

Sumário

Prefácio.....	7
Apresentação.....	11
1. Medicamentos: inovação, preço e acesso.....	17
1.1 Inovação e precificação de novas tecnologias.....	17
1.1.1 Investimento em P&D e preço.....	21
1.1.2 Benefícios clínicos e preço.....	24
1.1.3 Renda per capita e preço.....	28
1.2. Preço de novas tecnologias e acesso a cuidados e saúde.....	29
1.2.1 Preço e o acesso a novas tecnologias.....	29
1.2.2 Acesso integral em saúde e preço.....	31
1.2.3 Distribuição de recursos em saúde e preço.....	32
1.2.4 Justiça global e acesso em países de renda média	34
2. Controle de preços de fármacos: mecanismos e experiências internacionais.....	38
2.1 Regulação de preço.....	39
2.1.1 Precificação baseada em custo.....	40
2.1.2 Precificação baseada em valor terapêutico.....	41
2.1.3 Precificação baseada em preço de referência....	42
2.2 Incorporação.....	44
2.2.1 Avaliação de tecnologia em saúde.....	45
2.2.1.1 Benefício clínico comparativo.....	46
2.2.1.2 Custo-efetividade.....	48
2.2.1.3 Impacto orçamentário.....	53

2.2.2 Concorrência e negociação de preço.....	55
2.2.3 Negociação informada por ATS e preço de referência.....	59
2.2.4 Compartilhamento de risco.....	63
3. Controle de preço de fármacos no Brasil.....	71
3.1 Regulação de preços pela CMED.....	71
3.2 Sistema Único de Saúde: ATS e incorporação.....	80
3.2.1. ATS no SUS.....	80
3.2.2 Acordos de compartilhamento de risco.....	85
3.2.3 Judicialização da saúde e negociação de preços	88
3.3 Saúde suplementar: ATS e incorporação.....	94
3.3.1 ATS na saúde suplementar.....	94
3.3.2 Medicamentos não sujeitos a ATS.....	99
3.3.3 Incorporação automática.....	101
3.3.4 Natureza do rol e judicialização.....	104
4. Propostas para a redistribuição da responsabilidade pelo acesso a novas tecnologias.....	109
4.1 Compartilhamento da responsabilidade pelo custeio de tecnologias não avaliadas.....	111
4.2 Tetos orçamentários e ressarcimento pela indústria.....	117
5. Conclusões.....	125
Referências.....	131

Prefácio

A sustentabilidade dos sistemas de saúde frente à incorporação de tecnologias inovadoras representa um dos principais desafios contemporâneos para países de renda média, como o Brasil. A crescente complexidade dos medicamentos de última geração – notadamente os de alto custo e impacto clínico significativo – impõe tensões estruturais sobre o financiamento público e privado da saúde, exigindo respostas coordenadas e tecnicamente embasadas no que se refere à precificação, regulação e acesso.

Esta obra, intitulada "Preço de medicamentos e a responsabilidade pelo acesso a novas tecnologias no Brasil: desafios, diagnósticos e propostas", tem por objetivo oferecer uma análise crítica e abrangente sobre os múltiplos fatores que determinam o preço de tecnologias farmacêuticas, suas consequências sobre o acesso equitativo à saúde e os modelos regulatórios e institucionais disponíveis para mitigar assimetrias e iniquidades.

O propósito deste estudo é, de fato, colocar a questão do preço no centro das discussões sobre o acesso a medicamentos, a equidade em saúde e a sustentabilidade dos sistemas de saúde. O valor de um medicamento, longe de ser apenas uma questão técnica, revela como

uma sociedade percebe a distribuição da responsabilidade pelo acesso às tecnologias em saúde.

O primeiro capítulo discute os fundamentos da relação entre inovação, precificação e acesso, com destaque para os determinantes do preço de novas tecnologias: investimentos em pesquisa e desenvolvimento (P&D), magnitude do benefício clínico incremental, capacidade de pagamento dos sistemas de saúde e critérios de avaliação de valor terapêutico. São analisadas as implicações do preço sobre o acesso integral à saúde e sobre a alocação eficiente de recursos em contextos de restrição orçamentária, com ênfase no papel distributivo do Estado e nos dilemas éticos relacionados à justiça em saúde.

No segundo capítulo, são apresentados modelos internacionais de regulação de preços e incorporação de tecnologias em saúde, incluindo abordagens baseadas em custo, valor e *benchmarking* internacional. A obra examina, ainda, a atuação de mecanismos como avaliação de tecnologias em saúde (ATS), negociações baseadas em evidência, acordos de compartilhamento de risco (Managed Entry Agreements – MEAs) e estratégias de precificação informada por valor e por preço de referência.

O terceiro capítulo trata do arcabouço regulatório brasileiro, abordando a atuação da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED) na definição de tetos de preços e os fluxos de incorporação de tecnologias no Sistema Único de Saúde (SUS) e na saúde suplementar. O texto detalha as especificidades da ATS no contexto

brasileiro, os desafios da judicialização, os limites da regulação atual e as lacunas na integração entre os Sistemas público e privado de saúde.

O quarto e último capítulo propõe alternativas para a redistribuição da responsabilidade pelo financiamento de tecnologias inovadoras, sobretudo aquelas ainda não incorporadas ou em processo de avaliação. As propostas buscam promover maior corresponsabilização entre os setores público, privado e industrial, por meio de mecanismos como custeio compartilhado, fundos específicos, e estímulo a modelos de precificação baseados em desempenho clínico.

Ao reunir diagnóstico técnico, análise comparada e proposições normativas, esta obra oferece uma contribuição substantiva ao debate sobre políticas de acesso a medicamentos no Brasil. Seu conteúdo é particularmente relevante para profissionais envolvidos em processos de ATS, regulação econômica, formulação de políticas públicas e gestão de sistemas de saúde.

Mais do que apresentar uma fotografia do momento atual, o presente trabalho busca fornecer subsídios para o redesenho de estratégias institucionais que garantam o acesso equitativo e sustentável às inovações terapêuticas, em consonância com os princípios do SUS e os compromissos do Estado brasileiro com a saúde como direito fundamental.

O Professor Daniel Wang reúne os atributos necessários e suficientes para nos proporcionar um conteúdo de

alta relevância acadêmica e com aplicabilidade para a formulação das políticas de saúde. Professor Wang tem uma trajetória acadêmica de excelência, formado nas melhores Universidades internacionais, onde tornou-se docente e produziu conhecimento de qualidade sobre o tema do Direito à Saúde e a Gestão de Políticas Públicas. Seu talento de unir diferentes áreas do conhecimento com objetivo de indicar soluções para o acesso aos cuidados de saúde, de maneira equânime e com sustentabilidade é um presente para o(a) leitor(a) desta obra.

Boa leitura a todo(a)s!

Denizar Vianna
Professor Titular da Faculdade de Medicina da UERJ

Apresentação

Os gastos em saúde têm crescido ao redor do mundo. A Organização Mundial de Saúde (OMS) estima que o gasto global em saúde já corresponde a 10% do PIB mundial.¹ Existem muitas razões para o crescimento, mas o principal fator de inflação em saúde são as novas tecnologias. Medicamentos, em particular, são o gasto em saúde com crescimento mais rápido.²

A inovação tecnológica traz grandes esperanças para o tratamento de doenças, mas também grandes desafios e dilemas para sistemas de saúde. O advento de tratamentos promissores e a difusão da informação sobre eles pressionam sistemas de saúde a rapidamente os incorporar e custear. Essa pressão é particularmente grande quando se trata de tratamentos para doenças

¹ WORLD HEALTH ORGANIZATION. Global spending on health: Weathering the storm. Geneva: WHO Publications, 2020. Disponível em: <https://www.who.int/publications/i/item/9789240017788>. Acesso em: 5 jan. 2024.

² ORGANISATION FOR ECONOMIC CO-OPERATION AND DEVELOPMENT . Fiscal Sustainability of Health Systems: Bridging Health and Finance Perspectives. Paris: OECD Publishing, p.33, 2015. Disponível em: <https://www.oecd.org/publications/fiscal-sustainability-of-health-systems-9789264233386-en.htm>. Acesso em: 5 jan. 2024.; CLEMENT, Fiona M.; HARRIS, Anthony; LI, Jing Jing; et al. Using Effectiveness and Cost-effectiveness to Make Drug Coverage Decisions. JAMA, v. 302, n. 13, 2009.; VOKINGER, K. N. et al. Prices and clinical benefit of cancer drugs in the USA and Europe: a cost-benefit analysis. The Lancet Oncology, v. 21, n. 5, p. 664–670, 1 maio 2020.

graves, sem alternativas terapêuticas satisfatórias e demasiadamente caras para permitir a compra direta por indivíduos e famílias.

Contudo, muitas dessas tecnologias entram no mercado quando as evidências científicas ainda não são robustas e têm custo altíssimo (que pode chegar a milhões de reais por paciente). A oferta em larga escala desses tratamentos sem o devido controle de preço pode consumir parte significativa do orçamento de sistemas de saúde, ameaçando seu equilíbrio orçamentário e o cuidado de outros usuários. Portanto, a questão que se coloca nessas circunstâncias é como equilibrar o acesso a novas terapias, a distribuição justa de recursos em saúde e a sustentabilidade financeira de sistemas de saúde.

Entretanto, os debates (sobretudo fora de ambientes especializados) tendem a apresentar o dilema como uma simples escolha entre incorporar ou não um tratamento. Essa é uma forma limitada de se entender o problema. A questão, se colocada de forma precisa, é entre incorporar ou não um tratamento *dado o seu preço*. Incorporar um tratamento ao preço x pode ser uma decisão óbvia, mas a $5x$ pode ser controversa, e a $10x$ pode ser irresponsável para um sistema de saúde com recursos escassos e múltiplas demandas. Assim, o preço é central para a tomada de decisão, mas é comum que o debate público e jurídico sobre o acesso a tratamentos ignore

preço ou o trate como um detalhe secundário ou mesmo imoral de ser considerado.

Mesmo quando o preço é considerado, frequentemente esse valor é tratado como um dado fixo, sem ser suficientemente problematizado. Quando se discute se um tratamento deve ser incorporado ao preço x , raramente se questiona por que ele custa x . O preço de um tratamento não está escrito em pedra e não necessariamente reflete o investimento feito para seu desenvolvimento, seu custo de produção ou o benefício clínico que produz. Também não está sempre associado ao nível de renda de um país, o que é particularmente prejudicial a um país de renda média e baixa.

O preço de uma nova tecnologia resulta sobretudo da combinação entre dois fatores. De um lado, a busca da indústria pela maximização de seus ganhos, valendo-se da sua posição de monopolista garantida pelas leis patentárias. De outro, a capacidade de governos e sistemas de saúde de controlarem o preço dessas tecnologias via regulação, negociação e critérios econômicos para incorporação.

Espera-se que o equilíbrio entre essas duas forças leve ao chamado “preço justo”, definido pela OMS como aquele “que sistemas de saúde e pacientes conseguem pagar (*affordable*) e que, ao mesmo tempo, oferece os

incentivos de mercados suficientes para que a indústria invista na inovação e produção de medicamentos”.³

Para países de renda baixa e média, como o Brasil, esse desafio é ainda maior. As expectativas em saúde são globais – pessoas com condições graves de saúde, não importa onde estejam, querem receber o que acreditam ser o melhor tratamento que existe. Porém, o orçamento *per capita* de sistemas de saúde varia enormemente ao redor do mundo e, quanto menor o orçamento, maior o custo de oportunidade da incorporação de uma tecnologia. Portanto, é fundamental que países de renda baixa e média tenham mecanismos sólidos para controlar preço de medicamentos.

No Brasil, a legislação prevê diversos mecanismos visando controlar os preços de medicamentos. A entrada de um medicamento no mercado está sujeita ao estabelecimento de um preço-teto pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Ademais, tanto no SUS quanto na saúde suplementar, a incorporação de um tratamento, em regra, está sujeita a critérios econômicos. Porém, esses mecanismos têm limitações. A regulação pela CMED não garante que o preço de medicamentos no Brasil esteja alinhado ao praticado no mercado nacional ou internacional. No SUS e na saúde suplementar, devido a escolhas regulatórias e à judicialização, nem todo trata-

³ WORLD HEALTH ORGANIZATION. **Medicines: Fair pricing forum**. Disponível em: < <https://www.who.int/news-room/questions-and-answers/item/medicines-fair-pricing-forum> >. Acesso em: 5 jan. 2024.

mento custeado passa por avaliações econômicas e há limites para negociação de preço.

O objetivo do presente livro é precisamente trazer a questão do preço para o centro das discussões sobre acesso a medicamentos, equidade em saúde e sustentabilidade de sistemas de saúde. O preço de um medicamento, longe de ser uma questão meramente técnica, reflete como uma sociedade entende que deve ser distribuída a responsabilidade pelo acesso a tecnologias em saúde.

A partir de uma análise da experiência internacional e do desenho e funcionamento da legislação e regulação no Brasil, o argumento desenvolvido aqui é que essa responsabilidade no Brasil precisa ser melhor distribuída entre os sistemas de saúde (incluindo SUS e a saúde suplementar)⁴ e a indústria farmacêutica.

⁴O setor da saúde suplementar no Brasil será tratado neste trabalho como um “sistema de saúde”. Esse não é um uso incontroverso, mas é aceitável dado que as operadoras, ainda que não tenham uma direção comum, seguem regras regulatórias uniformes que regem grande parte de seu funcionamento. Portanto, o que for dito aqui com relação a “sistema de saúde”, guardadas as especificidades de um sistema privado de adesão voluntária, vale também para a saúde suplementar no Brasil.

1

Medicamentos: inovação, preço e acesso

1.1 Inovação e precificação de novas tecnologias

Como resultado do progresso científico, condições que, no passado, inevitavelmente resultariam em morte ou séria deficiência agora se tornaram efetivamente preveníveis e tratáveis. Tais avanços tecnológicos têm ocorrido a grandes passos. Apenas para ficar em alguns exemplos recentes, podemos mencionar a cura para a Hepatite C, os avanços na terapia para HIV/AIDS, a erradicação da varíola e o desenvolvimento, teste e aprovação em tempo recorde de vacinas para Covid-19. Esses são exemplos de grandes conquistas da ciência aliada a políticas de saúde e sistemas de saúde.

A aplicação da ciência para o desenvolvimento de novos tratamentos, assim como o maior grau de exigência regulatória para se aprovar um tratamento, torna essa empreitada cara, demorada e arriscada. Não há nenhuma garantia de que, após um longo processo e grandes investimentos, ao final se chegará a um tratamento eficaz e seguro. O tratamento pode simplesmente não funcionar ou causar mais danos que benefícios, o que impedirá sua

comercialização e, portanto, o retorno financeiro pelo investimento em seu desenvolvimento. Como mostra o Gráfico 1, para cada medicamento aprovado, cinco foram testados na fase clínica (testes com seres humanos), 250 na fase pré-clínica e mais de cinco mil na etapa de descoberta de compostos. Todo esse processo pode levar anos.

Por essa razão, o desenvolvimento de novas tecnologias depende de investimento público, mas também de indústrias farmacêuticas com muita expertise e recursos. Estimativas sobre o custo de desenvolvimento de um medicamento variam de 160 milhões a 2,6 bilhões de dólares, embora o valor exato seja difícil de precisar dada a falta de transparência da indústria quanto a esses números.⁵

⁵ PRASAD, V.; DE JESÚS, K.; MAILANKODY, S. The high price of anticancer drugs: origins, implications, barriers, solutions. *Nature Reviews Clinical Oncology*, v. 14, n. 6, p. 381–390, 1 jun. 2017.;
LUZZATTO, Lucio; HYRY, Hanna I.; SCHIEPPATI, Arrigo; et al. Outrageous prices of orphan drugs: a call for collaboration. *The Lancet*, v. 392, n. 10149, p. 791–794, 2018.