

ARTIGO

Contribuições em consulta pública e reversões de recomendação pela Conitec: uma análise de medicamentos incorporados para o tratamento de doenças raras

Contributions to public consultations and reversals of recommendations by Conitec: an analysis of drugs incorporated for the treatment of rare diseases

Lucas Colacinoⁱ, Fernanda Wolski Magalhãesⁱⁱ, Rebeca Diaz Degenszajnⁱⁱⁱ

Resumo

O artigo investiga as contribuições da sociedade civil nas consultas públicas realizadas pela Conitec na incorporação de medicamentos indicados para o tratamento de doenças raras, bem como analisa os processos realizados entre 2012 e 2023, evidenciando a evolução das incorporações e dos tipos de contribuições. Além disso, foram descritos os principais argumentos mobilizados pelo Comitê de Medicamentos para justificar a reversão do parecer inicial, indicando que a contribuição da empresa fabricante e as motivações de caráter econômico embasam a maior parte das reversões de recomendação.

Palavras-chave: Conitec; consulta pública; doenças raras; reversão de recomendação

Abstract

The paper explores the contributions of civil society in the public consultations held by Conitec on the incorporation of drugs indicated for the treatment of rare diseases, and analyzes the processes carried out between 2012 and 2023, showing the evolution of incorporations and types of contributions. In addition, the main arguments used by the Medicines Committee to justify the reversal of the initial opinion were described, indicating that the manufacturer's contribution and economic motivations underpin most of the recommendation reversals.

Keywords: Conitec; public consultation; rare diseases; recommendation reversal

Introdução

A decisão de incorporação, exclusão e alteração de tecnologias ofertadas pelo Sistema Único de Saúde (SUS) é responsabilidade do Ministério da Saúde, assessorado pelo órgão nacional de avaliação de tecnologias em saúde (ATS), a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec).

A Conitec é responsável por emitir recomendações relativas à utilização de tecnologias em saúde no SUS no prazo máximo de 180 dias, prorrogáveis por mais 90, levando em consideração necessariamente as evidências científicas e a avaliação econômica comparativa da tecnologia em relação ao já disponível no SUS.¹

A Conitec tem agregado iniciativas de participação social ao longo de todo o processo de avaliação.² A despeito da ATS estar sujeita à influência de mobilizações externas ao processo, como aquelas manifestas através da mídia ou da representação legislativa, o presente artigo considerará apenas os espaços formais de participação social.³ No Brasil, a solicitação de análise da Conitec a respeito da incorporação, alteração ou exclusão de tecnologias

ⁱ Lucas Colacino (lcolacino@prospectiva.com) é mestre em Economia pela Universidade Federal do Rio de Janeiro (UFRJ), bacharel em economia pela Pontifícia Universidade Católica do Rio de Janeiro (PUC-RJ) e atua como gerente de projetos em saúde na Prospectiva Public Affairs Latam.

ⁱⁱ Fernanda Wolski Magalhães (fmagalhaes@prospectiva.com) é especialista em Políticas Públicas pelo Insper, bacharel em Relações Internacionais pela Pontifícia Universidade Católica do Rio de Janeiro (PUC-RJ). Atua como coordenadora de projetos em saúde na Prospectiva Public Affairs Latam.

ⁱⁱⁱ Rebeca Diaz Degenszajn (rdiaz@prospectiva.com) é bacharel em Ciências Sociais pela Faculdade de Filosofia, Letras e Ciências Humanas da Universidade de São Paulo (FFLCH-USP) e coordenadora técnica de projetos de acesso à saúde na Prospectiva Public Affairs Latam.

ofertadas no SUS pode ser submetida por qualquer pessoa ou instituição, contanto que sejam preenchidos os requisitos legais.⁴

O Comitê temático (de Medicamentos; de Produtos e Procedimentos; ou de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas) é responsável por emitir uma recomendação quanto à utilização ou não da tecnologia no SUS. Para tanto, são reservados dois momentos de recomendação – preliminar e final – intermediados pela etapa de consulta pública (CP). Cabe também à Secretaria-Executiva, viabilizar, sempre que couber, a participação de pacientes por meio do portal Perspectiva do Paciente⁵ e de profissionais e gestores de saúde que se voluntariam a participar dos debates por meio do Cadastro de Especialistas em Saúde⁶ ou do Cadastro de Gestores do SUS.⁷ As iniciativas têm a finalidade de promover a participação de representantes da sociedade civil que podem ser convidados à discussão antes da formulação das recomendações.

A CP, etapa sobre a qual este estudo se debruçou, ocorre entre as recomendações preliminar e final emitidas pelo Comitê temático⁸. Após a primeira reunião de deliberação, a Conitec publiciza um relatório técnico apresentando a demanda e justificando a recomendação inicial formulada pelo Comitê temático. A Conitec submete, então, sua recomendação à CP pelo prazo de 20 dias (que pode excepcionalmente ser reduzido para 10 dias, em casos de urgência).⁸

As contribuições podem ser feitas por qualquer pessoa física, representando a si mesma ou a uma pessoa jurídica (empresa; órgão público; associação de paciente ou sociedade médica; serviço de saúde; etc.) e são orientadas por perguntas disponibilizadas no formulário de participação. Além da sociedade civil, durante a CP, o demandante que submeteu o dossiê à análise e o fabricante ou empresa responsável pela comercialização da tecnologia também podem contribuir, se posicionando quanto à avaliação preliminar da Conitec e incluindo ou revisando informações que julgarem relevantes.

Após a coleta e organização, as contribuições são inseridas nos relatórios técnicos para serem analisadas

pelos membros do Comitê temático. A partir das contribuições, o Comitê emite uma recomendação final sobre o tema em atualização. O relatório técnico é, então, encaminhado para a decisão do(a) secretário(a) de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde do Ministério da Saúde (SECTICS/MS), que é publicada por meio de portaria no Diário Oficial da União (DOU).

Caso entenda que exista “relevância da matéria”,³ a SECTICS pode convocar uma audiência pública para ampliar a discussão sobre o assunto e embasar a tomada de decisão. A etapa, ainda que facultativa, representa mais um instrumento de participação social.

Apesar de o processo de ATS ser aplicado para a análise de todas as tecnologias ofertadas no âmbito do SUS, o presente artigo se dedicou aos processos de pedido de incorporação ou ampliação de uso de medicamentos indicados para o tratamento de doenças raras.

No Brasil, a publicação da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (PNAIPDR)⁹ deu continuidade ao contexto de discussões internacionais – Orphan Drug Act (Lei de incentivo ao Desenvolvimento de Drogas Órfãs) nos Estados Unidos (1983), seguido de iniciativas no Japão (1993), Canadá (1996), Austrália (1998) e China (1999). A Portaria nº 199/2014⁹, além de criar definições para doenças raras em diálogo com a literatura internacional, estabeleceu a rede de serviço especializado e criou incentivos para a assistência dos pacientes.

Dentre os objetivos da Política, se destacam a redução da mortalidade, morbidade e manifestações secundárias; a melhoria na qualidade de vida; a qualificação da atenção; e o acesso a testes diagnósticos e alternativas terapêuticas. Nesse sentido, a publicação da PNAIPDR fomentou a qualificação do debate sobre a incorporação de tecnologias para doenças raras e o estabelecimento de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDTs), orientando o cuidado aos pacientes. Na prática, a PNAIPDR formalizou a atenção aos pacientes com doenças raras no contexto do SUS.

Metodologia

Para a elaboração do presente artigo, foi desenvolvida base de dados a partir da coleta de dados públicos disponíveis na página eletrônica de Tecnologias demandadas,¹⁰ de Consultas Públicas Encerradas¹¹ e de Relatórios Técnicos de recomendações da Conitec.¹² A partir dos dados disponíveis na página de Tecnologias demandadas, foram considerados os processos com decisão final de incorporação ou ampliação de uso com data de protocolo a partir de janeiro de 2012 – que marca o início das atividades da Conitec; e com data de decisão até dezembro de 2023.

Entre os tipos de tecnologia, foram considerados apenas medicamentos que tiveram como motivo da solicitação a incorporação ou ampliação de uso da tecnologia. Para classificação como medicamento indicado para o tratamento de doença rara, foi observada a indicação da tecnologia no momento de submissão. Após identificada a condição terapêutica, foi consultado o relatório de recomendação da respectiva tecnologia submetida a fim de identificar a prevalência da doença no Brasil.

Não existe consenso internacional para a definição de doença rara.¹³ Em geral, é adotado critério de prevalência da doença ou condição. No Brasil, PNAIPDR caracterizou como doença rara aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos.⁹ Dado que o estudo busca avaliar os processos referentes à incorporação de medicamentos para o tratamento de doenças raras no SUS, foi adotado o critério estabelecido pelo Ministério da Saúde por meio da PNAIPDR.

Como o critério de seleção é baseado exclusivamente na prevalência das doenças, a classificação e sistematização dos dados referentes às doenças raras abrange indicações diversas. A PNAIPDR organiza a atenção às pessoas com doenças raras em dois eixos, cada um subdividido em grupos: o eixo I compreende as doenças raras de origem genética

(anomalias congênitas ou de manifestação tardia; deficiência intelectual; e erros inatos do metabolismo); ao passo que o eixo II é composto por doenças raras de origem não genética (infecciosas; inflamatórias; e autoimunes).⁹

No total, foram observados 59 casos de análise concluídos pela Conitec. Para cada processo, foram reunidas informações relativas às seguintes variáveis: nome da tecnologia; data de publicação da decisão; indicação da tecnologia; proponente e classificação do proponente do pedido de avaliação; à recomendação preliminar da Conitec; à justificativa central para a recomendação preliminar; ao número de contribuições de experiência e opinião, técnico-científicas e número total. Após essa etapa, foram contabilizados o número e perfil dos contribuintes a partir das classificações propostas nos relatórios da Conitec; a recomendação final da Conitec; e se houve ou não reversão da recomendação preliminar. Para os casos em que houve reversão da recomendação preliminar, foi registrada e classificada a justificativa para a reversão.

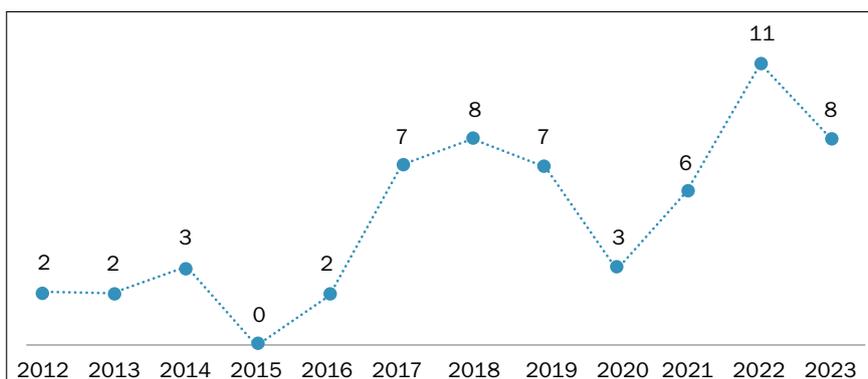
Apresentação de Dados

Incorporações de medicamentos para doenças raras

O Gráfico 1 ilustra o número de incorporações de medicamentos para doenças raras por ano na Conitec, de 2012 a 2023. Observa-se uma tendência de crescimento no número de incorporações ao longo dos anos, com alguns períodos de maior destaque. Se a média de incorporações anuais de medicamentos para doenças raras era de 2,6 para os anos entre 2012 e 2017, passou para 7,1 entre 2018 e 2023.

Considerando que o número de medicamentos incorporados para doenças raras (59) significa 19,6% do total de incorporações de medicamentos pela Conitec para o mesmo período (301).¹⁴

Gráfico 1 - Incorporação de medicamentos de doenças raras por ano (2012-2023)



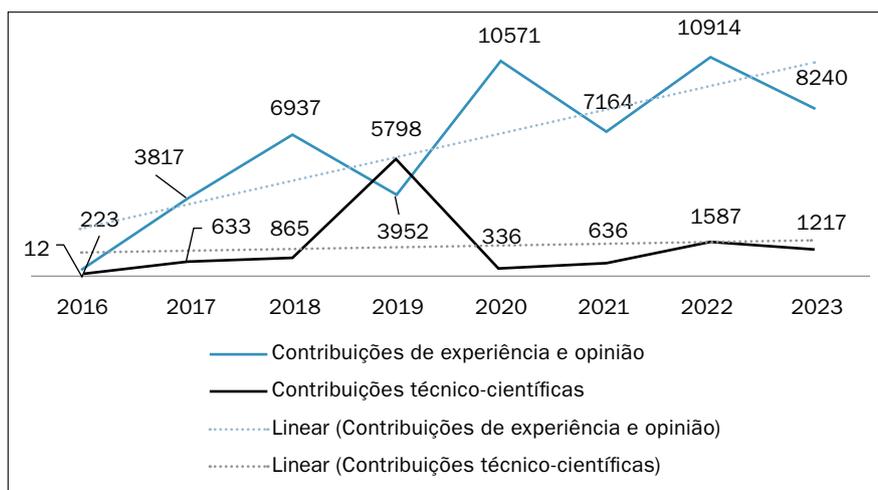
Fonte: Elaboração própria com base em dados da Conitec.

Evolução do volume de contribuições

No Gráfico 2, observa-se que, apesar das oscilações, há uma tendência de aumento no volume das contribuições em consultas públicas no período analisado. Se em 2016 o número médio de contribuições

totais por caso era de 127, em 2023 essa média foi de 1.188. Essa tendência é ainda mais acentuada nas contribuições classificadas de experiência e opinião, que representam 88% do volume total de contribuições na amostra.

Gráfico 2 - Quantidade de contribuições por modalidade (2016-2023)*



Fonte: Elaboração própria com base em dados da Conitec *Foram excluídas as contribuições dos casos de incorporação do Nusinersena, considerado um outlier que dificultaria a visualização dos dados nos outros anos.

Reversão de Recomendação

Foram analisados casos em que a incorporação ocorreu por reversão de parecer, quando a recomendação preliminar da Conitec foi de não incorporação e a recomendação final mudou para a incorporação.

Para a amostra analisada, 86% das incorporações ocorreram por reversão de recomendação. Como a Conitec justifica a decisão publicada no relatório técnico, apontando os elementos avaliados ao longo do processo que levaram a tal recomendação, foi possível incluir dados sobre essas motivações na

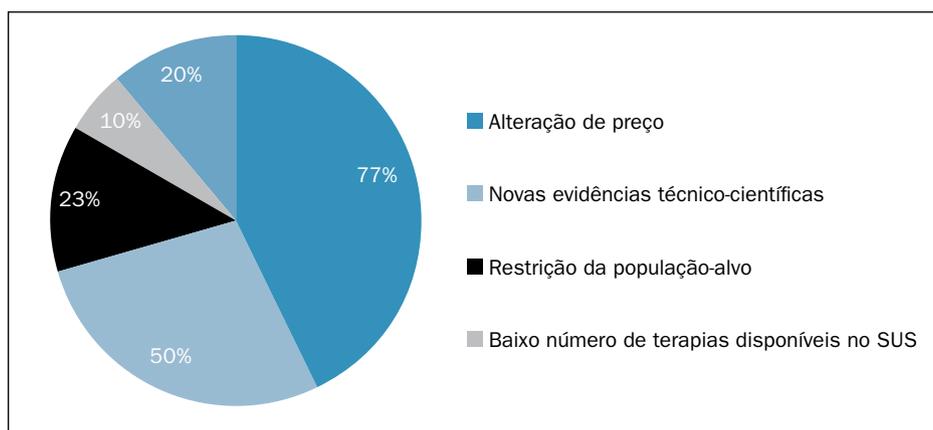
base de dados. Foram identificadas cinco categorias de motivações principais para casos de reversão, com base na maior recorrência:

- Novas evidências técnico-científicas: novos estudos clínicos ou correção de interpretações de estudos anteriormente apresentados, indicando novos resultados clínicos;
- Melhor custo-efetividade: refere-se à oferta de melhores resultados de saúde por unidade monetária gasta em comparação com outras opções de tratamento;
- Restrição de público elegível: recorte de um público com base em critérios específicos para a indicação de uso do medicamento;
- Alteração de preço: uma nova proposta de preço para o medicamento apresentado pela empresa fabricante;

- E ausência de alternativas terapêuticas disponíveis: inexistência de outros tratamentos disponíveis no SUS para a doença.

Com o objetivo de verificar a frequência de utilização de cada uma dessas motivações, foi contabilizado, para cada processo de incorporação ocorrido por reversão, as motivações mobilizadas na justificativa da Conitec. A proporção entre as motivações é apresentada no Gráfico 3. Isoladamente, a reversão por alteração de preço foi a motivação mais utilizada pela Conitec, ocorrendo em 77% dos casos em que houve incorporação por reversão de parecer. Seguidamente, 50% dos casos foram com base em novas evidências técnico-científicas; 23% por uma restrição no público elegível; 20% pela melhoria do custo-efetividade; e 10% pelo baixo número de terapias disponíveis no SUS para a doença.

Gráfico 3 - Motivação para reversão de recomendação inicial (2013-2023)



Fonte: Elaboração própria com base em dados da Conitec.

Buscou-se também mensurar a proporção dos casos em que a justificativa apresentada pela Conitec para a incorporação por reversão fazia menção direta a um dado ou proposta apresentada pela contribuição da empresa fabricante do produto. Por exemplo, casos em que a Conitec embasa a reversão de decisão na apresentação de evidências mais robustas de segurança e eficácia, sendo que as novas evidências foram indicadas em estudo apresentado pela empresa

demandante. Nessa análise, foi identificado que em 80% dos casos da amostra houve essa associação.

Nota-se que a Conitec pode apresentar mais de uma motivação para a reversão, portanto ocorrendo uma sobreposição na contagem. Para analisar a correlação entre as motivações, foi elaborado um mapa de calor (Gráfico 4).

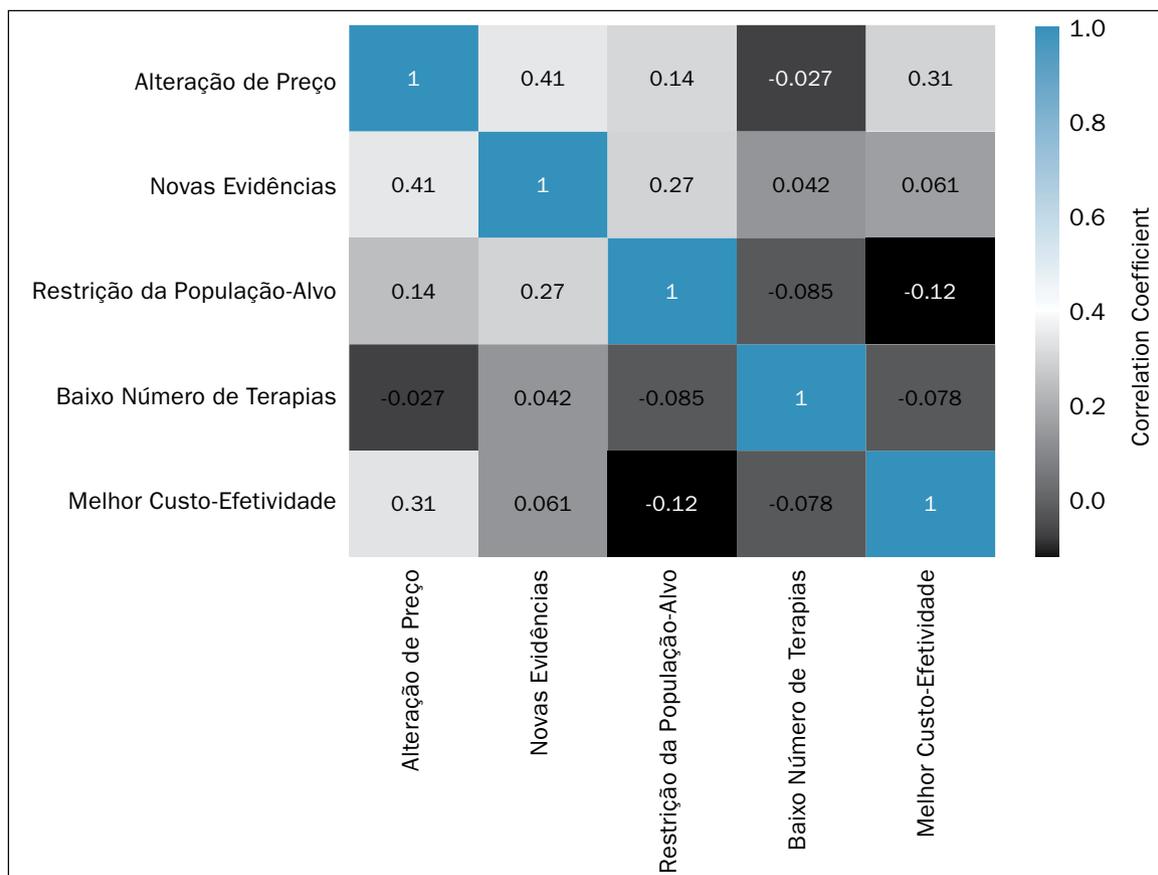
As motivações para a reversão da recomendação estão listadas nos eixos horizontal e vertical. Cada

célula no gráfico de calor representa a correlação entre as justificativas correspondentes, caracterizada por um índice numérico e uma cor. O índice varia de 1 a -1. Quanto mais próximo ao 1, a correlação é forte positiva, ou seja, essas justificativas ocorrem frequentemente juntas. Quando mais próximo ao 0, há uma correlação positiva mais fraca, ou seja, essas justificativas raramente ocorrem juntas. Valores negativos e mais próximos ao -1 indicam uma correlação negativa forte. Se duas justificativas têm uma correlação de -1, isso significa que quando uma justificativa é usada, a outra nunca é usada. O índice também é ilustrado por cores. Cores mais próximas ao vermelho escuro indicam uma correlação forte positiva e cores mais próximas ao azul escuro indicam uma correlação mais fraca.

Pela interpretação dos dados, conclui-se que a reversão por alteração de preço ocorre com maior frequência associada à apresentação de novas evidências científicas (0,41). Em seguida, a correlação mais frequente é a melhor custo-efetividade com a alteração de preço (0,31). A restrição do público-alvo também está associada, ainda que de maneira mais fraca, com a apresentação de novas evidências (0,27).

Os índices negativos apontam que a justificativa de restrição do público-alvo muito raramente está associada a uma melhoria na relação de custo-efetividade (-0,12). A restrição do público-alvo também está pouco relacionada com a existência de um baixo número de terapias para a doença (-0,085). Assim como o baixo número de terapias é raramente associado à melhor custo-efetividade (-0,078).

Gráfico 4 - Mapa de calor das motivações para reversão de recomendação da Conitec (sobreposição de justificativas)



Fonte: Elaboração própria com base em dados da Conitec.

Discussão

A promulgação da PNAIPDR em 2014 culminou um processo de mobilização política das pessoas com doenças raras no Brasil e teve como desdobramentos a organização do cuidado para parte dessas doenças no SUS, entendido como a habilitação de serviços de referência, a aprovação de protocolos clínicos e a incorporação de diagnósticos e tratamentos.¹⁵ Apesar da caracterização por um número reduzido de pessoas do ponto de vista epidemiológico, quando agrupadas no conceito de “raras” esses pacientes criam movimentos associativos qualificados e se tornam visíveis, concentrando uma capacidade de pressão pública por seus interesses.¹⁶

O processo de ATS executado pela Conitec não foge a esse contexto, sendo seus espaços de participação social representativos da força mobilizadora da opinião pública acerca da assistência aos pacientes de doenças raras. O progressivo volume das contribuições nas consultas públicas, especialmente de contribuições de experiência e opinião, demonstra o engajamento social no tema e, conseqüentemente, levanta questionamentos sobre seus efeitos na decisão final da Comissão.

Os medicamentos incorporados para condições raras representaram 19% do total de medicamentos incorporados ao SUS entre 2012 e 2023. Nos últimos anos, observa-se a manutenção de uma proporção mais alta de incorporações para raras, se comparado com as incorporações para outras doenças. Em 2023, significaram 36% do total de medicamentos incorporados pela Comissão.

É preciso considerar que ATS para doenças raras envolve desafios próprios, como a condução de estudos clínicos robustos e abrangentes que gerem evidências sólidas sobre sua eficácia e segurança; os altos custos associados à pesquisa, desenvolvimento e inovação (PD&I); e a restrita demanda dos produtos que encarece o preço final. As altas taxas de incorporações para doenças raras por reversão de parecer (86%) podem significar postura conservadora da Conitec na recomendação inicial, à luz desses desafios.

Um dos principais achados da pesquisa foi que, entre as motivações apontadas pela Conitec para

embasar reversões na recomendação preliminar, há uma destoante ocorrência do aspecto econômico como decisivo, sendo a alteração no preço proposto para a tecnologia a motivação mais frequente utilizada para justificar as reversões (77% dos casos).

Faz-se necessário contextualizar o achado sobre a ocorrência mais frequente de aspectos econômicos como motivação para reversões de parecer pela Conitec, com a evolução dos gastos públicos federais com a aquisição de medicamentos, especialmente para doenças raras. Se em 2000 foram gastos R\$ 2 bilhões para a aquisição de medicamentos, em 2021 esse valor foi de R\$ 25 bilhões.¹⁷ Em 2023, 40% dos R\$ 12,8 bilhões destinados ao componente especializado da assistência farmacêutica pelo Ministério da Saúde foram destinados para compra de medicamentos para doenças raras.^{18,19}

A indicação dos casos em que a motivação para a reversão de parecer faz menção ao conteúdo da contribuição da empresa demandante relevou também que essa associação é comum, ocorrendo em 80% dos casos analisados. Isso pode ocorrer porque a CP é o momento principal de interlocução entre a empresa demandante e a Comissão após a submissão da demanda, espaço em que são feitos ajustes ou apresentadas respostas aos questionamentos levantados pelos membros na primeira reunião, bem como onde são ofertadas novas propostas de preço pela indústria.

A sobreposição das motivações e a análise das correlações revelam aspectos ainda mais particulares da influência do fator econômico nas decisões. A forte correlação entre alterações no preço e novas evidências técnico-científicas (0,41) pode indicar que a Conitec evita justificar decisões em aspectos exclusivamente econômicos. A mesma lógica é aplicada na correlação entre alteração de preços e a noção de custo-efetividade (0,31), conceito que associa o valor econômico aos ganhos comparados em saúde. Nesse contexto, a adoção pela Comissão, em 2022, de um limiar de custo-efetividade (LCE) como um dos critérios para suas decisões, é reveladora dessa dinâmica apontada nos dados apurados.²⁰

A correlação entre a restrição do público-alvo e a apresentação de novas evidências (0,27) e entre a restrição do público-alvo e a alteração de preço (0,14) também aponta um aspecto econômico intrínseco do processo de decisão. Uma vez que a restrição de público costuma incorrer na diminuição no impacto orçamentário da incorporação, ela diminui o custo da incorporação e suaviza seu peso à sustentabilidade do sistema, sendo uma medida indiretamente de cunho econômico. Entretanto, a restrição do público elegível se justifica apenas pela demonstração, ao longo do processo de ATS, de melhores evidências de eficácia clínica ou de segurança para um recorte específico do público elegível. A lógica apresentada corrobora, portanto, as fortes associações da motivação de restrição do público-alvo com as novas evidências e a alteração de preço.

Por sua vez, a reversão por um baixo número de tratamentos disponíveis para uma doença é característica do grupo de doenças raras, que comumente possuem poucos tratamentos disponíveis, sendo muitos dos tratamentos caracterizados como medicamentos órfãos. A dissociação dessa motivação com o critério de custo-efetividade (-0,078) corrobora a tese de Chambers (2020), que aponta serem os medicamentos órfãos menos custo-efetivos que medicamentos não órfãos, porém com maiores ganhos em saúde.²¹

O fato de medicamentos órfãos serem a única alternativa terapêutica disponível para doenças majoritariamente graves resulta em elevados preços de comercialização e custos para o sistema, porém, também a significativos ganhos.

Ao longo de toda a discussão, o fundamento econômico das decisões sobre incorporações de medicamentos para doenças raras no SUS fica evidente. As associações de motivações para reversões de recomendação demonstraram que, mesmo aquelas que não se referem a aspectos econômicos, servem, muitas vezes, a uma lógica relacionada ao impacto orçamentário das incorporações. Paralelamente, o elevado engajamento da sociedade civil nas consultas públicas compõe o cenário de pressão externa, na qual a Conitec está sujeita.

Diante disso, a busca por um equilíbrio entre a necessidade de atender às demandas de pacientes

com doenças raras e a sustentabilidade financeira do SUS torna-se um desafio contínuo, exigindo uma técnica apurada de ATS pelas instituições para garantir o acesso equitativo a tratamentos essenciais sem comprometer o funcionamento do sistema de saúde.

Considerações Finais

O presente estudo faz uma análise quantitativa sobre a etapa de CP em processos de incorporação de medicamentos para doenças raras no SUS, com enfoque específico nos casos em que houve a reversão de parecer inicial pela Conitec, abordando a ocorrência e a associação entre as motivações apresentadas pela Comissão para a mudança na decisão.

Demonstrou-se uma evolução do volume de incorporações para a amostra, bem como um progressivo número de contribuições recebidas na CP, em especial aquelas de caráter de experiência e opinião. Esse quadro denota um significativo engajamento na participação da sociedade civil não especializada para incorporações de doenças raras, ainda que os dados revelem também que as contribuições das empresas fabricantes da tecnologia e as contribuições de caráter econômico possuem maior capacidade de influenciar a decisão de reversão da decisão da Conitec.

A forte correlação entre as motivações “alteração de preço” e “novas evidências técnicas-científicas” demonstra que a Comissão costuma associar essas justificativas, podendo significar que evita utilizar uma exclusivamente econômica. O mesmo ocorre pela forte associação entre “alteração de preço” e “melhor custo-efetividade”, bem como com “alteração de preço” e “restrição do público-alvo”.

Por outro lado, demonstrou-se uma forte dissociação entre “restrição do público-alvo” e “melhor custo-efetividade”, além de uma dissociação entre as motivações “baixo número de alternativas terapêuticas disponíveis” e “melhor custo-efetividade”, essa última revelando uma dinâmica própria de medicamentos órfãos, como muitos com indicação para doenças raras, que apresentam alto custo de aquisição.

Referências

1. Brasil. Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011. Altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para dispor sobre a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do SUS. Diário Oficial da União, Brasília, DF, 28 abr.
2. Oliveira AASA; Eler KCG. Participação social dos pacientes na avaliação de tecnologia em saúde - fundamentação, desafios e reflexões sobre a CONITEC. Revista de Direitos e Garantias Fundamentais, ISSN-e 2175-6058, Vol. 23, Nº. 1, 2022, págs. 127-154
3. Brasil. Portaria GM/MS nº 4.228, de 6 de dezembro de 2022. Altera a Portaria de Consolidação GM/MS nº 1, de 28 de setembro de 2017, para dispor sobre o processo administrativo de incorporação de tecnologias em saúde no SUS. Diário Oficial da União, Brasília, DF, 07 dez.
4. Brasil. Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011. Dispõe sobre a Conitec e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo SUS, e dá outras providências. Diário Oficial da União, Brasília, DF, 22 dez.
5. Ministério da Saúde: CONITEC. Perspectiva do Paciente [Internet]. 23/05/2022 [atualizado em 18/06/2024; visita em 25/06/2024]. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/participacao-social/perspectiva-do-paciente-1>
6. Ministério da Saúde: CONITEC. Cadastro para especialistas em saúde [Internet]. 23/05/2022 [atualizado em 22/06/2023; visita em 25/06/2024]. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/participacao-social/cadastros/conitec-quer-conhecer-especialistas-em-saude-que-tenham-interesse-no-sus>
7. Ministério da Saúde: CONITEC. Cadastro de Gestores do SUS [Internet]. [Visita em 25/06/2024]. Disponível em: <https://www.gov.br/participamaisbrasil/cadastro-gestores>
8. Brasil. Decreto nº 11.161, de 4 de agosto de 2022. Altera o Decreto nº 7.508, de 28 de junho de 2011, e o Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011, para dispor sobre a Conitec e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo Sistema Único de Saúde. Diário Oficial da União, Brasília, DF, 5 ago.
9. Brasil. Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014. Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do SUS e institui incentivos financeiros de custeio. Diário Oficial da União, Brasília, DF, 31 jan.
10. Ministério da Saúde: CONITEC. Tecnologias demandadas [Internet]. 20/06/2022 [atualizado em: 19/01/2023; visita em: 25/06/2024]. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>
11. Ministério da Saúde: Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – CONITEC. Consultas Públicas Encerradas [Internet]. 20/05/2022 [atualizado em: 25/06/2024; visita em: 25/06/2024]. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/participacao-social/consultas-publicas>
12. Ministério da Saúde: Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – CONITEC. Recomendações da Conitec [Internet]. 23/05/2022 [atualizado em: 29/12/2023; visita em: 25/06/2024]. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/recomendacoes-da-conitec>
13. Richter T (e col.). Rare Disease Terminology and Definitions—A Systematic Global Review: Report of the ISPOR Rare Disease Special Interest Group. Value in Health, Volume 18, Issue 6, September 2015, Pages 906-914.
14. Ministério da Saúde: CONITEC. Conitec em Números [Internet]. [Visita em 25/06/2024]. Disponível em: <https://lookerstudio.google.com/embed/reporting/ed1f017c-58e0-4177-aeb2-61f59d50b183/page/PzCbB>. Acesso em 24/06/2024.
15. Fonseca RVG, Monsoreo N. A construção de uma política pública para doenças raras no Brasil. Brasília: Universidade de Brasília; 2014.
16. Moreira MCN (e col.). Quando ser raro se torna um valor: o ativismo político por direitos das pessoas com doenças raras no Sistema Único de Saúde. Perspectivas. Cad. Saúde Pública 34 (1), 2018.
17. De Negri F, Mello CER, Mourthe ACL. Aquisições de medicamentos pelo governo federal. IPEA. [Internet]. 31/07/2023 [visita em: 01/07/2024]. Disponível em: https://www.ipea.gov.br/cts/pt-central-de-conteudo/artigos/artigos/370-evolucao-das-aquisicoes-de-medicamentos-pelo-governo-federal-nas-ultimas-duas-decadas#_ftn2
18. Brasil. Lei nº 14.535, de 17 de janeiro de 2023. Estima a receita e fixa a despesa da União para o exercício financeiro de 2023. Diário Oficial da União, Brasília, DF, 17 jan 2023.
19. Ministério da Saúde. Ministério da Saúde oferece 152 medicamentos para tratamento de doenças raras [Internet]. 22/05/2024 [visita em: 01/07/2024]. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/noticias/2024/maio/ministerio-da-saude-oferece-152-medicamentos-para-tratamento-de-doencas-raras>
20. Ministério da Saúde: Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. O uso de limiares de custo-efetividade nas decisões em saúde: Recomendações

da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. [Internet]. 01/06/2024 [Visita em: 25/06/2024]. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/pdf/2022/20221106_relatorio-uso-de-limiar-de-custo-e-fetividade-nas-decisoes-em-saude.pdf

21. Chambers JD (e col.). Orphan Drugs Offer Larger Health Gains but Less Favorable Cost-effectiveness than Non-orphan Drugs. *J Gen Intern Med.* 2020 Sep;35(9):2629-2636. Epub 2020 Apr 13.