

Despacho do Ministério da Saúde n.º 19 064/99, de 9 de Setembro

(DR, 2.ª série, n.º 233, de 6 de Outubro de 1999)

Orientações metodológicas a observar nos estudos de avaliação económica de medicamentos

Até à entrada em vigor do Decreto-Lei n.º 305/98, de 7 de Outubro, que altera algumas normas do Decreto-Lei n.º 118/92, de 25 de Junho, relativo à comparticipação do Estado no preço dos medicamentos, os elementos de avaliação da pertinência dos pedidos de comparticipação fornecidos pelos requerentes eram, por vezes, e ou desadequados.

Tendo em vista colmatar aquela deficiência, os números 3 e 4 do artigo 4.º do Decreto-Lei n.º 118/92, de 25 de Junho, na redacção que lhes foi dada pelo Decreto-Lei 305/98, de 7 de Outubro, vieram estabelecer que, sempre que necessário para a avaliação do pedido de comparticipação do medicamento, deverá ser apresentado pelo requerente um estudo de avaliação económica elaborado de acordo com as regras definidas por despacho do Ministro da Saúde, que terá como finalidade permitir uma análise fundamentada do pedido e, conseqüentemente, uma decisão mais justa e equilibrada.

No seguimento de tal propósito, foi criado um grupo de trabalho constituído por elementos de reconhecido mérito técnico e científico assessorado por um consultor especializado na elaboração e implementação de normas e regras a observar em estudos de avaliação económica de medicamentos.

O trabalho encontra-se concluído, muito embora sem prejuízo de eventuais alterações posteriores decorrentes de imperativos de adaptação de tais regras ao progresso técnico.

Assim:

Nos termos e ao abrigo do n.º 4 do artigo 4.º do Decreto-Lei n.º 118/92, de 25 de Junho, na redacção que lhe foi dada pelo Decreto-Lei 305/98, de 7 de Outubro, determino o seguinte:

1.º

São aprovadas as orientações metodológicas a observar nos estudos de avaliação económica de medicamentos constantes do anexo ao presente despacho, de que faz parte integrante.

2.º

As orientações metodológicas constantes do anexo ao presente despacho e serão objecto de desenvolvimento e pormenorização em documento a publicar pelo Instituto Nacional da Farmácia e do Medicamento.

3.º

Estas orientações serão revistas logo que o conhecimento científico e os padrões internacionais o recomendem.

9 de Setembro de 1999. — O Secretário de Estado da Saúde, *Francisco Ventura Ramos*.

ANEXO

Orientações metodológicas para estudos de avaliação económica de medicamentos.

Introdução

A inclusão de critérios de ordem económica na análise do financiamento de novas tecnologias no sector da saúde e, em particular, de novos medicamentos tem vindo a aumentar na maioria dos países da OCDE, em particular nos da União Europeia. Com efeito o crescimento, o crescimento acentuado dos preços destas tecnologias, conjugado com a constatação de que nem sempre este investimento é compensado por proporcionais melhorias da saúde da população, levaram muitos governos a complementar a referida análise com indicadores económicos a quando da tomada de decisão sobre o nível da despesa pública no sector.

A introdução de critérios económicos foi feita em duas fases. Assim, de meados dos anos 70 a finais dos anos 80, o que esteve em causa foi a comparação entre a taxa de crescimento da despesa e os limites orçamentais impostos pelo abrandamento do crescimento do produto. Tal induziu a adopção de políticas de contenção dos custos, que se traduziram na diminuição das taxas de crescimento reais destas despesas. Ora, como se verificou posteriormente, para além de estas políticas terem tido resultados aquém do desejado, os efeitos sobre o acesso aos cuidados de saúde foram negativos.

A constatação de que as políticas de contenção dos custos poderiam a prazo, pôr em causa a melhoria da saúde da população, levou a que, a partir dos princípios dos anos 90, se tentasse implementar reformas compreensivas dos sistemas de saúde em que os critérios económicos desempenharam um papel importante na obtenção de ganhos em saúde.

Em termos gerais, pode dizer-se que todas as reformas tiveram em comum a separação entre o financiamento e a prestação dos cuidados, tentando-se estimular a concorrência, pelo menos entre os prestadores. Contudo, teve-se desde o princípio a consciência de que esta concorrência deveria ser regulada, especialmente no que se refere à adopção de novas tecnologias. Desde logo, porque constituem o principal factor de aumento dos custos, mas, também porque revisões imparciais e exaustivas da literatura constatarem que, na maioria dos casos, a sua eficácia teria sido muito sobrestimada.

Neste âmbito, a avaliação económica das tecnologias e, especialmente, dos medicamentos surge como um instrumento privilegiado para determinar se o que os consumidores, os seguradores e os governos gastam é compensado por ganhos de saúde, dadas as alternativas de emprego dos recursos disponíveis para o mesmo fim. No caso dos medicamentos, esta abordagem é tanto mais necessária quanto estes constituem o instrumento terapêutico de primeira linha para a prevenção e tratamento da esmagadora maioria das doenças e, também, porque em muitos países o seu peso no orçamento da saúde está longe de ser desprezível.

Contudo, embora haja consenso na literatura especializada sobre um extenso conjunto de opções metodológicas adoptadas em estudos de avaliação fármaco-económica, existem ainda alguns aspectos que são controversos. Tal deve-se sobretudo, ao facto de esta ser uma área de trabalho recente, em que os problemas são muito diferentes dos que surgem em domínios onde é possível adoptar abordagens padrão de avaliação económica de projectos de investimento.

Uma forma de tentar minorar estas dificuldades é estabelecer orientações metodológicas para a realização deste tipo de estudo. O objectivo fundamental das orientações nos países onde elas existem é, mais do que introduzir normas regulamentadoras da elaboração dos estudos, apresentar, um conjunto de princípios de referência pelos quais os autores dos estudos se guiem nas suas análises. No entanto, sabendo-se que os problemas são muito variados, tais orientações não podem pretender ser exaustivas nem impositivas. Em última análise, é admissível a utilização de abordagens alternativas, desde que devidamente justificadas.

Mas existe um objectivo adicional que as orientações devem atingir. Devem ser pedagógicas, no sentido em que, pela sua leitura, os autores aperfeiçoem a sua capacidade técnica para a elaboração dos estudos.

O documento que se segue pretende reflectir este conjunto de princípios. Foi elaborado por um grupo de trabalhos que teve a preocupação de construir um quadro de referência para a elaboração de análises de avaliação económica dos medicamentos. Tal tornou-se necessário sabendo-se que a lei permite que seja exigida a apresentação de estudos económicos aquando do pedido de comparticipação dos medicamentos.

Mas não são orientações «administrativas». Pretendeu-se que, antes do mais, constituíssem um guia de «boa prática» suficientemente geral para ser utilizado em qualquer contexto institucional susceptível de, com muito poucas alterações, ser aplicado na avaliação de todas as tecnologias de saúde.

Por outro lado, não pode ser visto como um texto definitivo. Evoluindo o conhecimento nesta área de forma muito rápida, é de esperar que revisões sucessivas o aperfeiçoem e o adequem cada vez mais aos objectivos que presidiram à sua elaboração.

1 — Perspectiva de análise.

A perspectiva a utilizar deve ser a da sociedade, o que implica considerar os custos e as consequências para o doente e para a sua família e, ainda, para terceiros, em particular os pagadores públicos e privados. A perspectiva da sociedade deverá ser desagregada em outras perspectivas relevantes, com ênfase na perspectiva do terceiro pagador no caso de ser este o utilizador do estudo.

2 — Fontes de dados.

Serão privilegiados os resultados obtidos a partir de ensaios clínicos metodologicamente válidos com relevância para o País. Admitem-se também outras fontes de dados, desde que estas sejam claramente justificadas e validadas. Em todos os casos, deve demonstrar-se que a população abrangida pelos estudos clínicos é representativa da população alvo.

3 — Comparadores

A alternativa de referência deve ser prática corrente, isto é, a correspondente à estratégia terapêutica mais comum para o problema da saúde em análise.

Nos casos em que a estratégia mais comum não seja, reconhecidamente, a mais eficaz ou, de entre as estratégias eficazes, aquela que apresenta menores custos, estas últimas devem também ser usadas como comparadores.

No caso de haver dificuldade em identificar os comparadores adequados, estes deverão ser estabelecidos por acordo entre o autor e o destinatário do estudo de avaliação económica.

4 — População em estudo.

O grupo populacional considerado para determinação dos estudos e das consequências deve ser exaustivamente descrito, nomeadamente no que se refere ao padrão de morbilidade e mortalidade. Este grupo populacional deve ser o que mais se aproxima da população potencialmente utilizadora da estratégia terapêutica em análise.

5 — Avaliação do efeito terapêutico.

O efeito terapêutico deve ser avaliado, sempre que possível, em termos de efectividade. Se esta informação não estiver disponível, aceita-se a utilização de dados de eficácia. Neste caso, as hipóteses e os modelos utilizados para estimar a efectividade devem ser completamente descritos e os resultados sujeitos a análise de sensibilidade apropriada.

6 — Horizonte temporal.

O estudo deve ser referido a um período de tempo que coincida com a duração da terapêutica e das suas consequências. No caso de tal não ser possível, este período deve ser definido de modo a permitir identificar de forma inequívoca os principais custos e consequências que podem conduzir a diferentes resultados. A utilização de modelos é admissível desde que devidamente justificadas. Neste caso, devem ser apresentadas as hipóteses e a metodologia em que se baseia a sua construção.

7 — Técnicas de análise.

Admite-se a utilização de qualquer método de avaliação económica reconhecido cientificamente.

Se for demonstrado que as consequências associadas a todas as alternativas são idênticas nas características relevantes para o estudo, admite-se a realização de uma análise de minimização de custos (AMC). Se tal não se verificar, deve ser efectuada uma avaliação custo-efectividade (ACE). Porém, aconselha-se que, nos casos em que tal seja possível, seja realizado um estudo custo-utilidade (ACU) ou custo-benefício (ACB), de forma a tornar comparáveis os resultados de estudos relativos a diferentes patologias. Neste contexto, a análise de custo-utilidade de ser preferida.

Os estudos sobre o custo da doença e os do tipo custo-consequências são aceites como uma primeira abordagem da fundamentação económica da escolha das alternativas terapêuticas. Não devem, no entanto, substituir os estudos formais de avaliação económica referidos no parágrafo anterior.

8 — Identificação de custos.

Devem ser identificados todos os custos relevantes para a análise. Sempre que seja viável, deve ser uma árvore de decisão clínica onde sejam englobados os acontecimentos relevantes relacionados com as diferentes terapêuticas. Quando a perspectiva adoptada na análise for da sociedade, os custos a incluir serão os custos directos da prestação dos cuidados de saúde, os custos dos serviços sociais e de outros sectores relacionados com a prestação de cuidados e os custos que incidem sobre o paciente e a sua família. Os custos indirectos a incluir devem ser unicamente os

relacionados com a perda de produtividade do trabalhador. Após a sua inclusão ser devidamente justificada, estes custos devem ser sempre relatados separadamente e o seu impacto sobre os resultados objecto de análise.

9 — Medição e valorização dos custos.

Deve ser apresentada separada e detalhadamente informação sobre os recursos utilizados (medidos em unidades físicas) e a forma como estes recursos são valorizados (preços ou custos unitários). A informação sobre utilização de recursos deve basear-se na prática clínica nacional. Se tal não for possível e houver necessidade de recorrer a dados internacionais, estes devem ser validados por prestadores nacionais.

O princípio económico básico de valorização dos recursos é o de que as unidades de medida devem reflectir o custo de oportunidade destes recursos, isto é, o valor sacrificado de não se aplicar os recursos no seu melhor uso alternativo. Nestes termos, deve ser iniciado um processo de criação, validação e manutenção de tabelas de custos a utilizar em estudos de avaliação económica. Contudo, mesmo após a criação destas tabelas, admite-se que possam ser utilizados outros dados, desde que devidamente justificados.

10 — Medição das consequências.

A unidade utilizada na medição das consequências deve ser claramente identificada. Nos estudos custo-efectividade, as consequências podem ser medidas através de vários indicadores, designadamente os anos de vida ganhos associados à adopção de cada alternativa. Se num estudo deste tipo se utilizarem resultados intermédios, estes devem ser adequadamente justificados. Em todos os casos deve ser apresentado primeiro o indicador de eficácia e só depois o de efectividade.

Adoptando-se a abordagem custo-utilidade, devem ser apresentados os ponderadores da qualidade de vida para cada nível de limitação da actividade e os anos de vida ganhos. A agregação destes dois elementos deve ser feita de forma transparente. Nos estudos custo-benefício, a valorização monetária das consequências deve ser feita privilegiando-se o método da valorização contingente.

11 — Análise incremental e total.

Os custos e consequências de da alternativa devem ser apresentados em termos de variação relativamente aos da prática clínica corrente—análise incremental. Devem também ser calculados os respectivos valores totais, de forma a permitir ao decisor apreciar a dimensão dos custos e consequências associadas a cada alternativa.

12 — Taxa da actualização

Todos os custos e consequências devem ser actualizados a uma taxa de 5%. Esta taxa deve ser sujeita a análise de sensibilidade. No caso de as consequências não serem valorizadas monetariamente a análise de sensibilidade deverá incluir a taxa 0, correspondente à não actualização das consequências.

13 — Avaliação do impacto da incerteza sobre os resultados.

Deve ser realizada a análise de sensibilidade aos parâmetros chave cujos valores estejam sujeitos a incerteza. Se estes valores forem obtidos através de amostragem, esta análise deverá ser feita considerando os intervalos de confiança para cada estimativa. Noutros casos, a escolha dos intervalos de variação ou de valores alternativos para os parâmetros deve ser justificada detalhadamente com base na evidência empírica ou na lógica.

14 — Modelo de referência para apresentação dos estudos de avaliação económica.

A apresentação dos estudos de avaliação económica deverá obedecer a um formulário que contenha a identificação de todos os aspectos relevantes para a compreensão e análise dos estudos.

Para tal, os autores deverão respeitar o modelo constante do documento previsto no n.º 2 do despacho de que o presente anexo faz parte integrante.

15 — Aspectos éticos e de procedimento.

Na apresentação dos resultados do estudo, independentemente da forma que essa apresentação revista—relatório final, apresentação pública ou publicação, deve ser sempre feita referência à fonte de financiamento e à contribuição real de todos os autores para a sua elaboração. Os investigadores devem Ter total independência quanto à metodologia a adoptar em todas as suas fases do estudo e o direito de publicar os resultados numa revista científica de sua escolha.