esforço crescente para fortalecer a produção local e reduzir a dependência externa. No entanto, o Brasil ainda enfrenta lacunas significativas. A demora de 12 anos entre o registro sanitário e a avaliação para incorporação da alfa-*alglicosidase* no SUS, apesar da alta demanda judicial, ilustra um importante gargalo. Além disso, faltam políticas robustas para o desenvolvimento e a comercialização de medicamentos órfãos, e o País enfrenta desafios na coleta de dados epidemiológicos sobre doenças raras e na implementação de acordos de compartilhamento de risco. Essas lacunas precisam ser abordadas para garantir que pacientes com doenças raras tenham acesso oportuno a tratamentos seguros e eficazes no SUS.

**Palavras-chaves:** doenças raras; doença de Pompe; economia e organizações de saúde.

**Financiamento:** -