



Jornal Brasileiro

Auditoria em Saúde

Acesso à saúde de forma ética e sustentável



Editorial

Por Goldete Priskulnik

A Saúde Suplementar enfrentou em 2024 eventos desafiadores com relação a sua sustentabilidade levando em consideração a incorporação de vários novos fármacos e procedimentos terapêuticos. Tratamentos de alto custo que foram incluídos forçam gestores e a comunidade médica a pensar formas e maneiras de proporcionar o melhor aos beneficiários sem, contudo, comprometer a saúde financeira das instituições. Tarefa nada fácil se levarmos em conta que em muitas operadoras o resultado assistencial não foi nada satisfatório.

Nesse horizonte, gestores, auditores e prestadores de serviços de saúde necessitam de estratégias e alinhamentos para encontrarem as melhores formas de relacionamento comercial visando sempre a perenidade do sistema.

Essa 3ª edição de 2024 está com um conteúdo bem diversificado.

Temos um artigo original:

· Custos do cuidado contínuo do câncer: impacto clínico e econômico na perspectiva de uma autogestão.

NESTA EDIÇÃO

**5º SIMPÓSIO DE DOENÇAS RARAS:
INFORMAÇÕES ÚTEIS PARA O GESTOR**

**CUSTOS DO CUIDADO CONTÍNUO DO
CÂNCER: IMPACTO CLÍNICO E ECONÔMICO
NA PERSPECTIVA DE UMA AUTOGESTÃO**

**TRANSFORMANDO CUIDADOS DE PACIENTES
COM DIABETES MELLITUS TIPO 1:
RESULTADOS DE UM PROJETO PILOTO DE
REMUNERAÇÃO BASEADO EM VALOR**

**PROGRAMA DE CONSULTAS NA ATENÇÃO À
SAÚDE DO IDOSO**

**ESTRATÉGIA DE MONITORAMENTO NO
ENFRENTAMENTO DA EPIDEMIA DE DENGUE E
OUTRAS ARBOVIROSES EM 2024**

**ANAIS DO III CONGRESSO BRASILEIRO DE
AUDITORIA MÉDICA DA SOCIEDADE
BRASILEIRA DE AUDITORIA MÉDICA – SBAM**

Apresentamos os ganhadores do Prêmio Saúde UNIDAS que foram divulgados durante o 27º Congresso Internacional Unidas:

1º lugar - Transformando cuidados de pacientes com diabetes mellitus tipo 1: resultados de um projeto piloto de remuneração baseado em valor.

2º lugar - Programa de consultas na atenção à saúde do idoso.

3º lugar - Estratégia de monitoramento no enfrentamento da epidemia de dengue e outras arboviroses em 2024.

Estamos publicando como separata os “Anais do III Congresso Brasileiro de Auditoria Médica da Sociedade Brasileira de Auditoria Médica – SBAM”. Uma compilação dos resumos dos pôsteres apresentados durante o congresso em 2024, trazendo um panorama do que tem sido feito dentro do universo da auditoria e gestão.

Compilamos resumidamente o “5º Simpósio de Doenças Raras: informações úteis para o gestor”. Discorreremos sobre os debates ocorridos, perspectivas levantadas e apresentamos alguns estudos promissores para o manejo de algumas patologias raras e de difícil manejo.

Além do conteúdo científico publicado, o JBAS construiu um portfólio robusto onde temos vários temas para treinamentos “in company” para os diversos players do mercado, cursos de curta duração dos mais variados assuntos pertinentes ao sistema de saúde brasileiro, organização de lives com geração de comunicações breves no nosso site e, ainda a organização de “Advisory Board” com coordenação da temática e relatórios de finalização e fechamento.

Contribuam submetendo seu material para publicação pelo e-mail: jbas@jbas.com.br.

Boa leitura!

Goldete Prizskulnik
Editora



GOLDETE PRISZKULNIK

Editora Científica

Médica e Executiva em Gestão em Saúde Suplementar
Consultora Sênior para Assuntos de Gestão, Regulação e Auditoria em Saúde
Professora convidada dos Cursos do Programa de Educação Continuada da FGV-S.P. – GV Pec e GV in company
Vice Presidente da SBAM – Soc. Brasileira de Auditoria Médica

JOAO PAULO DOS REIS NETO

Publisher

Médico e Executivo em Gestão em Saúde Suplementar
Presidente da CAPESESP
Ex-Vice-Presidente da UNIDAS Nacional
Ex-professor de MBA em Auditoria
Sócio Diretor Analysis Auditoria e Consultoria e da Mobile Saúde



Artigo

5º Simpósio de Doenças Raras: informações úteis para o gestor

Por Marcos Santos e outros

Marcos Santos MD PhD¹, Alex Gonçalves², Bruno Abreu³, Carlos Richter⁴, Goldete Prizskulnik⁵, Helena Roncy⁶, Isabela Oliveira Farinhaki⁷, João Paulo Reis Neto⁸, Juliana Busch⁹, Marcelo Reis¹⁰, Marlus Volney¹¹, Reynaldo Rocha¹², Silvia Jaldin¹³, Sueli Kazue¹⁴, Thais Bagatin¹⁵, William Huang¹⁶, Wilson Follador¹⁷

1.Chairman do Simpósio de Doenças Raras: Informações Úteis para o Gestor

Presidente da Sociedade Brasileira de Auditoria Médica – SBAM

2.Universidade Anhembi – Morumbi

3.Diretor de Mercado e Assuntos Jurídicos – Sindusfarma

4.MBA em Auditoria em Saúde e Pós-graduação em Gestão da Promoção e Assistência à Saúde.

Membro do Conselho Fiscal da SBAM – Sociedade Brasileira de Auditoria Médica

5.Vice-Presidente da Sociedade Brasileira de Auditoria Médica – SBAM.

Editora científica do Jornal Brasileiro de Auditoria Médica – JBAS.

6.Presidente da Associação Brasileira de Enfermeiros Auditores (ABEA)

7.Especialista em Auditoria Médica e Administração em Saúde. Secretária Geral da Sociedade Brasileira de Auditoria Médica – SBAM

8.Presidente da Capesesp

Editor do Jornal Brasileiro de Auditoria em Saúde

9.Diretora de Previdência e Assistência da CAPESESP

Médica graduada pela Escola de Medicina Souza Marques (FTESM)

Diretora Científica da ISPOR Capítulo Brasil.

Diretora Técnica da Unidas/RJ.

10.Coordenador de Auditoria Médica – Assistência à Saúde dos Servidores do Estado do Mato Grosso – Mato Grosso Saúde

Auditor em Oncologia na Unimed Cuiabá Cooperativa de Trabalho Médico

11.Cirurgião Geral e Gestor em Saúde

Diretor Executivo da Unimed Curitiba

12.Especialista e em gestão e avaliação de tecnologias em saúde

Diretor Educacional da ISPOR capítulo Brasil

13.Delegada Superintendente do CREMESP

Conselheira Fiscal da Associação Brasileira de Qualidade de Vida

Gerente Médica e de Auditoria na XIPP Benefícios

14.Unimed Londrina, Gestão de Regulação

15.Audicare Auditoria, Instituto Curitiba de Saúde

16.Especialista em Medicina Preventiva

MBA em Administração e Sistemas de Saúde

Gerência Executiva na CASSI

17.Farmacêutico – Bioquímico. MScD PhD

Presidente da ISPOR – Capítulo Brasil

Autor correspondente: Dr. Marcos Santos – marcosrxt@gmail.com

Introdução

Nos dias 21 e 22 de outubro de 2024, realizou-se, na cidade de Brasília/DF, o 5º Simpósio de Doenças Raras: Informações Úteis para o Gestor.

Razões

A incorporação tecnológica no tratamento e diagnóstico de doenças raras é um tema de crescente relevância para gestores de saúde. Com o avanço contínuo das tecnologias médicas e farmacêuticas, novas oportunidades surgem para aprimorar o diagnóstico precoce, personalizar o tratamento e melhorar os resultados clínicos para pacientes que, até então, contavam com opções limitadas de cuidado.

É importante, no entanto, observar que essa evolução tecnológica vem, frequentemente, associada a um aumento significativo dos custos envolvidos no tratamento, como tem sido uma regra geral atualmente e não constitui novidade para nenhum gestor(1), fato que, no caso específico das doenças raras, demanda ainda mais atenção. Em primeiro lugar porque apesar de, individualmente, as patologias terem baixa frequência e incidência, quando analisadas em conjunto, acometem uma parcela significativa da população geral(2). E, também porque alguns das medicações mais caras do mercado atual são, pensando pragmaticamente, utilizadas para o tratamento de enfermidades raras(3, 4).

Organizar um seminário sobre esse tema é essencial para capacitar gestores na compreensão dos desafios e das oportunidades envolvidas na incorporação de muitas destas inovações. Entre os principais aspectos a serem abordados, destacam-se os critérios de custo-efetividade, o impacto orçamentário e a avaliação de benefícios de longo prazo, especialmente em um contexto de recursos limitados e alta complexidade. Além disso, é uma oportunidade de debater políticas de financiamento e modelos de parceria que viabilizem o acesso a essas tecnologias para pacientes que enfrentam dificuldades de acesso devido ao elevado custo de muitos desses tratamentos.

O seminário, que tem se repetido anualmente, tem como objetivo a criação de um ambiente de troca entre gestores, especialistas em tecnologia de saúde e formuladores de políticas, promovendo a construção de soluções colaborativas e a ampliação do conhecimento sobre as melhores práticas. Assim, ao participar deste evento, os gestores podem adquirir ferramentas para avaliar e implementar tecnologias inovadoras de forma sustentável, contribuindo para a melhoria da qualidade de vida dos pacientes e para a sustentabilidade do sistema de saúde como um todo.

Temas discutidos

Pesquisa em Doenças Raras como Ferramenta de Acesso

A inclusão de pacientes com doenças raras em protocolos de pesquisa representa uma oportunidade única de transformação no diagnóstico e no tratamento dessas condições, ao mesmo tempo em que suscita desafios éticos, metodológicos e econômicos. Em contextos como o Sistema Único de Saúde (SUS) brasileiro, o impacto econômico dessa prática deve ser analisado à luz de possíveis economias diretas e indiretas, enquanto estratégias inovadoras são necessárias para superar as limitações relacionadas à representatividade estatística.

No âmbito econômico, a inclusão de pacientes em protocolos de pesquisa pode gerar uma significativa redução de custos ao encurtar a chamada “odisseia diagnóstica”, caracterizada por consultas repetidas, exames desnecessários e tratamentos inadequados que frequentemente antecedem o diagnóstico correto de uma doença rara. Tecnologias avançadas, como o sequenciamento genômico, muitas vezes integradas a esses protocolos, possibilitam diagnósticos mais rápidos e precisos, reduzindo o impacto financeiro associado ao manejo inadequado desses pacientes(5).

Além disso, a introdução precoce de terapias personalizadas pode prevenir complicações graves que iriam demandar internações prolongadas ou tratamentos paliativos, o que representa uma economia significativa no longo prazo para o sistema público de saúde. Nesse sentido, os protocolos de pesquisa também oferecem oportunidades para colaborações com instituições internacionais e indústrias farmacêuticas, trazendo cofinanciamentos que aliviam a carga financeira do SUS e incentivam inovações científicas(6).

Por outro lado, a baixa representatividade estatística, decorrente do número reduzido de pacientes disponíveis para estudos clínicos, é uma das principais barreiras enfrentadas em pesquisas de doenças raras. Contudo, diversas estratégias têm sido desenvolvidas para mitigar esse obstáculo. A integração com registros globais de doenças raras, por exemplo, possibilita ampliar o acesso a dados de pacientes de diferentes regiões, promovendo análises mais robustas e representativas(6). Adicionalmente, o uso de métodos estatísticos avançados, como metanálises e modelagens bayesianas, tem se mostrado eficaz ao permitir que dados de amostras pequenas sejam combinados de forma a gerar resultados estatisticamente válidos(7).

Discutiu-se um editorial publicado no *New England Journal of Medicine*, por Stephen Lagakos(8). Neste texto, o autor aborda os desafios únicos de realizar ensaios clínicos em doenças raras, tomando como exemplo o estudo de Gallin et al., que investigou o uso de itraconazol para prevenir infecções fúngicas graves em pacientes com doença granulomatosa crônica. Este estudo exigiu 10 anos para recrutar apenas 39 pacientes, ilustrando a complexidade de realizar pesquisas quando a população-alvo é limitada. Para lidar com essa escassez, adotou-se um desenho de alternância inovador. Após randomização inicial, os participantes alternaram anualmente entre itraconazol e placebo. A eficácia foi avaliada comparando o número de infecções graves que ocorreram durante o uso de cada intervenção. Esse método mitigou a necessidade de muitos participantes, mas trouxe desafios específicos, como a suposição de que o efeito do tratamento começaria imediatamente e terminaria ao ser suspenso, o que pode não refletir a realidade clínica. Além disso, o desenho limitou a avaliação da segurança a longo prazo, já que os períodos contínuos de tratamento foram curtos(9). O editorial destaca também estratégias alternativas para ensaios com populações pequenas, como estudos cruzados (crossover) ou métodos adaptativos, como o “play-the-winner”. Essas abordagens podem aumentar a eficiência, permitindo a conclusão de estudos com menos pacientes, especialmente quando os tratamentos são muito eficazes. Contudo, esses métodos podem gerar intervalos de confiança amplos, dificultando a interpretação precisa da magnitude do benefício.

No estudo de Gallin et al., os resultados sugerem que o itraconazol é eficaz, pois sete das primeiras oito infecções graves ocorreram no grupo placebo. Entretanto, o valor de p (0,10) não atende ao padrão rigoroso normalmente usado para alterar práticas clínicas. Apesar disso, o editorial argumenta que, em estudos de doenças raras, pode ser necessário flexibilizar os critérios de adoção de novos tratamentos(9). Em tais casos, é essencial que haja planos para coleta de dados contínuos após o estudo, permitindo que mais informações sobre eficácia e segurança sejam acumuladas. Essa abordagem adaptada para doenças raras reconhece a dificuldade de conduzir estudos tradicionais em populações tão pequenas e a importância de tomar decisões baseadas em evidências menos robustas, mas que ainda assim podem oferecer avanços significativos no cuidado desses pacientes(8).

Uma alternativa promissora, discutida em uma outra publicação, é a aplicação de ensaios clínicos do tipo “N-of-1”, em que o paciente serve como seu próprio controle. Esse modelo é particularmente útil para enfermidades raras, pois fornece dados altamente personalizados e relevantes, mesmo em cenários com poucos participantes(10). Redes de pesquisa multicêntricas também desempenham um papel crucial ao reunir esforços de instituições de diversas localidades, aumentando a diversidade e a quantidade de dados disponíveis para análise. Nesse contexto, iniciativas como a Rede de Pesquisa Clínica de Doenças Raras (RDCRN), nos Estados Unidos, demonstram o impacto positivo que parcerias colaborativas podem ter no desenho de protocolos, na coleta de dados e no engajamento de pacientes(11).

A inclusão ativa dos próprios pacientes e de advocacy no desenvolvimento de protocolos também tem sido uma abordagem inovadora para superar desafios estatísticos e éticos. Essa prática não apenas facilita o recrutamento, mas também melhora a relevância clínica das pesquisas, ao alinhar os objetivos dos estudos às prioridades dos pacientes(10). Além disso, novas tecnologias de consentimento informado têm sido exploradas para equilibrar as demandas de privacidade com a necessidade de compartilhamento de dados em pesquisas globais(7).

Dessa forma, é evidente que a inclusão de pacientes com doenças raras em protocolos de pesquisa oferece benefícios que vão além do avanço científico, impactando positivamente a gestão de recursos no SUS e contribuindo para a construção de um sistema de saúde mais eficiente e equitativo. Embora desafios metodológicos persistam, as estratégias discutidas demonstram que a combinação de inovação tecnológica, colaboração global e engajamento de pacientes é capaz de mitigar as limitações e potencializar os resultados dessas iniciativas.

O impacto econômico fica evidente quando consideramos o caso brasileiro do uso de pabinafusp-alfa para mucopolissacaridose tipo II (MPS-II). Este tratamento inovador foi disponibilizado por meio de protocolos de pesquisa antes de sua aprovação pela ANVISA. Além de atender necessidades clínicas não supridas por terapias convencionais, como idursulfase-alfa, este protocolo gerou uma economia estimada de R\$ 65 milhões ao sistema de saúde ao substituir uma terapia significativamente mais cara e menos eficaz. Os dados sugerem que, ao reduzir complicações e melhorar os resultados clínicos, os custos a longo prazo podem ser ainda mais mitigados(12).

Farmacoeconomia e Doenças Raras

Nesta etapa do Simpósio, os Gestores puderam discutir profundamente as peculiaridades dos estudos econômicos, quando aplicados ao universo das enfermidades raras. Estes estudos, no presente cenário, apresentam desafios e especificidades que diferem significativamente de análises realizadas para condições mais prevalentes. Uma das principais peculiaridades está relacionada aos elevados custos de desenvolvimento de medicamentos órfãos e à dificuldade de se aplicar limiares tradicionais de custo-efetividade, como o custo incremental por QALY (Quality-Adjusted Life Year), de forma apropriada a este grupo de condições. Na ausência de estudos farmacoeconômicos, a legislação brasileira através da Lei 14.454/2022 estabelece como um dos critérios para a cobertura pelas Operadoras de Saúde, a eficácia comprovada por estudos científicos publicados no âmbito nacional ou internacional.

Os limiares tradicionais de custo-efetividade, amplamente utilizados em estudos farmacoeconômicos, são muitas vezes inadequados para doenças raras devido à combinação de fatores econômicos, clínicos e sociais específicos. Medicamentos órfãos frequentemente apresentam preços elevados, resultado direto de altos custos de pesquisa e desenvolvimento e da baixa escala de consumo. Esses tratamentos são desenvolvidos para populações pequenas, o que limita o retorno financeiro para as empresas farmacêuticas, desestimulando a investigação, e leva à necessidade de preços que justifiquem o investimento inicial. Como consequência, o custo incremental por QALY pode ser significativamente mais alto do que os limiares considerados aceitáveis para condições mais comuns(12).

Além disso, os estudos de custo-efetividade, neste contexto, enfrentam desafios relacionados à validade dos dados clínicos, ou a força do estudo quando aplicados critérios como o Grade. As amostras reduzidas nos ensaios clínicos podem comprometer a robustez estatística e dificultar a obtenção de evidências de alta qualidade sobre eficácia e segurança, como já foi discutido. Essa limitação impacta diretamente a análise de custo por QALY, uma vez que as estimativas de ganho em anos de vida ajustados pela qualidade podem não ser representativas da realidade clínica de toda a população afetada. Modelos econômicos adaptados, como análises de decisão baseadas em simulações probabilísticas, têm sido usados para mitigar esses desafios e fornecer resultados mais confiáveis mesmo em cenários de dados escassos(13).

Um aspecto crítico relacionado ao QALY em doenças raras é a avaliação de valor. Muitos tratamentos para doenças raras proporcionam ganhos modestos em termos de QALYs, mas atendem a necessidades médicas não supridas e podem melhorar a qualidade de vida em níveis que não são facilmente quantificáveis pelas métricas tradicionais. No contexto de medicamentos órfãos, o uso exclusivo do QALY como métrica principal pode subestimar os benefícios reais da intervenção. Isso é especialmente relevante em casos em que a ausência de tratamento resulta em incapacidades graves ou progressão inevitável da doença, como observado em doenças genéticas raras como a mucopolissacaridose tipo II(14).

Além disso, países como o Brasil frequentemente precisam equilibrar os altos custos dos medicamentos órfãos com os recursos disponíveis. Estratégias como o uso de protocolos de acesso precoce e acordos de risco compartilhado têm sido empregadas para permitir a incorporação dessas tecnologias, mesmo quando os limiares tradicionais de custo-efetividade não são atendidos. Esses acordos podem incluir pagamentos baseados em resultados ou reembolso condicionado à eficácia clínica demonstrada em fases avançadas de pesquisa. Tais mecanismos não apenas ajudam a contornar as limitações do QALY, mas também promovem maior sustentabilidade financeira para o sistema de saúde(12).

Portanto, a avaliação farmacoeconômica de medicamentos para doenças raras exige abordagens flexíveis e adaptativas. Enquanto o QALY permanece uma métrica útil, sua aplicação deve ser ajustada para refletir as particularidades dessas condições e os desafios inerentes ao desenvolvimento de terapias órfãs. Uma visão integrada, que incorpore métodos estatísticos robustos, análises adaptadas e modelos de compartilhamento de risco, é essencial para garantir que os pacientes com doenças raras tenham acesso a tratamentos inovadores sem comprometer a sustentabilidade financeira dos sistemas de saúde.

Medicina Baseada em Evidências e Doenças Raras: estudos apresentados

Ao final do primeiro bloco, com o objetivo de aplicar os conhecimentos adquiridos durante todo o dia, alguns palestrantes foram convidados a discutir tópicos específicos a respeito de temas abordados por novas drogas ou estratégias de tratamento recentemente disponíveis no mercado brasileiro.

O primeiro deles foi a qualidade de vida do paciente com orbitopatia de Graves (GO). Trata-se da manifestação extratireoidiana mais comum da doença de Graves, caracterizada por inflamação dos tecidos orbitais, resultando em sinais como proptose, diplopia e alterações na aparência. O estudo apresentado avaliou a qualidade de vida (QoL) de 323 pacientes brasileiros com GO leve a moderada, utilizando o questionário GO-QoL. Os resultados mostraram que a gravidade da GO, avaliada pelas classificações EUGOGO e NOSPECS, correlacionou-se negativamente com os domínios de função visual e aparência. Assimetria, proptose e diplopia foram fatores que impactaram significativamente as pontuações de QoL. A consistência interna do questionário foi alta, destacando sua utilidade em identificar pacientes que necessitam de suporte adicional. Apesar do longo curso da doença (média de 7,1 anos), os pacientes apresentaram pontuações de QoL consistentemente baixas, sugerindo que a GO, mesmo em formas leves e moderadas, tem impacto significativo e prolongado na qualidade de vida. O estudo reforça a importância do uso do GO-QoL na prática clínica para compreender melhor as necessidades dos pacientes e oferecer intervenções personalizadas que abordem tanto os aspectos físicos quanto psicológicos da doença(15).

Em seguida, apresentou-se o artigo “Teprotumumab para pacientes com doença ocular da tireoide ativa”. Este estudo integrado de dois ensaios clínicos randomizados investigou o teprotumumabe, um anticorpo monoclonal que inibe o receptor do fator de crescimento semelhante à insulina-1, em pacientes com doença ocular da tireoide (TED) ativa. O teprotumumabe mostrou eficácia significativa, reduzindo a proptose em 77% dos pacientes versus 15% no grupo placebo. Respostas positivas foram observadas em subgrupos difíceis de tratar, como fumantes e idosos. Melhorias na diplopia (70% dos tratados) e na QoL (19 pontos no GO-QoL) foram consistentes em curto e longo prazo. Eventos adversos foram leves a moderados. Este estudo confirma a eficácia do teprotumumabe, destacando seu potencial para TED severa, com respostas duradouras mesmo após 51 semanas do término do tratamento(16).

Discutiu-se, também, os efeitos terapêuticos do edaravone no tratamento da esclerose lateral amiotrófica. A esclerose lateral amiotrófica (ELA) é uma doença neurodegenerativa rara, marcada pela perda progressiva de neurônios motores, resultando em atrofia muscular e insuficiência respiratória. A causa exata permanece desconhecida, mas o estresse oxidativo é apontado como um fator central em sua progressão, além de mutações genéticas como SOD1 e C9orf72 estarem associadas a formas familiares da doença. Atualmente, o riluzol é o único tratamento aprovado, demonstrando prolongar a vida em cerca de três meses, mas alternativas mais eficazes são necessárias.

O edaravone, um antioxidante e sequestrador de radicais livres, emergiu como um potencial intervenção terapêutica. Inicialmente desenvolvido para tratar AVC isquêmico no Japão, o medicamento mostrou proteger neurônios ao reduzir o estresse oxidativo em modelos animais. Estudos de Fase II com pacientes de ELA indicaram que o Edaravone reduziu a concentração de 3-nitrotirosina (3NT), um biomarcador de estresse oxidativo, e retardou o declínio funcional. Contudo, um ensaio clínico de Fase III inicial não encontrou diferenças significativas no escore da ALSFRS-R (Escala Funcional Revisada para ELA) entre os grupos tratados com edaravone e placebo.

Diante disso, um novo estudo de Fase III foi projetado, focando em um subgrupo de pacientes em estágios iniciais da ELA, identificado em análises post-hoc do ensaio anterior. Este subgrupo incluiu indivíduos com ALSFRS-R ≥ 2 em todos os itens, capacidade vital forçada $\geq 80\%$, diagnóstico definitivo ou provável (critério revisado de El Escorial) e duração da doença ≤ 2 anos. Durante 24 semanas, pacientes receberam 60 mg de Edaravone ou placebo por infusão intravenosa em ciclos de 4 semanas (2 semanas de administração e 2 semanas de pausa).

Os resultados demonstraram uma diferença estatisticamente significativa no declínio do escore ALSFRS-R entre os grupos: -5,01 no grupo edaravone versus -7,50 no grupo placebo, com uma diferença média ajustada de 2,49 pontos ($p=0,0013$). Pacientes tratados com edaravone também apresentaram menores deteriorações na qualidade de vida (ALSAQ-40) e na escala de Norris Modificada. Entretanto, não houve diferenças significativas em medidas secundárias, como força de preensão, força de pinça ou função respiratória. Os eventos adversos foram semelhantes entre os grupos, com 16% dos pacientes tratados com edaravone relatando eventos adversos graves, comparado a 24% no grupo placebo.

Em um contexto mais amplo, o estudo reforça o papel do estresse oxidativo na ELA e posiciona o Edaravone como uma opção terapêutica promissora para pacientes em estágios iniciais da doença. Apesar disso, são necessárias pesquisas adicionais para avaliar seu impacto na sobrevivência a longo prazo e sua eficácia em pacientes com estágios mais avançados da ELA(17, 18).

Conversou-se, posteriormente, sobre a psoríase, uma doença inflamatória crônica, mediada pelo sistema imunológico, que afeta a pele e, em alguns casos, as articulações. Caracteriza-se por placas eritematosas com escamas prateadas, impactando cerca de 2-3% da população mundial. Embora seu manejo inclua terapias tópicas, sistêmicas e biológicas, formas mais graves apresentam desafios terapêuticos. A psoríase pustular generalizada (PPG) é uma variante rara, com prevalência estimada entre 1,76 e 14 casos por milhão, predominando em populações asiáticas. Diferentemente da psoríase vulgar, a PPG é uma condição inflamatória caracterizada por surtos agudos de pústulas estéreis em todo o corpo, frequentemente associada à inflamação sistêmica, febre, dor e potencial risco de morte, exigindo hospitalização em casos graves(19).

Discutiu-se os tratamentos disponíveis para PPG com base em uma busca sistemática na literatura, incluindo 118 publicações, das quais apenas 19% eram ensaios clínicos. Entre os tratamentos biológicos, o spesolimabe, um inibidor do receptor de interleucina-36 (IL-36R), mostrou resultados promissores em ensaios clínicos randomizados. Em um estudo multicêntrico, 54% dos pacientes tratados com spesolimabe alcançaram eliminação completa de pústulas na primeira semana, comparado a 6% no grupo placebo. Além disso, os pacientes relataram melhorias significativas na qualidade de vida, sustentadas por até 12 semanas, com um perfil de segurança aceitável, apesar de eventos adversos leves a moderados, como infecções. Outros tratamentos incluem imunossuppressores como ciclosporina, metotrexato e acitretina, além de corticosteroides e retinóides. Entretanto, a maioria desses dados deriva de relatos de caso e estudos observacionais, com baixa padronização nos critérios de eficácia. Os endpoints frequentemente utilizados, como o Índice de Área e Gravidade da Psoríase (PASI), não incluem componentes específicos de pustulação, dificultando comparações entre estudos(20).

O estudo de Fase II, randomizado, intitulado “Estudo do Spesolimabe para Psoríase Pustular Generalizada” investigou este anticorpo monoclonal humanizado, que inibe o receptor de interleucina-36, alvo central na patogênese da PPG. Cinquenta e três pacientes com surtos moderados a graves de PPG foram divididos em grupos para receber uma dose única de spesolimabe ou placebo, com a possibilidade de tratamento aberto após uma semana. O endpoint primário foi a redução total das pústulas em uma semana, medido pela pontuação GPPGA (generalized pustular Psoriasis physician global assessment). Os resultados demonstraram que 54% dos pacientes tratados com spesolimabe apresentaram resolução completa das pústulas em uma semana, comparado a apenas 6% no grupo placebo. Melhorias adicionais, como quase total clareamento da pele, foram observadas. Eventos adversos incluíram infecções e reações sistêmicas, mas foram considerados manejáveis. O estudo conclui que o spesolimabe é promissor no manejo da PPG, embora sejam necessários estudos mais longos para confirmar sua eficácia e segurança a longo prazo(21).

No encerramento do bloco, discutiu-se, também, a infecção pelo citomegalovírus, refratária ou resistente, em pacientes submetidos a transplantes de órgãos. As infecções refratárias com ou sem resistência por CMV, especialmente em transplantados, representam uma complicação significativa, associada à alta morbidade e risco de mortalidade. O tratamento convencional com agentes como valganciclovir, ganciclovir, foscarnet e cidofovir é limitado por toxicidades consideráveis, como neutropenia e lesão renal aguda, além de possíveis resistências virais. Neste contexto, o estudo clínico de Fase III, SOLSTICE, que investigou o uso de maribavir em comparação com essas terapias convencionais, avaliou 352 pacientes transplantados com infecções refratárias por CMV. Esses pacientes foram randomizados para receber maribavir (400 mg duas vezes ao dia) ou terapias atribuídas pelos investigadores (valganciclovir, ganciclovir, foscarnet ou cidofovir). Observou-se, ao final de 8 semanas, um clearance de viremia maior com maribavir (55,7%) em comparação com as terapias atribuídas (23,9%). A diferença ajustada foi de 32,8% (IC 95%: 22,80–42,74; $p < 0,001$), destacando a superioridade de maribavir em um desfecho crítico para o controle da infecção. Observou-se, também, com a medicação estudada, menores taxas de eventos adversos graves como redução significativa na neutropenia (9,4% com maribavir versus 33,9% com valganciclovir/ganciclovir); menor incidência de lesão renal aguda (8,5% com maribavir versus 21,3% com foscarnet) e uma taxa mais baixa de descontinuação do tratamento devido a eventos adversos (13,2% com maribavir versus 31,9% com terapias atribuídas)(22). Este medicamento, aprovado recentemente para incorporação no Sistema Único de Saúde (SUS) pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC).

Cânceres Raros

Reservou-se o último bloco para a discussão de tumores raros. Nesta oportunidade, foram discutidos, inicialmente, características especiais dos protocolos de pesquisa em que sejam estudados tumores raros. Tendo como base a publicação intitulada: “Desenhos de ensaios clínicos para doenças raras: Estudos desenvolvidos e discutidos pela International Rare Cancers Initiative, observou-se que, embora avanços significativos tenham ocorrido no tratamento do câncer em geral nas últimas décadas, os progressos para cânceres raros têm sido limitados devido à baixa prevalência, o que dificulta a realização de estudos amplos e bem fundamentados. Os autores destacam as dificuldades organizacionais e metodológicas de ensaios internacionais para doenças raras, como a necessidade de colaboração global e a escassez de dados históricos robustos.

Eles propõem estratégias inovadoras, como o uso de desenhos adaptativos e métodos bayesianos, que incorporam dados externos para reduzir o número de participantes necessários e aumentar a eficiência. Exemplos incluem ensaios randomizados de Fase II e abordagens multibraço, que permitem testar múltiplos tratamentos simultaneamente. Além disso, os ensaios discutidos mostram como flexibilizar parâmetros tradicionais, como taxas de erro tipo I e II, pode ser necessário para alcançar resultados viáveis. Métodos para análise intermediária e descontinuação precoce de tratamentos ineficazes também são abordados. O artigo conclui que, para doenças raras, decisões de mudança de prática frequentemente dependem de evidências menos diretas do que para doenças comuns. A colaboração internacional e o uso de abordagens metodológicas inovadoras são cruciais para enfrentar esses desafios e melhorar os desfechos para pacientes com cânceres raros(23).

Discutiu-se, também, a conveniência da utilização do desfecho “sobrevida livre de progressão” (do inglês progression-free survival) em contraposição à tradicional “sobrevida global”, no contexto dos cânceres raros. A PFS é definida como o período durante o qual o paciente permanece vivo sem progressão da doença, sendo utilizada como uma medida substituta para desfechos tradicionais como sobrevida global (OS) ou qualidade de vida (QoL). Apesar de sua popularidade, os autores questionam se a PFS é realmente significativa para os pacientes e se deveria ser central na aprovação de novos tratamentos.

Historicamente, a PFS surgiu como uma métrica para avaliar rapidamente a eficácia de novos agentes, especialmente em ensaios de Fase II. Contudo, nas últimas décadas, seu uso em ensaios clínicos de Fase III aumentou significativamente. Entre 2005 e 2009, aproximadamente 26% dos estudos de terapia sistêmica para câncer de mama, colorretal e de pulmão usaram a PFS como desfecho primário, comparado a quase nenhum na década de 1980. Entretanto, essa tendência tem gerado controvérsias. A principal crítica é que a PFS frequentemente falha em se correlacionar com benefícios reais para os pacientes, como maior OS ou melhora na QoL. Para cânceres como mama, próstata e pulmão, estudos mostraram que aumentos na PFS não resultaram em ganhos consistentes de OS. Mesmo em tumores colorretais e ovarianos, onde há alguma evidência de correlação, o impacto é moderado e questionável no contexto de novas terapias-alvo. Os autores também exploram razões para essa desconexão. Em alguns casos, a progressão medida pode não refletir uma deterioração significativa na saúde do paciente, enquanto fatores como erros de medição, viés na avaliação ou impacto biológico adverso dos tratamentos podem mascarar os resultados. Além disso, o uso de terapias pós-progressão pode diluir os efeitos observados na OS, particularmente em estudos que permitem cruzamento de braços(24).

Em um outro artigo semelhante, pudemos discutir a correlação entre sobrevida global (OS) e sobrevida livre de progressão (PFS) em ensaios clínicos contemporâneos de tumores sólidos metastáticos. Aqui, os autores observam que a eficácia do uso do desfecho substituto (PFS) depende da duração da sobrevida pós-progressão (SPP). Os dados indicam que a correlação entre PFS e OS é forte apenas quando a SPP é curta (<12 meses), sendo consideravelmente fraca em tumores com SPP prolongada (≥12 meses). Embora a PFS seja clinicamente significativa em doenças com SPP curta, sua relevância diminui em tumores com SPP longa, especialmente na ausência de melhorias na qualidade de vida relatada pelos pacientes. O artigo destaca a necessidade de desenvolver desfechos compostos que combinem PFS e medidas de qualidade de vida para capturar melhor os benefícios clínicos em tumores de longa SPP. Esses desfechos poderiam oferecer uma abordagem mais abrangente para avaliar intervenções oncológicas, em resposta à crescente demanda de pagadores por evidências claras de benefício ao paciente(25).

Concluimos, então, ao final da discussão, que a comunidade oncológica deve reavaliar o uso da PFS como desfecho primário. Embora facilite estudos mais rápidos e menores, seu foco pode levar à aprovação de tratamentos que oferecem pouco benefício real. A oncologia deve priorizar desfechos significativos, como OS e QoL, que realmente refletem melhorias na vida dos pacientes, em vez de depender de métricas como a PFS, cuja relevância clínica permanece incerta(24, 25).

No contexto dos exemplos práticos de tratamentos dos tumores raros, discutiu-se o tratamento de tumores de estômago ou da junção gastroesofágica localmente avançados ou metastáticos, HER-2 negativos. Em um estudo de Fase III com mais de 500 pacientes, o zolbetuximabe combinado com capecitabina e oxaliplatina (CAPOX) demonstrou benefícios significativos em comparação ao placebo mais CAPOX. O estudo GLOW avaliou pacientes CLDN18.2-positivos, definidos como $\geq 75\%$ de células tumorais com coloração moderada a forte de claudina-18.2. O zolbetuximabe prolongou a sobrevida livre de progressão (SLP) mediana para 8,21 meses em comparação a 6,80 meses no grupo placebo (HR=0,687; p=0,0007) e aumentou a sobrevida global (SG) mediana para 14,39 meses versus 12,16 meses (HR=0,771; p=0,0118). Eventos adversos graves foram semelhantes entre os grupos (72,8% para zolbetuximabe versus 69,9% para placebo), sendo náuseas e vômitos os efeitos colaterais mais comuns associados ao zolbetuximabe(26).

Seguiu-se, então, uma discussão a respeito de tumores do endométrio avançados ou recorrentes tratados com dostarlimabe. O estudo de Fase III "RUBY" avaliou a combinação de dostarlimabe com carboplatina e paclitaxel como tratamento para câncer endometrial avançado ou recorrente. Os resultados da segunda análise interina mostraram que o tratamento com dostarlimabe reduziu o risco de morte em 31% na população geral (HR=0,69; p=0,0020), com uma melhora clinicamente significativa na sobrevida global (SG) mediana para 44,6 meses, em comparação a 28,2 meses no grupo placebo. Na subpopulação com deficiência no reparo de incompatibilidades (dMMR/MSI-H), o risco de morte foi reduzido em 68% (HR=0,32; p=0,0002), enquanto uma tendência favorável foi observada na população com reparo proficiente (HR=0,79). Além disso, a sobrevida livre de progressão na segunda linha de tratamento (PFS2) também foi superior no grupo dostarlimabe em todas as populações analisadas. Os eventos adversos relacionados ao tratamento foram consistentes com os relatados na análise interina anterior, sendo a segurança considerada aceitável(27).

Por fim, discutimos o emprego do tafasitamabe para pacientes com linfoma difuso de grandes células B refratário ou recorrente, uma outra situação que também, sem nenhuma dúvida, é muito pouco prevalente. Neste estudo de Fase II (L-MIND), com 80 pacientes inelegíveis para transplante autólogo de células-tronco, foi avaliada a combinação de tafasitamabe e lenalidomida. Com um seguimento de 5 anos, a taxa de resposta objetiva foi de 57,5%, incluindo 41,3% de respostas completas. A mediana de duração da resposta não foi alcançada, e a sobrevida global mediana foi de 33,5 meses. Pacientes que receberam apenas uma linha prévia de terapia apresentaram melhores taxas de resposta (67,5% de resposta objetiva, com 52,5% de respostas completas) em comparação com aqueles que haviam recebido duas ou mais linhas de tratamento (47,5% de resposta objetiva, com 30% de respostas completas). Além disso, a segurança foi consistente com análises anteriores, destacando eventos adversos hematológicos manejáveis e menor frequência de efeitos colaterais durante a monoterapia com tafasitamabe(28).

Esses resultados destacam a eficácia e segurança do tafasitamabe combinado com lenalidomida, sugerindo seu potencial como uma opção terapêutica significativa em pacientes inelegíveis para terapias mais intensivas. Dados adicionais em subgrupos reforçam a durabilidade das respostas, oferecendo esperança de melhora no manejo de uma população com necessidades críticas.

Importante observar-se que, como em qualquer situação, estes dados não podem ser extrapolados para pacientes que rigorosamente não se enquadrem nos critérios de inclusão descritos no protocolo. Estudo retrospectivo posterior, incluindo pacientes de pior prognóstico como, por exemplo, doença refratária à terapia inicial (critério de exclusão do estudo L-mind) apresentaram resultados pobres levando os autores a sugerirem que, neste caso, alternativas sejam consideradas para o tratamento destes pacientes(29).

Simpósios Satélite

Dois temas foram escolhidos para serem discutidos em Simpósios-satélite. No período da manhã, a apresentação foi sobre a Terapia de Células T com Receptores Quiméricos (Terapia CAR-T). Trata-se de uma estratégia que envolve uma técnica de engenharia genética que introduz um pedaço de DNA na célula T do paciente, com o auxílio, geralmente, de um vetor viral. Essa manipulação inicia a produção de receptores CAR (receptor quimérico de antígeno) pela célula T do paciente. Ou seja: uma célula CAR-T é uma célula que passou por uma modificação genética. Essa modificação “ensina” a célula a produzir o receptor CAR. Uma vez produzido, este receptor migra para a superfície da célula, que passa, então, a ser capaz de reconhecer e atacar as células que estão causando a patologia, para a qual se objetiva o tratamento(30).

Dentre as principais indicações desta tecnologia, está o linfoma difuso de grandes células-B (LDGCB). O LDGCB é o linfoma mais comum (25-30% dos diagnósticos), um tipo agressivo de linfoma não-Hodgkin de células B. Não tem uma etiologia definida. A maioria dos casos se origina nos linfonodos, mas pode haver acometimento extranodal. Trata-se de um subgrupo cuja quimiossensibilidade costuma ser relevante, abrindo a oportunidade de um tratamento efetivo nas primeiras linhas (R-CHOP)(31). Muitos resultados foram apresentados e, entre os principais, destacamos o estudo ZUMA-7: a mediana de acompanhamento foi de 47,2 meses, com 82 óbitos reportados no grupo axi-cel (CAR-T) e 95 óbitos no grupo do melhor suporte disponível. O grupo axi-cel não atingiu a mediana, enquanto o grupo terapia padrão apresentou mediana de 31,1 meses. Isso resultou em uma redução de 27% no risco de óbito com o tratamento axi-cel (HR = 0,73; IC 95%: 0,54-0,98). A taxa de sobrevivência global estimada em 4 anos foi de 54,6% para o grupo axi-cel, em comparação com 46% para o grupo terapia padrão. Além disso, a sobrevivência livre de progressão também favoreceu o axi-cel, com redução de 49% no risco de progressão (HR = 0,51; IC 95%: 0,38-0,67) (32).

No período da tarde, o tema foi a Doença de Huntington (DH) e o peso que esta patologia representa, atualmente, para a sociedade brasileira. A DH é uma enfermidade neurodegenerativa hereditária, de herança autossômica dominante, causada pela expansão de repetições trinucleotídicas CAG no gene HTT, localizado no cromossomo 4. A partir de 40 repetições, a doença se manifesta com sintomas motores, cognitivos e psiquiátricos, sendo frequentemente diagnosticada com base na progressão clínica e confirmado por histórico familiar ou teste genético. Indivíduos com menos de 26 repetições têm alelos normais, enquanto aqueles na faixa de 36 a 39 repetições apresentam penetrância reduzida, podendo ou não desenvolver a condição ao longo da vida. A prevalência mundial é de 4-10 casos por 100.000 habitantes, mas em regiões como Lago Maracaibo, na Venezuela, a taxa chega a 700/100.000.

No Brasil, clusters significativos foram identificados em estados como Ceará, Minas Gerais e Alagoas, indicando a importância de estudos epidemiológicos locais, ainda escassos(33, 34, 35).

O impacto clínico da DH é abrangente, afetando a qualidade de vida de pacientes e cuidadores. A coreia, sintoma motor mais característico, prejudica gravemente a independência e a capacidade de realizar atividades diárias, sendo apontada como prioritária para tratamento por 59% dos pacientes e 71% dos cuidadores. Além disso, sintomas como ansiedade, dificuldades para caminhar e abalos/tremores agravam o estado físico e emocional dos pacientes. Para os cuidadores, a perda de independência dos pacientes e o impacto nas interações sociais e familiares são desafios significativos. Embora medicamentos possam ajudar a controlar os movimentos involuntários, as terapias disponíveis ainda são limitadas, reforçando a necessidade de avanços na abordagem terapêutica(33).

No Brasil, a jornada do paciente com DH é marcada por barreiras no acesso ao diagnóstico precoce e a serviços especializados. O número de centros de tratamento terciários é insuficiente, e muitos carecem de equipes multidisciplinares adequadas, como fonoaudiólogos, fisioterapeutas e psicoterapeutas. Testes genéticos, essenciais para confirmação diagnóstica, estão disponíveis apenas em alguns centros. Isso reflete um cenário de desigualdade no cuidado, onde o encaminhamento, especialmente pelo SUS, é um processo longo e complexo. Melhorar a jornada do paciente, fortalecer os centros especializados e ampliar a oferta de testes genéticos são passos fundamentais para garantir um manejo mais eficaz e uma melhor qualidade de vida para os indivíduos afetados.

Conclusão

O 5º Simpósio de Doenças Raras destacou os avanços e desafios enfrentados por gestores, pesquisadores e profissionais de saúde no manejo dessas condições de alta complexidade. Ao longo do evento, ficou evidente a importância da integração entre inovação tecnológica, políticas públicas e colaboração internacional para superar as barreiras inerentes à baixa prevalência dessas doenças. Tecnologias como o sequenciamento genômico e o desenvolvimento de medicamentos órfãos foram amplamente discutidas, destacando seu impacto na aceleração do diagnóstico e na personalização dos tratamentos.

O papel das pesquisas clínicas foi enfatizado como um motor para inovação e sustentabilidade, permitindo o acesso precoce a terapias e reduzindo custos associados à “odisseia diagnóstica”. Protocolos de pesquisa em doenças raras também foram apresentados como ferramentas estratégicas para viabilizar colaborações globais e compartilhar dados, ampliando a representatividade e a robustez das análises clínicas. Ao mesmo tempo, a flexibilização de métricas tradicionais de custo-efetividade, como o QALY, foi apontada como necessária para refletir o valor real das terapias para doenças raras.

O Simpósio reforçou ainda a relevância da farmacoeconomia, propondo modelos adaptativos de avaliação que incorporem benefícios clínicos, econômicos e sociais, equilibrando custos com a sustentabilidade dos sistemas de saúde. Além disso, exemplos práticos, como o impacto econômico do uso de medicamentos órfãos no Brasil, demonstraram o potencial de abordagens inovadoras para otimizar recursos e ampliar o acesso a tratamentos. Em conclusão, o evento consolidou-se como um marco para a troca de conhecimentos e práticas bem-sucedidas, fortalecendo a base para a construção de um sistema de saúde mais equitativo e eficiente. Os insights compartilhados oferecem direções claras para enfrentar os desafios das doenças raras, promovendo avanços no cuidado aos pacientes e na sustentabilidade do setor.

Referências

1. Bodenheimer T. High and rising health care costs. Part 2: technologic innovation. *Annals of internal medicine*. 2005;142(11):932-7.
2. Ferreira CR. The burden of rare diseases. *American journal of medical genetics Part A*. 2019;179(6):885-92.
3. Luzzatto L, Hyry HI, Schieppati A, Costa E, Simoens S, Schaefer F, et al. Outrageous prices of orphan drugs: a call for collaboration. *The Lancet*. 2018;392(10149):791-4.
4. Sequeira AR, Mentzakis E, Archangelidi O, Paolucci F. The economic and health impact of rare diseases: A meta-analysis. *Health Policy and Technology*. 2021;10(1):32-44.
5. Boycott KM, Rath A, Chong JX, Hartley T, Alkuraya FS, Baynam G, et al. International Cooperation to Enable the Diagnosis of All Rare Genetic Diseases. *Am J Hum Genet*. 2017;100(5):695-705.
6. Boycott KM, Lau LP, Cutillo CM, Austin CP. International collaborative actions and transparency to understand, diagnose, and develop therapies for rare diseases. *EMBO Mol Med*. 2019;11(5).
7. Mascalzoni D, Paradiso A, Hansson M. Rare disease research: Breaking the privacy barrier. *Appl Transl Genom*. 2014;3(2):23-9.
8. Lagakos SW. Clinical trials and rare diseases. *New England Journal of Medicine*. 2003;348(24):2455-.
9. Gallin JI, Alling DW, Malech HL, Wesley R, Koziol D, Marciano B, et al. Itraconazole to prevent fungal infections in chronic granulomatous disease. *The New England journal of medicine*. 2003;348(24):2416-22.
10. Aartsma-Rus A, Vroom E, O'Reilly D. The Role of Patient Involvement When Developing Therapies. *Nucleic Acid Ther*. 2022;32(2):118-22.
11. Merkel PA, Manion M, Gopal-Srivastava R, Groft S, Jinnah HA, Robertson D, et al. The partnership of patient advocacy groups and clinical investigators in the rare diseases clinical research network. *Orphanet J Rare Dis*. 2016;11(1):66.
12. Falavigna M, Migliavaca C, Tanaka E, Santos M. Innovative mechanisms of pre-marketing authorization access for rare diseases in Brazil: a case study of pabinafusp-alfa for mucopolysaccharidosis type II. *Jornal Brasileiro de Economia da Saúde*. 2023;15(1):67-70.
13. Giugliani R, Martins AM, So S, Yamamoto T, Yamaoka M, Ikeda T, et al. Iduronate-2-sulfatase fused with anti-hTfR antibody, pabinafusp alfa, for MPS-II: A phase 2 trial in Brazil. *Mol Ther*. 2021;29(7):2378-86.
14. Okuyama T, Eto Y, Sakai N, Minami K, Yamamoto T, Sonoda H, et al. Iduronate-2-sulfatase with anti-human transferrin receptor antibody for neuropathic mucopolysaccharidosis II: a phase 1/2 trial. *Molecular Therapy*. 2019;27(2):456-64.
15. Villagelin D, Romaldini J, Andrade J, Santos R, Milkos A, Teixeira P, et al. Evaluation of Quality of Life in the Brazilian Graves' Disease Population: Focus on Mild and Moderate Graves' Orbitopathy Patients. *Front Endocrinol (Lausanne)*. 2019;10:192.
16. Kahaly GJ, Douglas RS, Holt RJ, Sile S, Smith TJ. Teprotumumab for patients with active thyroid eye disease: a pooled data analysis, subgroup analyses, and off-treatment follow-up results from two randomised, double-masked, placebo-controlled, multicentre trials. *Lancet Diabetes Endocrinol*. 2021;9(6):360-72.
17. Safety and efficacy of edaravone in well defined patients with amyotrophic lateral sclerosis: a randomised, double-blind, placebo-controlled trial. *Lancet Neurol*. 2017;16(7):505-12.

18. Yoshino H, Kimura A. Investigation of the therapeutic effects of edaravone, a free radical scavenger, on amyotrophic lateral sclerosis (Phase II study). *Amyotroph Lateral Scler.* 2006;7(4):241-5.
19. Hoegler K, John A, Handler M, Schwartz R. Generalized pustular psoriasis: a review and update on treatment. *Journal of the European Academy of Dermatology and Venereology.* 2018;32(10):1645-51.
20. Puig L, Fujita H, Thaçi D, Zheng M, Hernandez Daly AC, Leonardi C, et al. Current Treatments for Generalized Pustular Psoriasis: A Narrative Summary of a Systematic Literature Search. *Dermatology and Therapy.* 2024;14(9):2331-78.
21. Bachelez H, Choon S-E, Marrakchi S, Burden AD, Tsai T-F, Morita A, et al. Trial of spesolimab for generalized pustular psoriasis. *New England Journal of Medicine.* 2021;385(26):2431-40.
22. Avery RK, Alain S, Alexander BD, Blumberg EA, Chemaly RF, Cordonnier C, et al. Maribavir for Refractory Cytomegalovirus Infections With or Without Resistance Post-Transplant: Results From a Phase 3 Randomized Clinical Trial. *Clinical infectious diseases : an official publication of the Infectious Diseases Society of America.* 2022;75(4):690-701.
23. Bogaerts J, Sydes MR, Keat N, McConnell A, Benson A, Ho A, et al. Clinical trial designs for rare diseases: studies developed and discussed by the International Rare Cancers Initiative. *European journal of cancer (Oxford, England : 1990).* 2015;51(3):271-81.
24. Booth CM, Eisenhauer EA. Progression-free survival: meaningful or simply measurable? *Journal of clinical oncology : official journal of the American Society of Clinical Oncology.* 2012;30(10):1030-3.
25. Amir E, Seruga B, Kwong R, Tannock IF, Ocaña A. Poor correlation between progression-free and overall survival in modern clinical trials: are composite endpoints the answer? *European Journal of Cancer.* 2012;48(3):385-8.
26. Shah MA, Shitara K, Ajani JA, Bang Y-J, Enzinger P, Ilson D, et al. Zolbetuximab plus CAPOX in CLDN18. 2-positive gastric or gastroesophageal junction adenocarcinoma: the randomized, phase 3 GLOW trial. *Nature medicine.* 2023;29(8):2133-41.
27. Powell MA, Bjørge L, Willmott L, Novák Z, Black D, Gilbert L, et al. Overall survival in patients with endometrial cancer treated with dostarlimab plus carboplatin-paclitaxel in the randomized ENGOT-EN6/GOG-3031/RUBY trial. *Annals of oncology : official journal of the European Society for Medical Oncology.* 2024;35(8):728-38.
28. Duell J, Abrisqueta P, Andre M, Gaidano G, Gonzales-Barca E, Jurczak W, et al. Tafasitamab for patients with relapsed or refractory diffuse large B-cell lymphoma: final 5-year efficacy and safety findings in the phase II L-MIND study. *Haematologica.* 2023;109(2):553.
29. Qualls DA, Lambert N, Caimi PF, Merrill M, Pullarkat P, Godby RC, et al. Tafasitamab and lenalidomide in large B-cell lymphoma: real-world outcomes in a multicenter retrospective study. *Blood.* 2023;142(26):2327-31.
30. Alnefaie A, Albogami S, Asiri Y, Ahmad T, Alotaibi SS, Al-Sanea MM, et al. Chimeric antigen receptor T-cells: an overview of concepts, applications, limitations, and proposed solutions. *Frontiers in bioengineering and biotechnology.* 2022;10:797440.
31. Mugnaini EN, Ghosh N. Lymphoma. *Primary Care: Clinics in Office Practice.* 2016;43(4):661-75.
32. Westin JR, Oluwole OO, Kersten MJ, Miklos DB, Perales M-A, Ghobadi A, et al. Survival with axicabtagene ciloleucel in large B-cell lymphoma. *New England Journal of Medicine.* 2023;389(2):148-57.
33. Bates GP, Dorsey R, Gusella JF, Hayden MR, Kay C, Leavitt BR, et al. Huntington disease. *Nature reviews Disease primers.* 2015;1:15005.

34. Agostinho Lda, da Silva IdS, Maia LA, Azevedo MdA, Faria TMRdO, Apolinario TA, et al. A study of a geographical cluster of Huntington's disease in a Brazilian town of Zona da Mata, Minas Gerais State. *European neurology*. 2015;74(1-2):62-8.
35. Teixeira de Arruda Furtado LE, Furtado Carneiro SA, Cardoso dos Santos AC, Magalhaes SC, Cavalcante Filho M, Renan J, editors. *Geographic Clusters of Huntington's Disease in Northwestern Ceara: a Preliminary Analysis*. NEUROTHERAPEUTICS; 2020: SPRINGER ONE NEW YORK PLAZA, SUITE 4600, NEW YORK, NY, UNITED STATES.



MARCOS SANTOS

Médico Radio-Oncologista – GRUPO CONFIAR, Goiânia/GO
Especialista em Farmacoeconomia pela Université Paris-Descartes, Paris, França
Doutor em Bioética – Cátedra UNESCO de Bioética – Universidade de Brasília
Presidente da Sociedade Brasileira de Auditoria Médica – SBAM



Artigo

Custos do cuidado contínuo do câncer: impacto clínico e econômico na perspectiva de uma autogestão

Por João Paulo dos Reis Neto e Juliana Martinho Busch

INTRODUÇÃO

O câncer é uma das principais causas de morbidade e mortalidade em todo o mundo, sendo seu impacto clínico e financeiro um grande desafio para todas as áreas envolvidas no cuidado com o paciente. Estimativas indicam que devido ao crescimento e envelhecimento populacional, haverá um aumento de 66% no número de novos casos e de 81% nas mortes por câncer no Brasil entre 2020 e 2040. A estimativa do INCA é que entre 2023-2025 a média anual de casos de câncer será de 704 mil/ano (1). Já o impacto financeiro com os gastos referentes ao tratamento de neoplasias no Sistema Único de Saúde (SUS) foi de R\$ 4 bilhões em 2022, representando 3% dos recursos totais destinados à saúde no país. Esse valor inclui os procedimentos ambulatoriais, internações e cirurgias. Na saúde suplementar, o cenário não é diferente, onde os gastos com oncologia representam em média 6% dos recursos assistenciais. Ao melhorar a jornada do paciente, realizando diagnósticos precoces, promovendo programas de promoção a saúde e rastreamento, assim como ampliando o acesso de forma mais assertiva às novas terapias, podemos reduzir os custos e tornar o sistema mais eficiente ao alocar os recursos corretamente.

OBJETIVOS

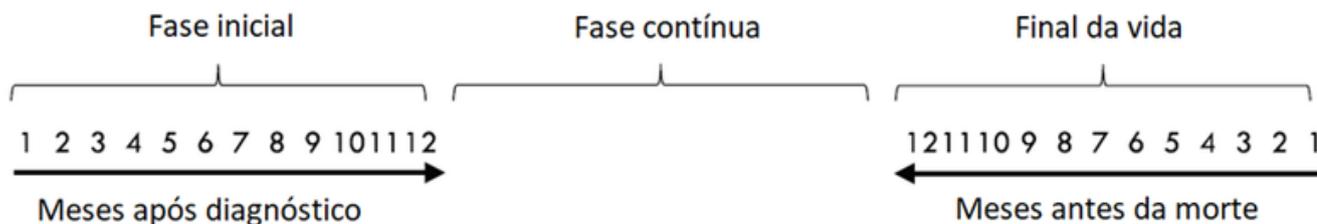
Este estudo tem como objetivo analisar os pagamentos da operadora de plano de saúde, modalidade autogestão, durante toda a jornada de tratamento oncológico para os 10 tipos de neoplasias malignas mais comuns, e examinar a variação nas despesas de acordo com as características do paciente e o tipo de câncer.

MÉTODOS

Estudo retrospectivo não intervencionista usando banco de dados administrativo da base populacional do plano de saúde para identificar pacientes de 35 a 99 anos com diagnóstico, a partir de janeiro de 2019 até dezembro de 2022, de um dos seguintes cânceres: mama, próstata, cólon, reto, pulmão, mieloma, ovário, bexiga, pâncreas e estômago.

Atribuimos os pagamentos de cada paciente a uma das três fases do tratamento do câncer (Figura 1), com base no tempo desde o diagnóstico até a morte, ou o intervalo do final do estudo: a) fase inicial (primeiros 12 meses após o diagnóstico); b) fase contínua (período variável de meses entre o período inicial e o final da vida); c) fim da vida (últimos 12 meses de vida). Os pagamentos de todos os sinistros atribuíveis ao câncer primário e os custos gerais de acordo com as fases foram detalhados para os diferentes tipos de câncer e distribuídos ao longo dos anos em que foram diagnosticados.

Figura 1 – Fases do tratamento do câncer



Estatísticas descritivas foram utilizadas para resumir os resultados. As variáveis contínuas são apresentadas como médias e erro padrão da média. As variáveis categóricas foram apresentadas em valores percentuais. Testes bilaterais (qui-quadrado e exato de Fisher para medidas categóricas e testes t de Student para medidas contínuas) foram utilizados para comparações. Todos os testes estatísticos utilizados neste trabalho foram bicaudais. A significância estatística foi considerada para $p < 0,05$ e os cálculos utilizaram o software Jamovi (versão 2.5.3). DP = desvio padrão.

RESULTADOS

Foram estudados 543 pacientes (Figura 2) com diagnóstico de uma das neoplasias estudadas. Os custos médios anuais por paciente foram mais elevados no último ano de vida, seguidos pelas fases inicial e contínua de tratamento, assim distribuídos, respectivamente: a) serviços médicos: R\$ 198.226, R\$ 50.578, R\$ 33.966; b) medicamentos prescritos: R\$ 131.044, R\$ 112.905, e R\$ 88.429.

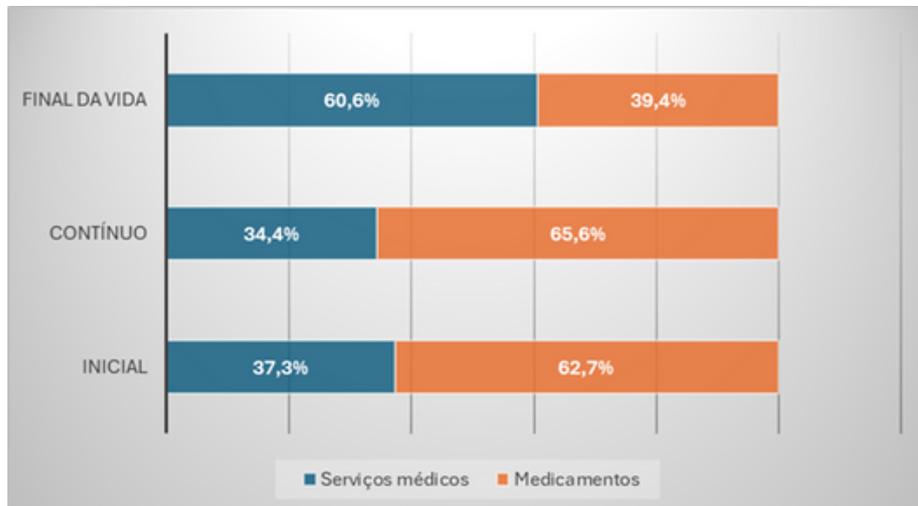
Figura 2 – Distribuição por sexo e média de idade



50,3% mulheres, média idade 69 anos (DP 12,7)
49,7% homens, média idade 75 anos (DP 10,4)

No último ano de vida, observamos diferença no padrão de gastos, predominando os serviços médicos em detrimento dos gastos com medicamentos (Figura 3), que costumam ser os mais elevados no tratamento do câncer.

Figura 3 – Proporção de despesas por tipo de despesa e fase do cuidado



Quando considerada a localização primária do câncer, observamos variação considerável dos custos (Figura 4), chamando atenção o tratamento do câncer de pulmão e brônquios, assim como do mieloma onde observamos avanços recentes nas tecnologias disponíveis e que foram incorporadas no rol da ANS.

Figura 4 – Custo médio (em Real), por paciente/ano, 2019-2022, por localização e fase do cuidado

Localização	Período inicial	Período contínuo	Final da vida	Total
Bexiga	87.338	21.819	294.745	403.901
Mama	141.737	78.122	277.389	497.248
Cólon e reto	163.293	90.866	223.328	477.487
Pulmão e brônquios	373.634	268.589	459.289	1.101.512
Mieloma	340.106	177.058	488.801	1.005.965
Ovário	221.718	187.086	294.539	703.343
Pâncreas	187.064	96.979	210.842	494.885
Próstata	79.195	66.027	218.189	363.411
Estômago	212.333	226.629	344.378	783.340

Os custos médios variaram por estágio da doença em todas as fases do cuidado, sobretudo nos estadiamento III e IV, que representaram o maior gasto anual para todos os tipos de câncer (Figura 5).

Figura 5 – Custo médio (em Real), por paciente/ano, 2019-2022, por estadiamento da doença (TNM) e fase do cuidado

Estadiamento da doença	Período inicial	Período contínuo	Final da vida	Total
Estadiamentos precoces (I/II)	158.317	114.265	408.331	680.913
Estadiamentos tardios (III/IV)	189.070	180.100	417.138	786.309

Com relação ao comportamento dos custos médios anuais por ano de início do tratamento (Figura 6), verificamos um aumento significativo das despesas por beneficiário tratado, que variou 52,7% desde o início do estudo até o final ($p < 0,001$). Cabe ressaltar, que por conta da pandemia pelo coronavírus, o comportamento dos custos em 2020 foi impactado de forma significativa.

Figura 6 – Custo médio (em Real), por paciente/ano, 2019-2022, por ano de início do tratamento e fase do cuidado

Ano de início do tratamento	Período inicial	Período contínuo	Final da vida	Total
2019	163.953	152.057	293.327	609.337
2020	150.851	77.664	223.425	451.939
2021	177.642	107.152	529.566	814.361
2022	162.513	97.776	670.167	930.456

CONCLUSÕES

Apesar de necessárias, são ainda escassas informações fidedignas de custos da saúde suplementar para os diferentes tipos de câncer, a fim de subsidiar os gestores nas discussões sobre os recursos financeiros necessários para o planejamento e custeio das despesas assistenciais crescentes do tratamento das neoplasias.

Em nossa casuística, o custo variou significativamente com base em diversos fatores relacionados às características dos pacientes, como por exemplo, tipo do câncer, estadiamento e o tipo de tratamento atribuído para cada fase específica (imunoterapia, cirurgia, quimioterapia, radioterapia, outros). Comorbidades, assim como fatores de risco modificáveis e/ou genéticos, idade, raça, adesão ao tratamento proposto, podem influenciar fortemente na distribuição do consumo de recursos financeiros no cuidado contínuo do câncer.

Somente compreendendo melhor as causas de tais variações de pagamento entre pacientes, poderemos oferecer linhas de cuidado inovadoras mais adequadas e eficazes, que resultarão na otimização do custeio, expansão do acesso a novas tecnologias e aumento da qualidade, reduzindo assim o fardo do tratamento do câncer.

REFERÊNCIAS

1 – Instituto Nacional de Câncer. Gastos federais atuais e futuros com os cânceres atribuíveis aos fatores de risco relacionados à alimentação, nutrição e atividade física no Brasil / Instituto Nacional de Câncer. – Rio de Janeiro: INCA, 2022.

2- GBD 2016 Brazil Collaborators. Burden of disease in Brazil, 1990-2016: a systematic subnational analysis for the Global Burden of Disease Study 2016. *Lancet*. 2018 Sep 1;392(10149):760-775. doi: 10.1016/S0140-6736(18)31221-2. Epub 2018 Jul 20. PMID: 30037735; PMCID: PMC6123514.

3- Pisu M, Henrikson NB, Banegas MP, Yabroff KR. Costs of cancer along the care continuum: What we can expect based on recent literature. *Cancer*. 2018 Nov 1;124(21):4181-4191. doi: 10.1002/cncr.31643. Epub 2018 Oct 17. PMID: 30475400.

4- Kaye DR, Min HS, Herrel LA, Dupree JM, Ellimoottil C, Miller DC. Costs of Cancer Care Across the Disease Continuum. *Oncologist*. 2018 Jul;23(7):798-805. doi: 10.1634/theoncologist.2017-0481. Epub 2018 Mar 22. PMID: 29567821; PMCID: PMC6058326.

REFERÊNCIAS

1 – Instituto Nacional de Câncer. Gastos federais atuais e futuros com os cânceres atribuíveis aos fatores de risco relacionados à alimentação, nutrição e atividade física no Brasil / Instituto Nacional de Câncer. – Rio de Janeiro: INCA, 2022.

2- GBD 2016 Brazil Collaborators. Burden of disease in Brazil, 1990-2016: a systematic subnational analysis for the Global Burden of Disease Study 2016. Lancet. 2018 Sep 1;392(10149):760-775. doi: 10.1016/S0140-6736(18)31221-2. Epub 2018 Jul 20. PMID: 30037735; PMCID: PMC6123514.

3- Pisu M, Henrikson NB, Banegas MP, Yabroff KR. Costs of cancer along the care continuum: What we can expect based on recent literature. Cancer. 2018 Nov 1;124(21):4181-4191. doi: 10.1002/cncr.31643. Epub 2018 Oct 17. PMID: 30475400.

4- Kaye DR, Min HS, Herrel LA, Dupree JM, Ellimoottil C, Miller DC. Costs of Cancer Care Across the Disease Continuum. Oncologist. 2018 Jul;23(7):798-805. doi: 10.1634/theoncologist.2017-0481. Epub 2018 Mar 22. PMID: 29567821; PMCID: PMC6058326.

**JOÃO PAULO DOS REIS NETO**

Médico e Executivo em Gestão em Saúde Suplementar

Presidente da CAPESESP

Ex-Vice-Presidente da UNIDAS Nacional

Ex-professor de MBA em Auditoria

Sócio Diretor Analysis Auditoria e Consultoria e da Mobile Saúde

Publisher do JBAS



Artigo

Transformando cuidados de pacientes com diabetes mellitus tipo 1: resultados de um projeto piloto de remuneração baseado em valor

CASU/UFMG

Esse trabalho, desenvolvido no âmbito da **CASU/UFMG**, filiada da UNIDAS, tem a autoria de Luíza Rodrigues, Wesley Nunes e Marina Mendes Nogueira Rodrigues, obtendo o **primeiro lugar no Prêmio Saúde Unidas 2024**

Introdução

Uma operadora de saúde de autogestão em parceria com um de seus prestadores, desenvolveu o projeto piloto “PROGRAMA INTEGRAR DIABETES”, para o cuidado integrado do paciente com Diabetes Mellitus tipo 1 (DM1). Este projeto foi classificado entre os 16 melhores na categoria médico- hospitalar no programa de Remuneração Baseada em Valor da Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS), sendo um dos dois únicos projetos do segmento de autogestão classificados. A seleção do Programa pela ANS gerou uma melhoria na nota da operadora no Índice de Desempenho da Saúde Suplementar (IDSS), ano base 2023.

O modelo de remuneração escolhido foi o fee for service (FFS) com bônus por performance (FFS + P4P) que estabelece metas de desempenho e assistenciais pautadas em valor. Esse modelo é coerente com práticas sustentáveis para o financiamento da saúde suplementar, recompensando o prestador de serviço mediante o alcance das metas pactuadas.

As principais premissas do programa incluem a prestação de serviços de alta qualidade, a melhoria da experiência do paciente, a obtenção de melhores desfechos clínicos e a gestão eficiente dos recursos. As ferramentas essenciais utilizadas foram: cuidados médicos coordenados, equipe multiprofissional dedicada e educação contínua para o autocuidado (Figura 1).



Figura 1: Principais Ferramentas do Programa Integrar Diabetes

Objetivos

O programa tem como objetivo gerar valor para os beneficiários, prestadores e operadora, por meio de uma assistência centrada no paciente, integrando cuidados multiprofissionais e reduzindo o uso inadequado de recursos. Em curto prazo, o programa visou promover o rastreamento adequado das complicações do diabetes e seu tratamento oportuno, orientar e estimular o autocuidado, melhorar a alimentação com apoio de nutricionistas, incentivar a prática de exercícios físicos com educadores físicos, promover a saúde mental com acompanhamento psicológico e coordenar cuidados médicos, para potencializar a qualidade da assistência e reduzir desperdícios, gerando incentivo financeiro para a equipe multiprofissional que alcançasse os objetivos assistenciais. Em longo prazo, o programa busca melhorar o tratamento das pessoas com DM1, garantir melhor controle da glicemia, reduzir morbidades associadas, evitar admissões em serviços de urgência e internações hospitalares por descompensação do diabetes e reduzir a mortalidade. Esses objetivos serão alcançados através da implementação das ações coordenadas e integradas de uma abordagem centrada no paciente e orientada por diretrizes clínicas baseadas em evidências.

Métodos

Foram pactuados inicialmente 16 indicadores relacionados a: controle clínico da doença, prevenção e rastreamento de complicações do DM1 e de comorbidades, adesão ao plano terapêutico (incluindo frequência adequada aos atendimentos multiprofissionais) e participação e aproveitamento no programa de educação em diabetes. Diante da importância de mensurar a experiência do beneficiário com os serviços prestados no programa, dado que essa avaliação é de fundamental importância para o aprimoramento da saúde suplementar, neste projeto usamos como métrica o Net Promoter Score – NPS para avaliar a experiência do paciente com a equipe multiprofissional.

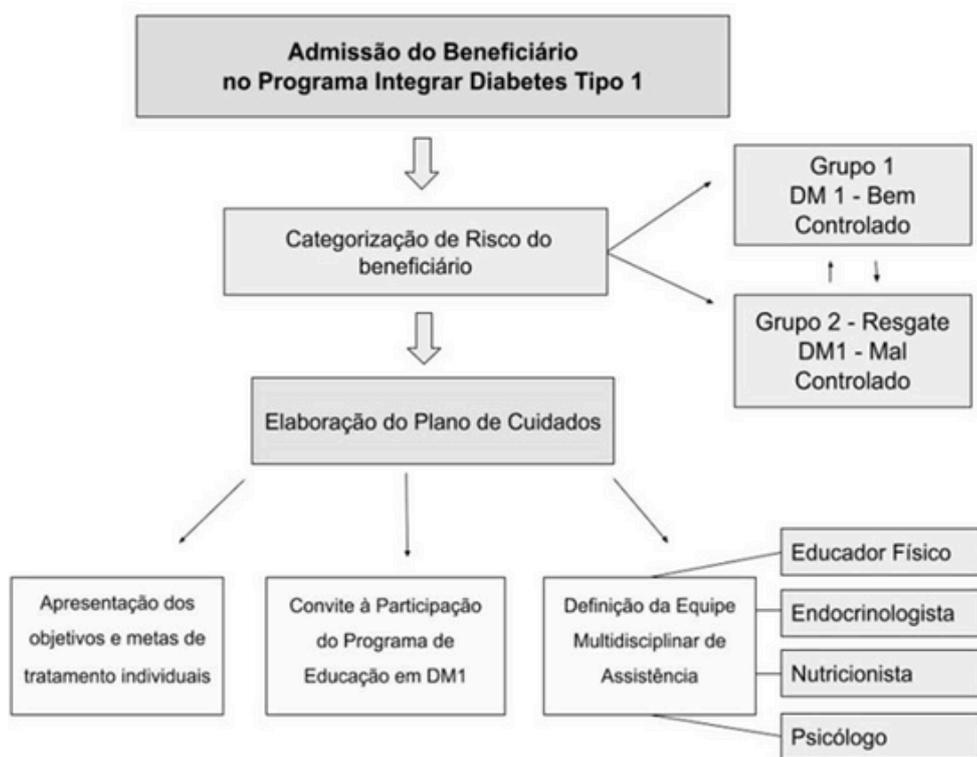


Figura 2: Percurso Assistencial do Beneficiário Programa Integrar Diabetes

O programa contou com um número mínimo de consultas com endocrinologista (coordenadora da linha de cuidado), nutricionistas, educadora física e psicóloga, além de exames laboratoriais complementares necessários. O curso de educação em saúde, ministrado por educadoras especializadas em diabetes, foi realizado em sete encontros presenciais de quatro horas cada. Os encontros ofereceram aos beneficiários ferramentas ativas para o aprendizado sobre aspectos essenciais à gestão de sua doença, incluindo aspectos médicos gerais, impactos psicológicos do adoecimento crônico e orientações sobre alimentação e atividade física para pessoas com DM1. Os participantes receberam incentivos para sua adesão e participação no programa, em forma de isenção de coparticipação em consultas (para todos) e do recebimento de um sensor eletrônico implantável para monitorização contínua e automática da glicose (mediante critérios). Todos os processos foram monitorados por indicadores específicos, avaliados em 6 e 12 meses do início do programa.

Resultados

O projeto piloto contou com 12 participantes que assinaram o termo de adesão ao programa. No acompanhamento semestral e anual dos indicadores relacionados à evolução dos associados inscritos no programa, dos 17 indicadores monitorados, 13 alcançaram suas metas pactuadas, resultando em pagamentos de bônus às profissionais da saúde.

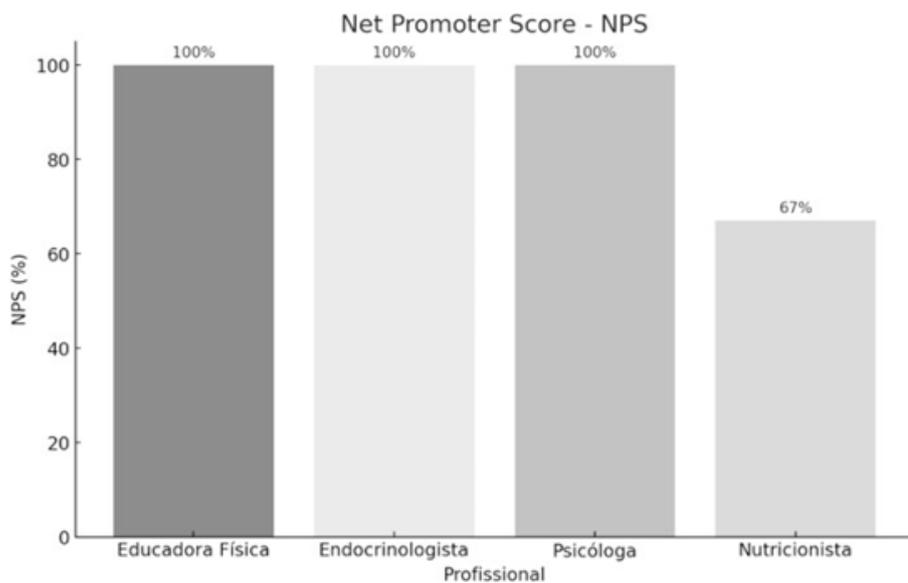


Figura 3: NPS médio atribuído aos profissionais da equipe.

Foi avaliada a experiência do beneficiário com cada profissional, tendo sido apurado um NPS médio global da equipe de 92%, que é considerada uma pontuação de excelência. A Figura 3 ilustra o NPS médio por profissional, demonstrando uma satisfação média menor que 100% com somente um profissional da equipe.

Um dos indicadores clínicos avaliados de forma exploratória foi a variação da hemoglobina glicada média. Os resultados mostraram que, mesmo no curto período de acompanhamento do programa, a glicada média do grupo reduziu discretamente, de 8,2% no início do programa, para 7,95% após o programa (redução média de 0,25%). Na análise dos pacientes individuais (Figura 4), houve uma melhora clinicamente relevante em 33,3% dos pacientes, em 41,6% dos casos houve uma redução da hemoglobina glicada menor que 0,5% e nos 25% restantes dos pacientes houve um aumento médio menor ou igual a 0,5% na HbA1c, demonstrando que não houve piora clinicamente relevante da HbA1c em nenhum paciente.

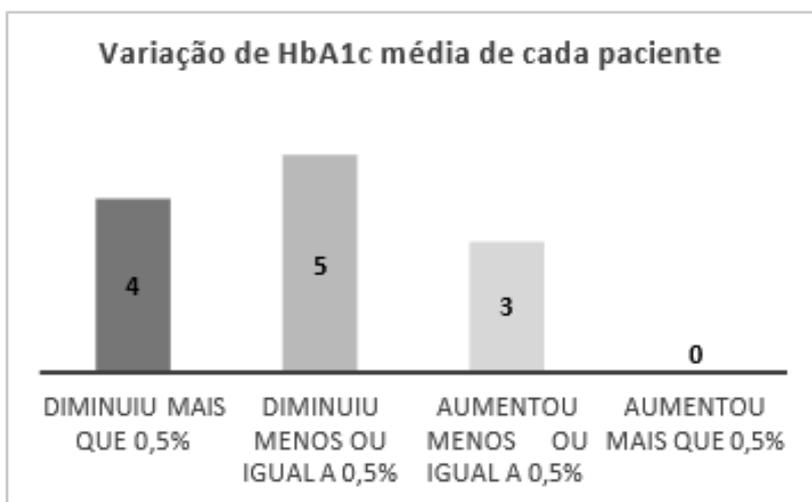


Figura 4: Número de pacientes que tiveram variação da HbA1c maior que 0,5% ou menor ou igual a 0,5%, para mais ou para menos, comparando-se os períodos antes e depois do programa.

Da perspectiva econômica, não foi possível realizar uma análise formal de custo-efetividade (ACE), pois a duração do projeto piloto foi de 12 meses e ainda não há dados suficientes de medidas de desfecho (mortalidade, complicações ou qualidade de vida) ou de utilidade (Anos de Vida Ajustados para Qualidade – AVAQ ou Anos de Vida Ajustados para Incapacidade – AVAI), uma vez que o DM1 é uma doença crônica. No contexto de curto prazo de um programa piloto, o investimento total de cerca de R\$ 40.000,00 (menos de R\$ 300,00 por mês, por participante) foi considerado pequeno em comparação aos benefícios significativos gerados na assistência. Mesmo com um período curto de acompanhamento, o levantamento interno dos dados de utilização demonstrou uma discreta redução na utilização dos serviços de saúde fora do programa pelos pacientes inscritos, comparado aos dados destes mesmos pacientes nos 12 meses anteriores ao programa. Esse desfecho, associado à alta eficácia da educação em saúde e da avaliação excelente da experiência do paciente, sugerem que o investimento no programa tem alta probabilidade de ser custo-efetivo em médio e longo prazo.

Conclusão

O PROGRAMA INTEGRAR DIABETES demonstrou ser uma iniciativa eficaz, proporcionando benefícios clínicos significativos e uma boa relação custo-benefício. A classificação do projeto entre os melhores pela ANS reflete seu potencial inovador e seu impacto positivo na saúde dos pacientes com DM1. A parceria entre a operadora e o prestador conseguiu integrar cuidados médicos e educação para o autocuidado de forma eficaz, melhorando a qualidade de vida dos participantes e demonstrando a viabilidade de um modelo de remuneração baseado em valor. O sucesso do programa piloto sugere que a expansão e continuidade dessa abordagem podem oferecer ainda mais benefícios em longo prazo, estabelecendo um novo padrão de cuidado para pessoas com diabetes.



Artigo

Programa de consultas na atenção à saúde do idoso

EVIDA – ASSISTÊNCIA À SAÚDE

Esse trabalho, desenvolvido no âmbito da **EVIDA – ASSISTÊNCIA À SAÚDE**, filiada da UNIDAS, tem a autoria de Ellen Cristina Brito de Oliveira, Tatyane de Camargo Aranha Borges e Nayane Nunes Pacheco, obtendo o **segundo lugar no Prêmio Saúde Unidas 2024**

Introdução

O envelhecimento populacional é um fenômeno global, o aumento da expectativa de vida e a diminuição das taxas de natalidade resultaram em uma proporção crescente de idosos na população brasileira. Este cenário impõe desafios significativos para os sistemas de saúde, que precisam se adaptar para atender às necessidades específicas dessa faixa etária. A atenção à saúde do idoso é, portanto, uma prioridade emergente nas políticas de saúde pública.

De acordo com o Instituto Brasileiro de Geografia e Estatística – IBGE, a população idosa no Brasil tem crescido rapidamente. Em 2020, aproximadamente 14,7% da população brasileira tinha 60 anos ou mais, e a previsão é de que essa proporção aumente para cerca de 25,5% até 2060. Esse aumento substancial destaca a urgência de desenvolver e implementar políticas de saúde eficazes e sustentáveis para os idosos. Os idosos apresentam características e necessidades de saúde distintas das populações mais jovens. As doenças crônicas não transmissíveis – DCNTs, como hipertensão, diabetes, doenças cardiovasculares e demências, são mais prevalentes entre os idosos e frequentemente coexistem, resultando em uma maior complexidade no manejo clínico. Além disso, a fragilidade física e a diminuição da capacidade funcional aumentam a vulnerabilidade dos idosos a quedas, hospitalizações e complicações de saúde.

Com o intuito de antecipar o cuidado e evitar o agravamento da saúde do idoso, foi desenvolvido um programa de consultas na sede da operadora em Brasília – DF. Este programa se alinha aos princípios da Atenção Primária à Saúde – APS, incluindo acesso facilitado (porta de entrada), integralidade, acompanhamento contínuo, promoção da saúde, prevenção de doenças e coordenação do cuidado. Segundo dados da Agência Nacional de Saúde Suplementar – ANS, atualmente o percentual de idosos da carteira desta operadora representa 25,3%, um percentual que se encontra dentro dos padrões em comparação à média da modalidade, que é de 27,5%, e ao setor, que é de 15%.

No início da implantação do programa, outubro de 2022, o total de beneficiários com idade acima de 59 anos era de 4.884 beneficiários, sendo que o grupo de idosos da localidade de Brasília apresentava 2.151 beneficiários, divididos entre gênero feminino e masculino, com 1.552 e 999 pessoas respectivamente. Utilizando estrutura própria com consultórios preparados, negociamos com um médico especializado em saúde do idoso e psicogeriatría para realizar atendimentos todas as quartas-feiras, das 8h às 11h30 com consultas de 30 minutos para cada beneficiário e com a isenção de cobrança de coparticipação. Como a operadora já possui uma equipe formada do setor de Promoção à Saúde e Prevenção de doenças – PROMOPREV, composta por gerente, enfermeira, assistente social e estagiário de enfermagem, esses profissionais passariam a atuar juntamente com o médico.

As divulgações e captações via contato telefônico começaram e o programa de consultas iniciou seus atendimentos no dia 05 de outubro de 2022.

A jornada de atendimento do programa de consultas é estruturada para proporcionar um cuidado eficiente e acolhedor aos beneficiários. Inicia-se com a divulgação do programa, onde o beneficiário recebe informações sobre o programa e um telefone de contato para agendamento da consulta. Adicionalmente, é realizado um processo de captação ativa por meio de contato telefônico.

Um dia antes da consulta, o beneficiário recebe uma mensagem de confirmação, garantindo a efetivação do agendamento. Ao chegar na sede da operadora, o beneficiário é recepcionado por um estagiário, responsável pela triagem inicial que inclui a verificação dos sinais vitais. Em seguida, o beneficiário é encaminhado para o médico especialista para o atendimento propriamente dito.

Após a consulta, o beneficiário retorna ao estagiário, que oferece orientações detalhadas sobre os exames solicitados pelo médico. Além disso, o estagiário auxilia o beneficiário na navegação pela rede credenciada, facilitando o acesso às especialidades médicas e exames complementares necessários. O programa visa não apenas proporcionar cuidado médico qualificado, mas também garantir uma experiência de atendimento humanizado e eficaz ao beneficiário, promovendo sua saúde de maneira abrangente e personalizada.

Para os beneficiários que residem em outras localidades, os colaboradores da operadora – pólos regionais, realizam contato telefônico para orientação da importância das consultas de rotina e indicam o serviço disponível de telemedicina.

Objetivos

Objetivo geral:

Oferecer aos beneficiários de Brasília acima de 59 anos, consultas médicas com especialista em saúde do idoso.

Objetivos específicos:

1. Proporcionar comodidade, acolhimento e atendimento humanizado aos beneficiários da operadora;
2. Oferecer atenção à saúde de forma personalizada e qualificada, com foco na prevenção, detecção precoce e controle do agravamento de doenças;
3. Oferecer ao beneficiário um médico de referência;
4. Fortalecer o vínculo entre o beneficiário e o médico especialista, contribuindo assim para o aumento da nota do Índice de Desempenho das operadoras – IDSS.

Métodos

Pesquisa documental

Análise de documentos sobre o programa, incluindo relatórios de implantação, estatísticas de uso e depoimentos dos beneficiários.

- Análise de dados quantitativos

Coleta e análise de dados sobre o número de consultas realizadas, frequência de uso pelos beneficiários e indicadores de relatório de utilização na rede prestadora antes e após a implementação do programa.

Resultados

Perfil de beneficiários participantes do programa

Com mais de dois anos de operação, o programa realizou 652 agendamentos, 586 consultas realizadas.

Com 142 beneficiários participantes fidelizados, com mais de 2 consultas realizadas, média de 70 anos de idade, 52% de beneficiários do sexo masculino e 48% do sexo feminino.

Adesão e uso do programa

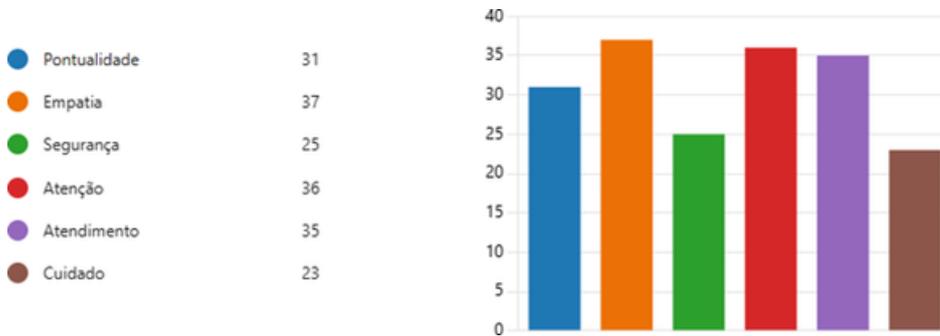
O médico especialista do idoso, é o mesmo profissional desde o início da operação, reforçando assim a fidelização e vínculo entre médico e beneficiário.

- Os dados iniciais indicam uma crescente adesão dos idosos ao programa, com um aumento constante no número de consultas semanais no ano de 2023.

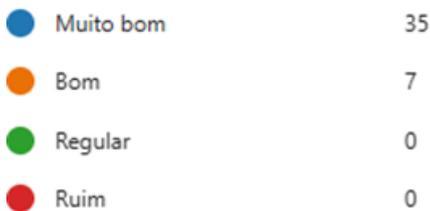
Indicadores de satisfação

Dados da pesquisa de satisfação

O que mais gostou no atendimento? (se desejar, pode marcar mais de uma opção)



Avalie as instalações da operadora (acessibilidade, consultórios e sala de espera)



Em pesquisa de satisfação realizada, em uma escala de 1 a 5, os beneficiários atribuíram nota de 4,93 em relação ao atendimento médico.

Estudo financeiro

Análise grupo de participantes – Custo de utilização antes e pós programa Período pré programa – julho de 2021 a setembro 2022

Período pós programa – outubro 2022 a dezembro de 2023 Beneficiários participantes – 215.

Tabela: Beneficiários acompanhados com mais de 02 consultas realizadas no programa

Análise de consumo de 15 meses pré e pós programa

Nº de beneficiários acompanhados: 142	Consumo Pré		Consumo Pós		% Redução de eventos
	07/21 a 09/22		10/22 a 12/23		
	Eventos Pré	Custo Pré	Eventos Pós	Custo Pós	
	65.770	R\$ 8.346.195,19	35.822	R\$ 5.217.015,12	54%
Custo evitado	R\$ 3.129.180,07				

*Eventos pré: Guias faturadas antes do programa

*Eventos pós: Guias faturadas pós programa

Conclusão

O programa de consultas representa uma iniciativa crucial da operadora para fornecer atenção à saúde dos idosos. A oportunidade de oferecer consultas com especialista em saúde do idoso, fidelizado e com um tempo ideal para cada consulta, permite que o profissional pratique uma escuta qualitativa, oferecendo um cuidado centrado no paciente. Isso possibilita uma assistência mais adequada diante da fragmentação da saúde por especialidades, resultando em uma consequentemente fidelização e redução dos custos assistenciais da carteira.

Os resultados apresentados demonstram indicadores satisfatórios do programa, contribuindo para a saúde e qualidade de vida dos beneficiários e, consequentemente aumentando a sustentabilidade da operadora e a crescente na nota do IDSS na dimensão 1 – Qualidade em Atenção à Saúde.



Artigo

Estratégia de monitoramento no enfrentamento da epidemia de dengue e outras arboviroses em 2024

ABERTTA SAÚDE

Esse trabalho, desenvolvido no âmbito da **ABERTTA SAÚDE – ASSOCIAÇÃO BENEFICENTE DOS EMPREGADOS DA ARCELORMITTAL NO BRASIL**, filiada da UNIDAS, tem a autoria de Luana Carolina Soares e Souza, Ana Paula Pinto Ribeiro e Gabriela Carolina Miranda Silva, obtendo o **terceiro lugar no Prêmio Saúde Unidas 2024**

Introdução

A dengue, uma doença viral transmitida pelo mosquito *Aedes aegypti*, continua a ser um grave problema de saúde pública em muitas regiões do mundo. Caracterizada por sintomas como febre alta, dores musculares e articulares intensas, além de complicações hemorrágicas em casos graves, a dengue afeta milhões de pessoas anualmente, causando um impacto significativo nos sistemas de saúde e na economia de diversos países. A Organização Mundial da Saúde (OMS) classifica a dengue como uma das doenças tropicais mais importantes e de rápida disseminação, destacando a necessidade de intervenções eficazes para seu controle. Em 2024, a disseminação da doença atingiu níveis alarmantes, exigindo a implementação de estratégias eficazes de monitoramento e controle.

Trata-se de uma associação dedicada ao cuidado da saúde dos empregados e dependentes de um grande grupo econômico no Brasil, que conta, atualmente, com 15 Centros de Promoção da Saúde distribuídos nos Estados de Minas Gerais, São Paulo, Bahia e Rio de Janeiro e uma extensa rede credenciada em todos os níveis de atendimento à saúde. Adota um modelo de atenção baseado na gestão de saúde populacional visando assegurar assistência integral, com ênfase na promoção da saúde e na prevenção de riscos e doenças, alinhando-se perfeitamente às necessidades de enfrentamento da epidemia de dengue.

Objetivo

Este artigo apresenta a estratégia de monitoramento desenvolvida por uma autogestão de saúde, em resposta à epidemia de dengue em 2024, destacando o papel de importantes ferramentas tecnológicas e os resultados obtidos na adaptação das ações de saúde de acordo com a evolução dos casos.

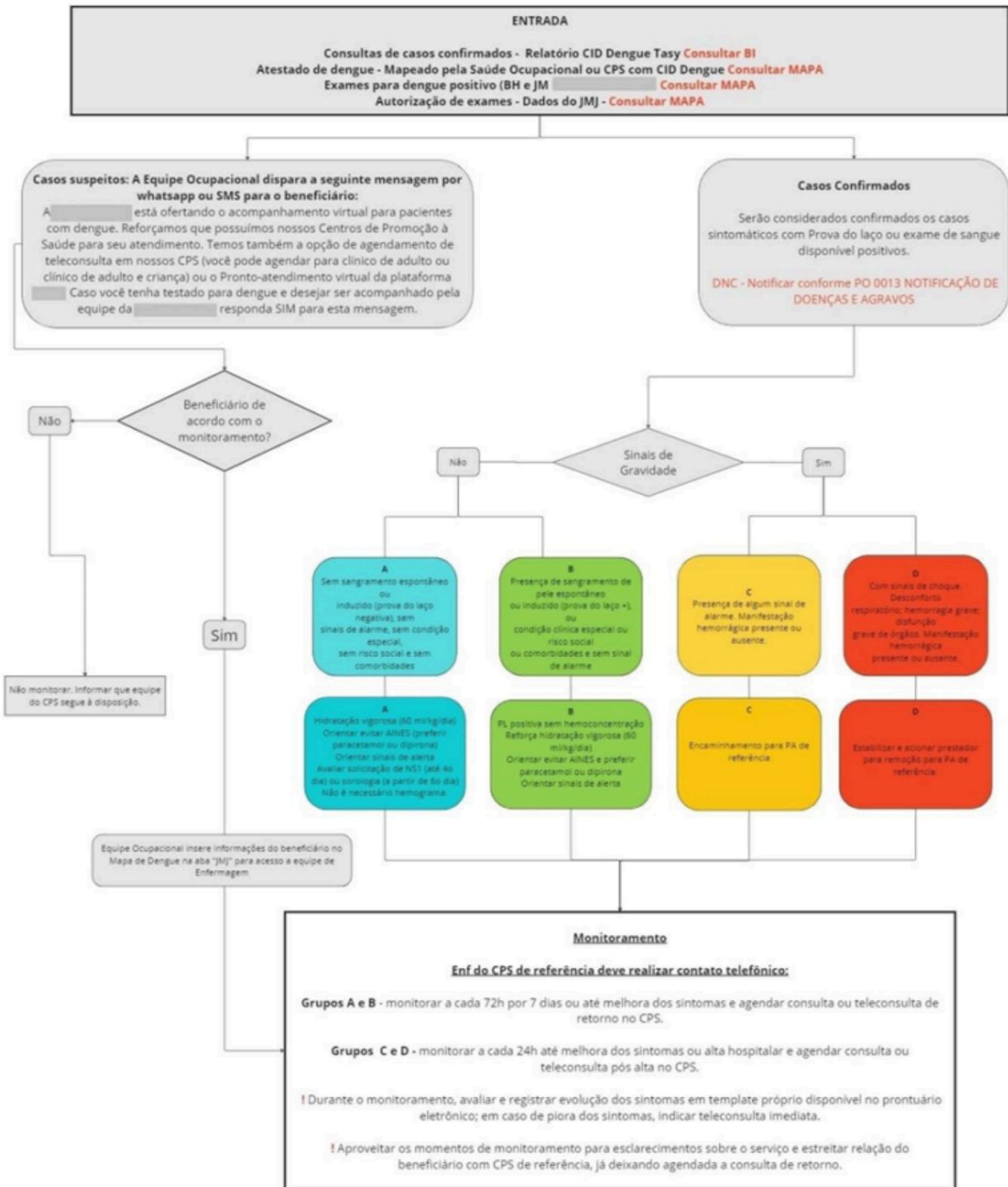
Estruturação da Vigilância Epidemiológica

Para enfrentar a epidemia de dengue em 2024, referida autogestão organizou frentes prioritárias incluindo: educação e conscientização, acesso facilitado aos serviços de saúde, adequação da infraestrutura e recursos, vigilância de casos críticos, imunização, monitoramento epidemiológico e consolidação de protocolos assistenciais.

Inicialmente, a vigilância epidemiológica foi estruturada com a elaboração e divulgação de fluxograma detalhando as etapas para monitoramento telefônico e registro de dados de saúde dos pacientes infectados por Dengue mapeados através de consultas nos Centros de Promoção da Saúde (CPS), guias de internação e de exames próprias e provenientes da rede credenciada e de dados recebidos através da Saúde Ocupacional com CID dengue e outras arboviroses. Os pacientes foram classificados em grupos (A, B, C, D) de acordo com o quadro clínico. A frequência do monitoramento variou conforme a classificação do paciente e a evolução da quantidade de casos por região, sendo priorizados os casos dos grupos C e D, que são os casos com maior potencial de gravidade.

Fluxograma 1 – Monitoramento de Casos de Dengue durante Epidemia de 2024

Fluxograma para Monitoramento de casos confirmados de Dengue

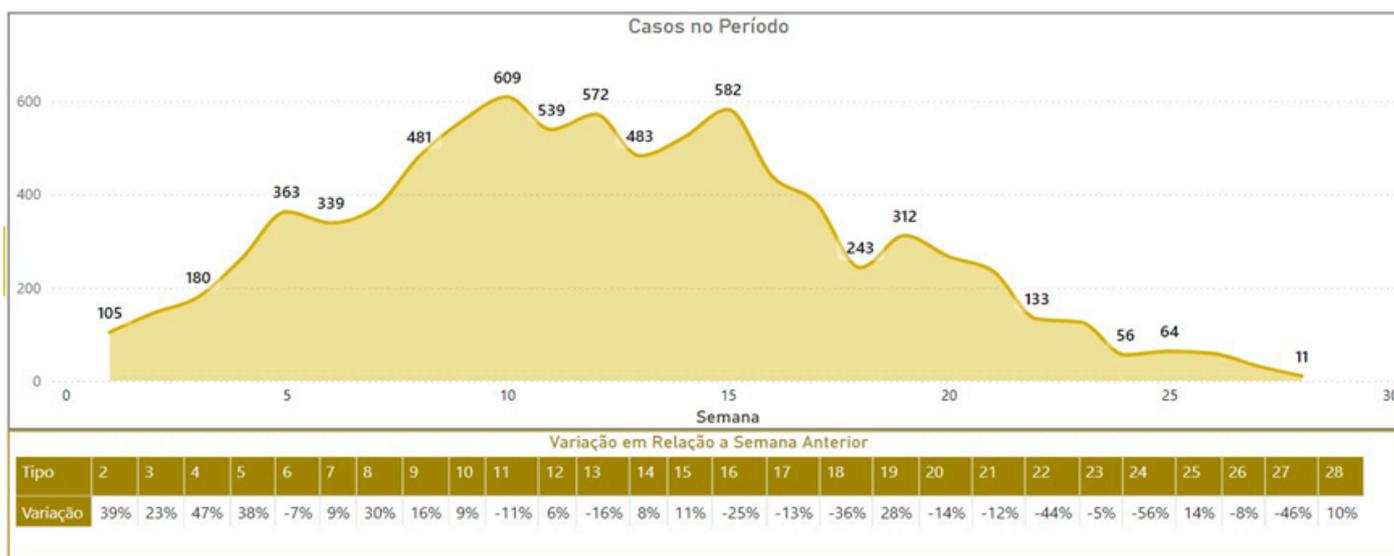


Referências: Ministério da Saúde. (2023). Fluxograma do Manejo Clínico da Dengue. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/visa/resposta-a-emergencias/areas/atividades/subatividades/fluxograma-do-manejo-clinico-da-dengue.pdf?view>. Acesso em: 17.01.2024

Para facilitar a gestão da informação e tomada de decisões, foi implantado um sistema integrado de dados e desenvolvido um painel no Business Intelligence (BI) especificamente para Dengue, Zica e Chikungunya com informações de novos casos suspeitos e confirmados, casos em monitoramento, percentual de sucesso do monitoramento por grupo, por CPS de referência e de acordo com geolocalização, bem como detalhes contratuais para melhor avaliação das ações a serem desenvolvidas.

Este painel permitiu uma visualização clara e em tempo real da situação epidemiológica da população assistida, de forma que foi possível acompanhar a evolução dos casos e identificação de novos surtos ou padrões emergentes e auxiliar na identificação de áreas de maior incidência e na adaptação das estratégias de intervenção conforme necessário. Um comitê de crise com representantes dos setores estratégicos além da diretoria e presidência foi estabelecido, com realização de “quick reports” diários e dar celeridade às ações propostas. Para assegurar ações abrangentes e adequada às necessidades locais, foram estabelecidos critérios específicos para definição das ações de saúde em diferentes níveis de atenção.

Gráfico 1- Evolução de casos mapeados pelo serviço de janeiro a junho de 2024.



Fonte: BI interno

Ações realizadas

Ações prioritárias foram definidas com base na gravidade dos casos e na distribuição geográfica da epidemia. Avaliamos constantemente a capacidade de resposta dos CPS e da rede credenciada. Além de reforçar o serviço de atendimento à demanda espontânea nos CPS, com maior disponibilização de horários do corpo clínico, ampliamos a oferta de teleconsulta, permitindo uma avaliação segura dos pacientes e o direcionamento dos casos mais graves para o atendimento emergencial adequado, garantindo intervenções tempestivas. Nos casos mais leves, a teleconsulta proporcionou orientações detalhadas sobre cuidados domiciliares, como a importância da hidratação e prevenção de novos focos do mosquito, reduzindo a sobrecarga nos serviços de saúde, diminuindo a ansiedade dos pacientes além de melhorar a percepção de valor. Além disso, a maior disponibilidade de teleconsultas possibilitou um monitoramento contínuo, ajustando o plano de cuidados conforme necessário e melhorando a qualidade do atendimento e a gestão dos recursos de saúde.

Implementamos uma gestão inteligente de estoque de vacinas contra a dengue para assegurar que os beneficiários recebessem as duas doses necessárias, mesmo diante da escassez no mercado, além de divulgação e incentivo à vacinação no sistema único de saúde de acordo com o público-alvo estabelecido. Nos meses mais críticos da epidemia, passamos também por escassez de repelentes no mercado; realizamos uma ação emergencial para adquirir o produto e distribuí-lo às gestantes, visto que estão entre os grupos populacionais mais susceptíveis às complicações e à evolução para as formas mais graves da doença.

A revisão dos estoques nos CPS foi uma medida crucial para garantir que estes estivessem devidamente equipados para atender à crescente demanda. Focamos na aquisição e reposição contínua de insumos essenciais, como soluções de hidratação venosa, equipamentos de infusão e materiais descartáveis. Além disso, adaptamos a infraestrutura criando pontos específicos para o atendimento de pacientes que necessitavam de hidratação venosa, assegurando um ambiente adequado e seguro para os tratamentos. A equipe de profissionais de saúde foi treinada para manejar eficazmente esses casos, garantindo um atendimento rápido e eficiente, o que foi vital para o manejo adequado dos pacientes durante a epidemia. Essa estrutura permitiu uma resposta ágil e eficiente à epidemia de dengue em 2024, facilitando a tomada de decisões informadas e a implementação de medidas preventivas e de controle de forma direcionada e eficaz.

Resultados

Entre janeiro e junho de 2024 tivemos 6708 casos distintos de dengue mapeados, correspondendo a aproximadamente 15% do total da carteira de beneficiários. 4738 consultas médicas foram realizadas em rede própria, sendo 13% destas por teleconsulta. Foram realizadas pelo menos 2.108 intervenções com hidratação venosa no CPS, evitando encaminhamento destes beneficiários para rede credenciada. Foram registrados mais de 7000 contatos com sucesso para monitoramento de saúde dos beneficiários infectados. Apenas 7% do total de casos mapeados, necessitaram internação hospitalar. Após a implantação da estratégia de Enfrentamento à Epidemia, não houve nenhum caso fatal na carteira de beneficiários da operadora, sendo que o único caso identificado em 2024 ocorreu em janeiro, sendo este um dos fatores que impulsionaram a criação desta estratégia de monitoramento.

Conclusão

A estratégia de enfrentamento à dengue implementada pela operadora em 2024 provou-se um grande sucesso, resultando em um impacto positivo significativo na saúde dos beneficiários. A utilização de tecnologias com monitoramento e ações coordenadas, não apenas permitiu um acompanhamento em tempo real da incidência da doença, mas também norteou a tomada de decisões para maximizar a eficácia das intervenções preventivas e de controle. O sucesso dessa iniciativa demonstra o compromisso da operadora com a saúde e o bem-estar de seus beneficiários, sustentabilidade do negócio da operadora, através da redução de custos, do aumento da produtividade, da melhoria da imagem da empresa e da prevenção de futuros surtos.

Mesmo com o decreto de fim da epidemia nos Estados de atuação da operadora em junho de 2024, a estratégia de monitoramento segue ativa, com ajustes conforme evolução garantindo a detecção precoce de novos surtos e prevenção da reemergência da doença.

Referências

ORGANIZAÇÃO PAN-AMERICANA DA SAÚDE (OPAS)

Disponível em: <https://www.paho.org/pt/topicos/dengue#:~:text=A%20dengue%20%C3%A9%20transmitida%20pela,mialgias%20e%20artralgias%20e%20exantema> .Acesso em: 28 jun. 2024.



Separata

Anais do III Congresso Brasileiro da Sociedade Brasileira de Auditoria Médica – SBAM

EDIÇÃO ESPECIAL DO JORNAL BRASILEIRO DE AUDITORIA EM SAÚDE

19 a 21 de outubro de 2023 – Curitiba/PR

ISBN: 978-65-999886-0-8

III Congresso Brasileiro da Sociedade Brasileira de Auditoria Médica – SBAM

Auditoria Médica em transformação: os desafios da equidade com qualidade

Clique na imagem para baixar o material.

