

## Avaliação de Tecnologias de Saúde em Portugal: políticas de saúde, metodologias e desafios emergentes

Sónia CALDEIRA<sup>1</sup> , Daniella PINGRET-KIPMAN<sup>2</sup> , Fernanda FERRADOR<sup>1</sup> , Sara Azevedo COUTO<sup>1</sup> ,  
Juliana Aliberti ORTIZ<sup>3</sup> , Claudia FURTADO<sup>4,5</sup> 

<sup>1</sup>Departamento de Avaliação de Tecnologias de Saúde (DATS) na Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde (INFARMED, I.P.), Portugal; <sup>2</sup>Secretaria-Executiva da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (SCMED), Brasil; <sup>3</sup>International Working Group for Health Systems Strengthening (IWGHSS); <sup>4</sup>Direção do Departamento de Avaliação de Tecnologias de Saúde (DATS) e do Departamento de Informação e Planeamento Estratégico (DIPE) na Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde (INFARMED, I.P.), Portugal; <sup>5</sup>Escola Nacional de Saúde Pública, Universidade Nova de Lisboa, Portugal

Autor correspondente: Caldeira S: sonia.caldeira@infarmed.pt

### Resumo

Portugal é um país europeu com elevado Índice de Desenvolvimento Humano (IDH) e um sistema de saúde com extensa cobertura. Alinhado com as recomendações da Organização Mundial da Saúde, Portugal pratica regulação de preços de medicamentos para garantir maior acesso mantendo a sustentabilidade financeira. Nesse ínterim, a avaliação de tecnologias em saúde é reconhecida como ferramenta fundamental para a tomada de decisão informada de financiamento. Em consonância com os desafios enfrentados por outros países nessa área nos últimos anos, as metodologias e critérios utilizados na avaliação de diferentes tecnologias de saúde tem sido colocados à prova. Esse artigo apresenta uma visão geral do sistema de saúde e do sistema de avaliação de tecnologias em Portugal quanto às políticas mais recentes adotadas também em regulação de preços, incluindo os mais recentes desafios que esta área tem confrontado.

**Palavras-chaves:** avaliação de tecnologias de saúde; farmacoeconomia; custos de medicamentos; custos e análise de custo; tomada de decisão; Portugal

## Health Technology Assessment in Portugal: health policies, methodologies and emerging challenges

### Abstract

Portugal is a European country with a high Human Development Index (HDI) and extensive health system coverage. In line with the recommendations of the World Health Organization, Portugal regulates drug prices to ensure better access with financial sustainability. To this aim, health technology assessment is recognized as an essential tool for making informed financing decisions. In consonance with the challenges faced by other countries in this domain in the last few years, the methodologies and criteria used in the evaluation of different health technologies have been put to the test. This article presents an overview of the Portuguese health system and the technology assessment system regarding the latest main implemented policies also on the price regulation system, including the most recent challenges faced in this field.

**Keywords:** health technology assessment; pharmacoeconomics; drug costs; costs and cost analysis; decision making; Portugal

### Portugal e seu sistema de saúde

Portugal é um país com Índice de Desenvolvimento Humano (IDH) considerado muito alto pela Organização das Nações Unidas (ONU). O país possui 92,2 mil km<sup>2</sup> de área total e 10,3 milhões de habitantes, o que resulta na densidade demográfica de 111,7 pessoas por km<sup>2</sup>.<sup>1-3</sup> Com IDH de 0,864, Portugal ocupa a 38ª posição no ranking com 189 países, consideravelmente acima da média das nações vizinhas na Europa e Ásia Central (0,791), além de um índice de GINI de 32,8 em 2019.<sup>4-6</sup> A taxa de natalidade é de 1,4 nascimentos por mulher, estável nesse patamar desde 2010 e com mortalidade infantil em queda persistente, saindo de 15 mortes/mil em 1990 para 7 mortes/mil em 2000 e hoje, com apenas 3 mortes/mil nascimentos vivos.<sup>4</sup>

As despesas de saúde como percentagem do produto interno bruto (PIB) e per capita são inferiores à média da União Europeia (UE). Em 2019, Portugal gastou com saúde o equivalente a 4.017,36 USD PPP (paridade do poder de compra) per capita, um terço a menos do que os demais países da UE. As despesas de saúde representaram 9,5% do PIB português, também abaixo da média da UE de 9,9%.<sup>7,8</sup>

Na mesma tendência da maioria dos países da UE, o desabastecimento de medicamentos é um problema crescente em Portugal. Entre 2017 e 2019, as notificações de escassez aumentaram mais de 100% — sobretudo no que diz respeito aos medicamentos para o sistema nervoso e para o sistema cardiovascular.<sup>7</sup>



Os sistemas de saúde podem ser classificados em três modelos principais: sistema nacional de saúde (modelo de *Beveridge*), seguro social (modelo de *Bismarck*) e seguro privado.<sup>9</sup> O modelo de *Beveridge* instituído em Portugal baseia-se no direito a saúde independente de vínculo empregatício, com financiamento por impostos arrecadados sobre o rendimento dos contribuintes e amparado no sistema público.<sup>10</sup>

O sistema de saúde português combina financiamento público e privado em três sistemas coexistentes. O Serviço Nacional de Saúde (SNS) (1) é financiado majoritariamente pela tributação geral, somada à arrecadação própria de receitas de estabelecimentos sob a jurisdição do Ministério da Saúde (MS), entidades privadas e sociais com ou sem fins lucrativos.<sup>10-12</sup> Os Subsistemas de Saúde (sub-regimes) (2) são financiados principalmente por contribuições de empregadores e empregados. O seguro de saúde privado (3) é voluntário (SVS).<sup>11,12</sup> De acordo com o último relatório da Organização para a Cooperação e Desenvolvimento Econômico (OCDE), cerca de 25% da população portuguesa está coberta por um subsistema de saúde ou por um regime de SVS. Embora o SNS seja universal, a renda pode estar associada a um melhor acesso a saúde. Em 2019, 3,5% das pessoas no quintil de rendimentos mais baixo relataram ter necessidades médicas não atendidas devido ao custo, à distância ou aos tempos de espera, comparado a somente 0,2% no quintil de rendimentos mais altos.<sup>7</sup>

O SNS foi fundado em 1979 com base no princípio da cobertura universal e da igualdade de cuidados. Entretanto, em 1989, por meio de revisão da Constituição, o princípio da universalidade dos serviços de saúde foi alterado para “tendencialmente gratuito”, embora cerca de 60% da população seja isenta de pagamento.<sup>10,12</sup> O SNS sofreu várias reformas ao longo do tempo.<sup>11,12</sup> Recentemente, o sistema fiscal tem se tornado regressivo, com forte dependência dos impostos indiretos. Dois terços das despesas são pagas com financiamento público. Entretanto, a população já é responsável por um terço das pagamentos diretos, o que pesa nos orçamentos familiares. Observa-se a aplicação de taxas para realização de consultas, serviços de urgência, visitas domiciliares e meios complementares de diagnóstico e terapêutica.<sup>10</sup>

Portugal possui diferentes autoridades responsáveis pelo sistema de saúde. O MS é responsável pela regulação, planejamento e gestão do SNS. O MS formula e monitora políticas em saúde, além de coordenar atividades de outros entes governamentais. A Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde, I.P. (Infarmed) é uma agência governamental subordinada ao MS. Ela executa a avaliação, regulação e monitoramento dos mercados de medicamentos humanos (sujeitos à obtenção de autorização de comercialização) e dispositivos médicos (sujeitos à obtenção de registro).<sup>11</sup> No entanto, a Direção-Geral das Atividades Econômicas (DGAE) foi responsável, até julho de 2012, pela definição de preços-teto de medicamentos, competência transferida para o Infarmed.<sup>11,13</sup>

## Introdução de medicamentos no mercado nacional

Para que um medicamento seja colocado no mercado português, é necessário que a empresa interessada solicite ao Infarmed uma autorização de introdução no mercado (AIM). O protocolo submetido pela empresa deve conter um balanço de risco-benefício favorável e comprovar qualidade, segurança e eficácia devidamente fundamentadas por dados farmacêuticos, estudos clínicos e não clínicos.<sup>14,15</sup>

Após a aprovação, o trabalho do Infarmed continua no monitoramento de pós-mercado e farmacovigilância, com o objetivo de garantir a segurança do uso do medicamento durante sua efetiva comercialização. Para isso, os titulares da AIM submetem os Relatórios Periódicos de Segurança (RPS) ao Infarmed, que por sua vez, analisa os dados sobre o uso dos medicamentos na população. O processo de renovação da AIM está sujeito à análise global de todos os RPS submetidos pelo detentor da AIM.<sup>14,15</sup>

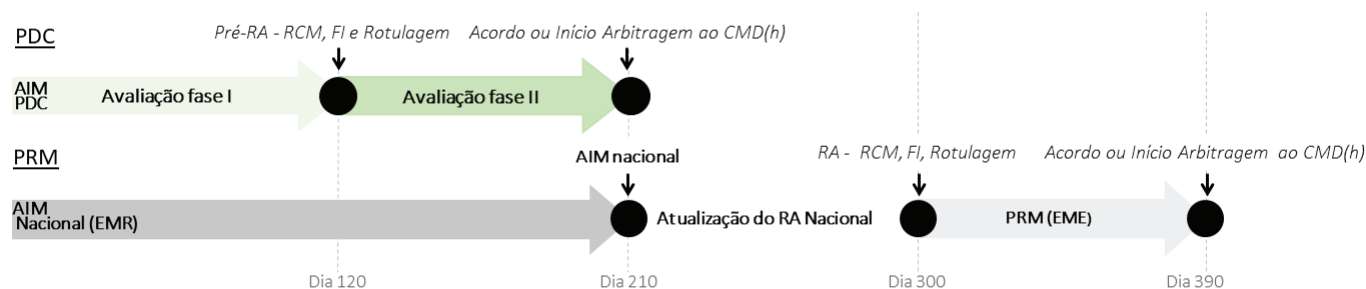
Como alternativas à aprovação e manutenção de registro a nível nacional, existe a aprovação do medicamento via centralizada na UE, por reconhecimento mútuo ou via descentralizada. Nestes casos, os Estados membros fazem um acordo sobre os elementos necessários para a aprovação de comercialização do medicamento no bloco (ver Figura 1).<sup>15,16</sup>

Informações acessíveis sobre medicamentos estão na plataforma eletrônica Infomed, gerida pelo Infarmed.<sup>17</sup> A base contém informações de interesse a profissionais de saúde e ao público em geral, resumo das características do medicamento (RCM), bula, medidas adicionais de minimização de risco e também o relatório público da avaliação para concessão de AIM ou relatório da avaliação para efeitos de financiamento público (RAFP), quando aplicável.<sup>17</sup>

Em 2021, as vendas totais de medicamentos em termos de preço de venda ao público (PVP), no mercado ambulatório com coparticipação, foram de \$3,9 bilhões USD na Paridade do Poder de compra (PPC). Os genéricos representaram 48,8% das unidades consumidas, o que demonstra alta penetração desses produtos.<sup>8,18</sup>

O Infarmed visa aprimorar suas práticas de boa governança aplicadas e está alinhado com a Resolução adotada pelos Estados-membros da União Europeia na 72ª Assembleia da Organização Mundial da Saúde (OMS). Em relação ao pilar da Resolução que visa *Melhorar a transparência do mercado de medicamentos, vacinas e outros produtos de saúde*, o Infarmed tem publicado os relatórios de monitoramento do mercado ambulatorial e hospitalar,<sup>14,18</sup> assim como os preços dos medicamentos para consulta pelo público em geral em sua página eletrônica.<sup>17-19</sup>

**Figura 1.** Representação simplificada do sistema europeu de avaliação de medicamentos.



AIM: Autorização de introdução no mercado; CMD(H): Grupo de Coordenação para Reconhecimento Mútuo e Procedimentos Descentralizados; EME: Estado-Membro Envolvido; EMR: Estado-Membro De Referência; FI: Folheto Informativo; PDC: Procedimento Descentralizado; PRM: Procedimento De Reconhecimento Mútuo; RA: Relatório De Avaliação; RCM: Resumo Das Características Do Medicamento.

## Sistema de Regulação de Preços

A política de preços de medicamentos em Portugal tem evoluído desde seu marco inicial para proporcionar aos cidadãos maior e melhor acesso aos medicamentos sem comprometer a sustentabilidade do SNS. Espera-se, assim, obter ganhos em saúde e maximizar a qualidade de vida dos cidadãos. O primeiro marco oficial que regulamenta a regulação de preços-teto de medicamentos data de 1988, quando foi publicada a Portaria nº 548 de 13 de agosto de 1988,<sup>20</sup> que estabeleceu que a definição dos preços máximos de comercialização de medicamentos não-genéricos no mercado português deveria incluir o mecanismo de referenciamento externo de preços.<sup>20</sup>

A Portaria nº 29 de 13 de janeiro de 1990, foi marco fundamental para tornar o regime de preços mais coerente com os objetivos de estabilidade e transparência.<sup>21</sup> Ela contemplou ajustes necessários, como a definição de critérios utilizados para a formação de preços de medicamentos.<sup>20,21</sup> A publicação deu cumprimento à Diretiva n.º 89/105/CEE, de 21 de dezembro de 1988, de modo a tornar mais transparentes as medidas adotadas pelos Estados-membros na formação dos preços das especialidades farmacêuticas para uso humano e respectiva inclusão nos sistemas de seguro de saúde, trazendo para a legislação nacional os procedimentos já adotados na região europeia.<sup>22</sup> A Portaria n.º 29/1990 constituiu, assim, um pilar na política de preços em Portugal. O marco regulatório ficou em vigor até a publicação do Decreto Lei nº 65 de 2007, que consagrou uma nova metodologia de preços.<sup>22,23</sup>

De uma forma geral, o sistema de formação de preços subdivide-se em dois grandes grupos com critérios de formação de preços distintos: “medicamentos não-genéricos” e “medicamentos

genéricos”. Além disso, os medicamentos isentos de prescrição sem coparticipação do Estado não estão sujeitos à regulação de preços.<sup>24,25</sup>

Conforme mencionado, Portugal adota o mecanismo de referenciamento de preços externos para a precificação de medicamentos não genéricos, sendo que a lista de países é atualizada anualmente.<sup>26</sup> Para 2022, os países de referência são Espanha, França, Itália e Eslovênia.<sup>27</sup> Para os medicamentos genéricos, o preço máximo é definido com base no PVP do medicamento de referência não-genérico, aplicando-se um desconto mínimo que evoluiu de 20% para 50% (atual).<sup>28,29</sup>

A introdução de medicamentos genéricos no mercado só é possível após terem caducado os períodos de proteção de patente e de proteção de mercado dos respectivos medicamentos de referência. Em consequência, considera-se que os medicamentos genéricos devem ter preços inferiores aos dos originadores pelas seguintes razões:

- O originador já deve ter sido ressarcido do investimento em Pesquisa e Desenvolvimento (P&D);
- O medicamento genérico não necessita de ensaios clínicos onerosos para o seu desenvolvimento, uma vez que pode fazer referência aos ensaios clínicos do medicamento de referência.<sup>30</sup>

Assim, o avanço da penetração de medicamentos genéricos no mercado gera economia para o paciente e para o SNS que, com recursos financeiros livres, consegue avançar na cobertura universal de saúde sem comprometer a sustentabilidade financeira do sistema. Atualmente, a política de preços em Portugal encontra-se espelhada na Figura 2.

Figura 2. Regulação de preços em Portugal.

Medicamentos abrangidos pela regulação	
<ul style="list-style-type: none"> <li>• Medicamentos Sujeitos à prescrição Médica</li> <li>• Medicamentos Não Sujeitos à prescrição Médica com co-participação</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Não-genéricos</li> <li>• Genéricos</li> </ul>
Regime de Preços Máximos (PM)	Regras e critérios de fixação/definição de PM
<p><b>Composição PVP (Preço de Venda ao Público) Mercado Ambulatorial</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Preço de Venda ao Distribuidor (PVA)</li> <li>• Margem da Farmácia</li> <li>• Margem do Distribuidor</li> <li>• Taxa de comercialização (0,04%)</li> <li>• Imposto sobre Valor Agregado (IVA) (6%)</li> </ul>	<p><b>Composição PVH (Preço de Venda ao Hospital) Mercado Hospitalar SNS</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Preço de Venda ao Distribuidor (PVA)</li> <li>• Taxa de comercialização (0,04%)</li> <li>• IVA (6%)</li> </ul>
<p><b>Não-genéricos</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Referenciamento externo de preços (ES, FR, IT, EV), atualmente em vigor. Anualmente definido</li> <li>• Margens máximas de comercialização: 6 escalões (por intervalos de PVA)</li> <li>• Abrange também os medicamentos biológicos e biossimilares</li> <li>• Ambulatório: Média dos preços dos países de referência</li> <li>• Hospitalar: Mínimo dos preços dos países de referência</li> </ul>	<p><b>Genéricos</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Mercado ambulatorial: Redução de 50% /25% do preço do medicamento referência</li> <li>• Mercado hospitalar: Redução de 30% do preço do medicamento referência</li> </ul>
Alterações de preços	Comercialização
<p><b>Reduções</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Comunicação pelas empresas. Pode ocorrer mensalmente</li> <li>• Revisão Anual de Preços – Referenciamento externo de preços uma vez ao ano. Até 2013, apenas abrangia os medicamentos do mercado ambulatorial, a partir de 2015 passou a abranger também os medicamentos utilizados no mercado hospitalar.</li> </ul>	<p><b> Mercado Ambulatorial</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Os medicamentos podem entrar no mercado sem avaliação de financiamento. Neste caso, o custo é pago integralmente pelo paciente. Por este motivo, o preço do medicamento pode ser definido em momento anterior à avaliação de financiamento.</li> </ul>
<p><b>Aumentos</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Revisões Excepcionais de Preços</li> <li>• Regime de Preços Notificados (aumento uma vez por ano)</li> </ul>	<p><b> Mercado Hospitalar</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Os medicamentos com AIM ou extensão de indicação após janeiro de 2007 não podem ser comercializados sem realização de avaliação de financiamento. Por este motivo, o preço dos medicamentos apenas é definido no âmbito da própria avaliação de financiamento.</li> </ul>

AIM: autorização de introdução no mercado; ES: Espanha; FR: França; EV: Eslovênia; IT: Itália; IVA: Imposto sobre Valor Agregado; PM: preços máximos; PVA: preço de venda ao distribuidor; PVH: preço de venda ao hospital; PVP: preço de venda ao público; SNS: Serviço Nacional de Saúde.



O avanço da penetração de genéricos está alinhado com a concretização da Agenda 2030, da qual Portugal é país signatário, notadamente na meta descrita no item 3.8 dos Objetivos Sustentáveis do Milênio (ODS), que visa “atingir cobertura universal de saúde, incluindo a proteção do risco financeiro, o acesso a serviços de saúde essenciais de qualidade e o acesso a medicamentos e vacinas essenciais seguros, eficazes, de qualidade e a preços acessíveis para todos”. Outro mecanismo que visa otimizar o uso de recursos disponíveis para o avanço da cobertura universal é a aplicação de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS).<sup>31</sup>

## Avaliação de Tecnologias em Saúde

A ATS antecede e fundamenta a tomada de decisão informada com respeito à utilização e financiamento das tecnologias de saúde no SNS<sup>28</sup>. O método baseia-se essencialmente em critérios de eficácia e segurança comparativas com as tecnologias já existentes, com o objetivo de otimizar a utilização dos recursos disponíveis.<sup>32</sup>

A ATS é aplicada desde 1991 para os medicamentos do mercado ambulatorial e desde 2007 para os medicamentos do âmbito hospitalar.<sup>28</sup> Em 1998, surgiram as primeiras orientações metodológicas para a avaliação de estudos econômicos de medicamentos.<sup>33</sup>

Em 2015, a ATS foi alvo de uma atualização com a criação do Sistema Nacional de Avaliação de Tecnologias de Saúde (SiNATS), regido pelo Decreto-Lei n.º 97/2015, incumbindo a sua gestão ao Infarmed.<sup>28</sup> São objetivos principais do SiNATS: maximizar os ganhos em saúde e a qualidade de vida dos cidadãos; garantir a sustentabilidade do SNS e a utilização eficiente dos recursos públicos em saúde; monitorizar a utilização e a efetividade das tecnologias; reduzir desperdícios e ineficiências; promover e premiar o desenvolvimento de inovação relevante; bem como promover o acesso equitativo às tecnologias de saúde.<sup>32</sup>

Após a criação do SiNATS, iniciou-se então a avaliação para efeitos de financiamento público de outras tecnologias de saúde que não medicamentos como, por exemplo, de dispositivos médicos (DM). O monitoramento das tecnologias de saúde em momento posterior à decisão de financiamento (avaliação *ex-post*) foi reforçada com este sistema.<sup>32</sup>

De uma forma global, o processo de financiamento público em Portugal pode ser dividido nas seguintes fases: instrução do pedido, avaliação farmacoterapêutica, avaliação farmacoeconômica, negociação e tomada de decisão (Figura 3). Após a concessão de AIM ou obtenção de nova indicação terapêutica numa AIM previamente concedida (no caso dos medicamentos) ou após certificação europeia (no caso dos DM), as tecnologias de saúde podem ser sujeitas ao processo de avaliação para efeitos de financiamento público, mediante requerimento da empresa responsável pela introdução no mercado, ou representante desta.<sup>32</sup>

Figura 3. O processo de financiamento em Portugal.



CD: Conselho Diretivo do INFARMED, I.P., a quem compete a aprovação do projeto de decisão para efeitos de financiamento; DATS: Direção de Avaliação de Tecnologias de Saúde, responsável pela gestão de todo o processo de financiamento; participação técnica nas avaliações farmacoterapêutica e farmacoeconômica, elaboração do projeto de decisão; CATS: Comissão de Avaliação de Tecnologias de Saúde, emite pareceres e recomendações sobre as tecnologias de saúde; MS: Ministério da Saúde, a quem compete a decisão de financiamento, podendo a mesma ser subdelegada.

### Avaliação Farmacoterapêutica

Para a avaliação farmacoterapêutica, é utilizada a metodologia da medicina baseada em evidências, sendo, portanto, avaliado o benefício das intervenções em termos de probabilidade: o benefício é demonstrado quando a intervenção aumenta a probabilidade de um determinado resultado benéfico ou reduz a probabilidade de um resultado não-benéfico.<sup>34</sup>

Os ensaios clínicos comparativos e aleatorizados são considerados o método mais apropriado para estimar medidas do efeito relativo do tratamento. Estes devem ser integrados em uma revisão sistemática e sintetizados através de metanálise, convencional ou em rede. As análises de sensibilidade são necessárias para identificação das incertezas presentes na evidência submetida.<sup>34</sup>

Evidências não aleatorizadas só poderão ser utilizadas mediante justificativas e em situações específicas como, por exemplo, no caso de doenças raras ou ultra-raras. É da responsabilidade do criador da tecnologia de saúde (ou seu representante legal), a submissão dos processos para avaliação de financiamento incluindo toda a evidência relevante sobre a tecnologia.<sup>34</sup>

A avaliação farmacoterapêutica inicia-se com a definição das perguntas de investigação, ou seja, pela definição do PICO. A sigla PICO deriva da língua inglesa e resume a matriz de critérios que fundamentam a avaliação para efeitos de financiamento público: P – População; I – Intervenção; C – Comparador(es); O – Desfecho(s) (*outcomes*).<sup>34</sup> Informação mais detalhada sobre a elaboração de PICO no contexto português pode ser encontrada no material suplementar.

De acordo com a legislação atual, o financiamento de medicamentos está condicionado, cumulativamente, à demonstração técnico-científica da inovação terapêutica ou da sua equivalência terapêutica para as indicações terapêuticas solicitadas, e à demonstração da sua vantagem econômica. Para as demais tecnologias de saúde, quando justificadas as devidas razões de saúde pública ou vantagens econômicas comprovadas, o Estado português pode participar da aquisição de DM aos beneficiários do SNS por meio de mecanismos de co-participação.<sup>32</sup>

O processo de avaliação compara o efeito do tratamento da tecnologia de saúde em avaliação com o efeito do tratamento dos comparadores identificados, no conjunto das medidas de eficácia terapêutica e de segurança que foram definidas na matriz

PICO. Para cada comparação é avaliado o efeito do tratamento nas medidas de resultado, utilizando as medidas selecionadas na matriz de avaliação. Para cada uma, é assim possível determinar se o efeito do tratamento do fármaco em avaliação apresenta ou não superioridade em relação a cada comparador. O efeito relativo global de tratamento é avaliado pela estimativa de efeito relativo de tratamento observada sobre a medida de resultado à qual foi atribuída maior importância e cujo resultado seja mais confiável. Da avaliação acima descrita, podem resultar os cenários presentes na Figura 4.<sup>34</sup>

**Figura 4.** Conclusões da avaliação farmacoterapêutica na avaliação para efeitos de financiamento.

Avaliação Farmacoterapêutica		
<b>Inferioridade ou não demonstração de “comparabilidade” ou superioridade</b>  o efeito global de tratamento mostra que o tratamento em avaliação não é superior ao comparador e não foi demonstrado o efeito benéfico do fármaco	<b>“Comparabilidade”</b>  o efeito global de tratamento mostra que o tratamento em avaliação não é superior ao comparador, mas existe efeito benéfico do fármaco	<b>Valor terapêutico adicional</b>  o efeito global de tratamento mostra que o tratamento em avaliação é superior ao comparador

Tendo por base a metodologia GRADE, é ainda classificada a magnitude do valor terapêutico adicional considerando a estimativa do efeito global do tratamento e respectivo intervalo de confiança numa das seguintes formas: maior, moderado, menor e não quantificável. Quanto à análise da qualidade da evidência, as conclusões da avaliação são expressas consoante o grau de certeza dos resultados:<sup>34</sup>

- “prova” (elevada certeza de resultados quando a qualidade da evidência é alta);
- “indicação” (moderada certeza de resultados quando a qualidade da evidência é moderada);
- “sugestão” (baixa certeza de resultados quando a qualidade da evidência é baixa), ou;
- nenhum dos anteriores quando não existem dados disponíveis ou a qualidade da evidência é muito baixa.

#### Avaliação Farmacoeconômica

Para efeitos de demonstração de benefício econômico, se o medicamento demonstrar ser equivalente a outros medicamentos já financiados, deverá realizar-se uma análise de minimização de custos ou uma análise comparativa de preços. A vantagem econômica é realizada por: (1) redução de preço em relação à alternativa, nos casos de uma nova forma farmacêutica, nova dosagem ou dimensão de embalagem significativamente diferente de medicamentos já financiados com igual composição qualitativa; ou (2) redução de preço de, no mínimo, 10% em relação à alternativa não-genérica, nos casos de um novo medicamento com composição qualitativa idêntica a de outros medicamentos já comercializados e financiados, em idêntica forma farmacêutica, dosagem, e embalagem de dimensão similar.<sup>32</sup>

Se o medicamento demonstrar vantagem terapêutica adicional (VTA) perante as alternativas selecionadas como comparadoras, deverá ser submetido pelo titular de AIM um estudo de avaliação econômica que quantifique os ganhos em saúde esperados da nova tecnologia face aos custos adicionais que a mesma possa acarretar para o SNS.<sup>36</sup>

Em dezembro de 2019, foram publicadas as Novas Orientações Metodológicas para estudos de avaliação econômica de tecnologias de saúde, que vieram atualizar as Orientações Metodológicas para Estudos de Avaliação Econômica (1999). A atualização incorpora aprimoramentos da área, tais como as novas técnicas para lidar com a incerteza, para modelar efeitos a longo prazo, para sintetizar evidência e para medir com maior rigor os efeitos terapêuticos.<sup>37</sup>

As Novas Orientações Metodológicas, que devem orientar a elaboração e a avaliação dos estudos econômicos submetidos para efeitos de financiamento, atualmente privilegiam a utilização de estudos de custo-efetividade e custo-utilidade, complementadas com as análises de impacto orçamentário, sendo estes importantes instrumentos de apoio à tomada de decisão.<sup>37</sup>

Além disso, o preço proposto não poderá ser superior ao que resulta do referenciamento externo de preços, podendo ainda sofrer alguma redução em consequência da sua análise comparativa com as alternativas identificadas.<sup>32</sup>

Concluída a avaliação farmacoterapêutica e farmacoeconômica, inicia-se a fase de negociação. Deste modo, a magnitude do VTA e o grau de certeza dos resultados, assim como os resultados de custo-efetividade incremental e o impacto orçamentário são elementos importantes a serem considerados. Adicionalmente, a existência de alternativas terapêuticas no mercado, incluindo genéricos ou biossimilares, assim como a utilização das ferramentas de *Horizon Scanning* sobre os novos medicamentos que em breve serão introduzidos no mercado, assumem também particular relevância na negociação das novas tecnologias. Após acordo entre o titular de AIM e o Infarmed, está prevista a possibilidade de celebração de contrato entre as partes, o qual define as condições de financiamento que incluem as indicações terapêuticas para as quais o medicamento pode ser utilizado, o preço máximo de aquisição e os montantes de encargos a serem financiados pelo Estado.<sup>32</sup>

Geralmente, o financiamento é baseado em acordos financeiros, que se podem revestir em contratos com desconto no preço das embalagens; contratos que fixam o montante máximo de encargos para o SNS; e contratos de preço-volume, em que o preço diminui de acordo com o aumento das embalagens vendidas (Figura 5).<sup>32</sup>

Em caso de incerteza associada à decisão atrelada à escassez de evidências robustas até a data da avaliação inicial, o SNS pode incluir nos contratos cláusulas de compartilhamento de risco com a empresa que comercializa o medicamento. Acordos desse modelo atrelam os pagamentos aos resultados do uso do medicamento após uso efetivo na população. Neles, o fornecimento de evidência adicional é fundamental. Alternativamente, o SNS pode propor contratos, que para além das condições financeiras, se baseiem em resultados de efetividade, nos quais o SNS suporta o custo negociado associado ao medicamento caso os resultados obtidos em contexto real sejam iguais ou superiores aos resultados dos ensaios clínicos.<sup>32</sup>

**Figura 5.** O sistema de financiamento de medicamentos em Portugal.

Sistema de Financiamento de medicamentos			
Crítérios	Listas de Medicamentos	Taxas de Co-Participação	Taxas de Co-Participação
<p><b>Preço baseado no valor</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Valor terapêutico (adicional) - eficácia e segurança relativas</li> <li>• Custo-efetividade/ Custo-utilidade/ custo-minimização</li> <li>• Impacto orçamentário</li> </ul>	<p><b>Lista positiva em vigor</b></p> <p><a href="https://extranet.infarmed.pt/INFOMED-fo/">https://extranet.infarmed.pt/INFOMED-fo/</a></p>	<p><b>Mercado ambulatorial</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Percentuais diferenciados. Diferentes tipos de medicamentos, de acordo com a classificação farmacoterapêutica;</li> <li>• Regime geral: 100%, 90%, 69%, 37%, 15%</li> <li>• Regime especial** : 100%, 95%, 74%, 42%, 20%</li> </ul>	<p><b>Mercado hospitalar</b></p> <p>100% (sem co-pagamentos)</p>
Medidas de política para novos medicamentos			
Horizon Scanning	Avaliação Econômica	Contratos de Financiamento	Sistema de Preços de Referência
<p>Baseado na informação disponibilizada pela indústria farmacêutica em plataforma desenvolvida pelo Infarmed, e em complemento da informação publicamente disponível sobre a nova tecnologia, são identificadas e analisadas as alternativas que entrarão futuramente no mercado</p>	<p><b>Avaliação de estudos de custo-efetividade/ utilidade</b></p> <p>Para novas DCI e novas indicações terapêuticas com valor terapêutico adicional</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Principal tipo contrato é baseado em acordos financeiros.</li> <li>• Simultaneamente, poderão ser definidas condições baseadas em resultados</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• GH nível ATC-5</li> <li>• Preço de referência baseado na média dos 5 menores preços do GH. Se este valor for superior ao preço do genérico mais caro, então o preço de referência será este último preço</li> </ul>
Prescrição/ Substituição Genéricos	Troca por Biossimilares	Co-participação Genéricos	Co-participação Biossimilares
<p><b>Prescrição por DCI</b></p> <p>Obrigatória para DCI com genéricos</p>	<p>Permitida (para algumas substâncias ativas) devendo o prescritor apresentar a proposta aos pacientes, devidamente informada sobre condições e segurança.</p> <p>Esta mudança deve envolver todos os pacientes clinicamente estáveis em tratamento com uma determinada marca por pelo menos 6 meses.</p>	<p><b>Mercado ambulatorial</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• A partir do 5º MG o PVP é menos 5% do PVP do MG anterior, com pedido válido, com um limite de 20% do PVP do MR</li> <li>• Genéricos adicionais incluídos no GH: PVP &lt; em 5 % do PVP do MG de menor preço, com pelo menos 5% de QM de MG no GH</li> </ul> <p><b>Mercado hospitalar</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• 30% inferior ao preço do MR</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 20% inferior ao preço do medicamento biológico de referência</li> </ul> <p>OU</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• 30% inferior ao PVH do medicamento biológico de referência, caso já existam medicamento biossimilares da mesma DCI com pelo menos 5% de quota de mercado</li> </ul>

\*\*Pensionistas com baixos rendimentos, conforme disposto no artigo 19.º do Decreto-Lei nº48-A/2010 de 13/05/2021 (alterado pelo artigo 6.º do Decreto-Lei n.º 106-A/2010, de 01/10/2010); ¥ Conforme definido na Lei n.º 11/2012 de 8 de março; ATC. Classificação Anatômica Terapêutica Química; DCI. Denominação Comum Internacional; GH. Grupo Homogêneo; MG. Medicamento Genérico; MR. Medicamento de Referência; PVH: preço de venda ao hospital; PVP: preço de venda ao público; QM. Quota de mercado.

A implementação deste tipo de contrato exige um maior investimento do Estado em meios de compartilhamento de informação com os hospitais, de forma a monitorizar a sua aplicação. A celebração de contrato de financiamento é obrigatória para os medicamentos de utilização hospitalar e facultativa para os medicamentos de uso ambulatorial.<sup>32</sup>

Após decisão de financiamento, a qual compete ao membro do Governo responsável pela área da saúde, a mesma é devidamente comunicada aos interessados e publicada no Infomed, através de um Relatório de Avaliação de Financiamento Público (RAPF) que resume as principais conclusões da avaliação.<sup>17,32</sup>

### Monitoramento

Para efeitos de monitoramento e revisão dos contratos, registros eletrônicos que permitem a avaliação em contexto real da utilização das tecnologias de saúde têm sido desenvolvidos pelo

Infarmed, para além de acordos de parceria com entidades públicas ou sociedades médicas. O sistema de informação em contexto real permite monitorar a efetividade destas tecnologias, contribuindo para a revisão e monitoramento de contratos baseados em resultados.<sup>32</sup>

Desde 2015, a prescrição e dispensa de medicamentos e produtos de saúde é feita quase que exclusivamente por meio do programa Prescrição Eletrônica Médica (PEM).<sup>38,39</sup> A desmaterialização da receita física visa menor número de receitas emitidas desnecessariamente, maior segurança na autenticação, facilidade na emissão de receituário, autonomia, mobilidade e comodidade para o paciente e maior rigor no combate à fraude. A PEM reduziu 80% das fraudes já no segundo ano de implementação, chegando a 99% de redução nos dias atuais e referência de rastreabilidade na Europa. Em 2018, o programa incentivou a expansão da transformação digital na Saúde em Portugal e iniciou a internacionalização para outros países europeus.<sup>38</sup>



## Considerações finais

O processo de ATS visa identificar a evidência sobre os efeitos em saúde e os custos esperados para o SNS, associados à adoção da nova tecnologia, face às alternativas relevantes, assim como descrever a incerteza e identificar as suas fontes. A avaliação econômica deve, assim, estar em consonância com os resultados da avaliação farmacoterapêutica. É importante que as metodologias utilizadas para esta avaliação se mantenham atualizadas e de acordo com as evoluções registradas na área, não deixando de lado os desafios europeus neste âmbito, particularmente com a adoção do Regulamento (UE) 2021/2282 do Parlamento Europeu e do Conselho de 15 de dezembro de 2021 relativo à avaliação das tecnologias da saúde.<sup>40</sup> Neste sentido, destaca-se a importância das sinergias decorrentes da colaboração europeia nas matérias relacionadas com ATS, notadamente a *European network for Health Technology Assessment* (EUnetHTA) e o grupo criado pela declaração de La Valleta, das quais Portugal participa.

No atual sistema de financiamento, a revisão das condições de financiamento passados dois anos após o início da contratualização como regra geral confere maior dinamismo e contribui para a melhoria da eficiência do sistema como um todo. Adicionalmente, a Revisão Anual de Preços (RAP) constitui uma medida de controle de despesas, proporcionando a redução de preços, com consequente economia para os usuários e para o SNS. Na busca de todas estas atividades, é primordial captar e investir em recursos qualificados a fim de garantir que os melhores resultados sejam obtidos, fortalecendo assim todo o sistema de avaliação, financiamento e monitorização, e contribuindo para a melhoria do acesso às tecnologias de saúde e sustentabilidade do SNS.

## Colaboradores

SC: conceituação, redação do rascunho original, redação – revisão e edição; DPK: conceituação, redação do rascunho original, redação – revisão e edição; CF: conceituação, redação do rascunho original, redação – revisão e edição; FF: conceituação, redação do rascunho original, redação – revisão e edição. JAO: conceituação, redação do rascunho original, redação – revisão e edição. SAC: conceituação, redação do rascunho original, redação – revisão e edição. Todos os autores revisaram e aprovaram a versão final do trabalho e concordaram em ser responsáveis por todos os aspectos do trabalho.

## Declaração de conflito de interesses

Os autores declaram que não há conflitos de interesse em relação a este artigo.

## Isenção de responsabilidade

As opiniões expressas neste artigo são de responsabilidade de seus autores e não necessariamente refletem as do INFARMED - Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde, I.P., da Secretaria Executiva da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (SCMED), do *International Working Group for Health Systems Strengthening*, ou da Escola Nacional de Saúde Pública, Universidade Nova de Lisboa.

## Editores da Série convidados

Adriana Mitsue Ivama-Brummell, Daniella Pingret-Kipman, Claudia Serpa Osorio-de-Castro, Jaime Espín, Vania Cristina Canuto, Romilson Volotão, Augusto Guerra Junior, Gabriela Bittencourt Mosegui.

## Referências

1. UNDP. Report of Human Development. 2020 Available in: [https://hdr.undp.org/sites/default/files/hdr\\_2020\\_overview\\_portuguese.pdf](https://hdr.undp.org/sites/default/files/hdr_2020_overview_portuguese.pdf). Accessed on: 12 Apr 2022.
2. National Institute of Statistics (INE). Population residing in Portugal by place of residence. Available in: [https://www.ine.pt/xportal/xmain?xpid=INE&xpgid=ine\\_indicadores&contecto=pi&indOcorrCod=0011166&selTab=tab0](https://www.ine.pt/xportal/xmain?xpid=INE&xpgid=ine_indicadores&contecto=pi&indOcorrCod=0011166&selTab=tab0). Accessed on: 26 Apr 2022.
3. National Institute of Statistics (INE). Territory and population density in Portugal. Available in: [https://www.ine.pt/xportal/xmain?xpgid=ine\\_tema&xpid=INE&tema\\_cod=1211](https://www.ine.pt/xportal/xmain?xpgid=ine_tema&xpid=INE&tema_cod=1211). Accessed on: 26 Apr 2022.
4. The World Bank. CountryProfile | World Development Indicators. 2020. Available in: [https://databank.worldbank.org/views/reports/reportwidget.aspx?Report\\_Name=CountryProfile&Id=b450fd57&tbar=y&dd=y&inf=n&zm=n&country=PRT](https://databank.worldbank.org/views/reports/reportwidget.aspx?Report_Name=CountryProfile&Id=b450fd57&tbar=y&dd=y&inf=n&zm=n&country=PRT). Accessed on: 12 Apr 2022.
5. UNDP. Report of Human Development. 2020.
6. World Bank. Gini index (World Bank estimate)- United | Date. 2019. Available in: <https://data.worldbank.org/indicator/SI.POV.GINI?locations=PT&view=chart>. Accessed on: 2 Apr 2022.
7. Organization for Economic Cooperation and Development (OECD). Portugal: Country Health Profile 2021. Country Health Profile 2021. OECD; 2021; DOI: 10.1787/766C3111-EN.
8. OECD. Purchasing Power Parities (PPP). OECD; 2022 Available in: <https://data.oecd.org/conversion/purchasing-power-parities-ppp.htm#indicator-chart>. DOI: 10.1787/9789264189232-EN. Accessed on: 13 Apr 2022.
9. Kulesher RR, Elizabeth Forrestal E. International models of health systems financing. *Journal of Hospital Administration*. 2014;3(4):127–139. DOI: 10.5430/jha.v3n4p127.
10. Cantante AP da SR, Fernandes HIVM, Teixeira MJ, et al. Health Systems and Nursing Skills in Portugal. *Science & Public Health*. ABRASCO - Brazilian Association of Public Health; 2019;25(1):261–272. DOI: 10.1590/1413-81232020251.27682019.
11. Pricing P, Information R. PPRI Pharma Profile Portugal. 2008;(October).
12. Vogler S, Leopold C. Access to Essential Medicines in Portugal. Commissioned by the Health Action International Europe. 2009.
13. Decree-Law No. 152/2012 of July 12, Diário da República, 1. the N-series. 134, July 12, 2012.
14. Decree-Law No. 176/2006, Diário da República n. 167/2006, Series I of August 30, in its current writing.



15. Directive 2001/83/EC of the European Parliament and the Council of 6 November 2001 establishing a community code on medicinal products for human use. Official Journal n o L 311 of 28/11/2001 p 0067- 0128.
16. Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and the Council of 31 March 2004 establishing Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency (Relevant Text for EEA purposes). Jornal Oficial no L 136 of 30/04/2004 p 0001- 0033.
17. INFARMED. I.P., Infomed - Database of medicines for human use. Accessed on: 8 Apr 2022. Available in: <https://extranet.infarmed.pt/INFOMED-fo/>.
18. INFARMED, I.P., Market Monitoring Report. Available in: <https://www.infarmed.pt/web/infarmed/entidades/medicamentos-uso-humano/monitorizacao-mercado>. Accessed on: 8 Apr 2022.
19. WORLD HEALTH ORGANIZATION (WHO). Seventy-second world health assembly Geneva, 20-28 May 2019 Resolutions and Decisions Annexes.
20. Ordinance No. 548/88, Diário da República n. the 187, Series I, August 13, 1988.
21. Ordinance No. 29/90, Diário da República n. the 11, Series I, January 13, 1990.
22. Directive 89/105/EEC of 21 December 1988, Official Journal of the European Communities, N. L 40/8-11, 11.2.89.
23. Decree-Law No 65/2007, Diário da República, 1a series, No 52, 14 March 2007.
24. Decree-Law No. 134/2005, Diário da República n. o 154, Series I-A, August 16.
25. Ordinance No. 827/2005, Diário da República n. the 177, Series I-B, September 14, 2005.
26. Vogler S, Zimmermann N, Haasis MA, et al. Pharmaceutical pricing and reimbursement policies in 47 PPRI network member countries Authors. 2019.
27. Ordinance No. 280/2021, Diário da República, 1a série, N. 234, Page 48-50 of 3 December 2021.
28. Decree-Law No. 81/90, Diário da República - I Série N. 59, March 12, 1990.
29. Ordinance No. 195-C/2015, of June 30, 2015, in the essay conferred on it by Ordinance No. 290-A/2016, of November 15, Diário da República n. 219/2016, 1supplement, Series I of November 15.
30. Martins J, Cardoso F, Guerra L. How are drug prices formed? 1a. Focus, editor. 2017.
31. ODS. Ensure access to quality health and promote well-being for all, at all ages. 2022 Available in: <https://www.ods.pt/objectivos/3-vida-saudavel/?portfolioCats=24>. Accessed on: 13 Apr 2022.
32. Decree-Law No. 97/2015 of June 1, 2015, in the wording conferred on it by Decree-Law no. o 115/2017, of September 7, Diário da República n. o 173/2017, Series I 2017-09-07, pages 5316- 5332.
33. Order No 19064/99, Diário da República, 2. the series, n. 233 of 6 October 1999.
34. Health Technology Assessment Commission (CATS). Methodology for Pharmacotherapeutic Evaluation. 2016. Available in: <https://www.infarmed.pt/documents/15786/1963929/Metodologia+CATS/77f97467-01a9-4a82-8012-d6a-608f420e1>. Accessed on: 8 Apr 2022.
35. INFARMED I.P. Projeto INCLUIR. Available in: <https://www.infarmed.pt/documents/15786/2304493/Projeto+INCLUIR/14ee5af7-743a-4f99-b463-ee78efd0a775>. Accessed on: 11 Mar 2022.
36. Ordinance No. 195-A/2015 of June 30, Diário da República, 1a série, No. 125, 30 June 2015.
37. Perelman J, Soares M, Mateus C, et al. Methodological guidelines for studies of economic evaluation of health technologies. INFARMED- National Medicines and Health Products Authority, IP, Lisbon. 2019.
38. National Health Service. Paperless Recipe - PEM. 2022. Available in: <https://pem.spms.min-saude.pt/receita-sem-papel/>. Accessed on: 12 Apr 2022.
39. Ordinance No. 224/2015, Diário da República n. 144/2015, Series I of July 27, 2015, in its current version.
40. Regulation (EU) 2021/2282 of the European Parliament and the Council of 15 December 2021 on the assessment of health technologies and amending Directive 2011/24/EU. Available in: [https://eur-lex.europa.eu/legal-content/PT/TX/?uri=uriserv%3A0J.L\\_.2021.458.01.0001.01.POR&toc=O-J%3AL%3A2021%3A458%3ATOC](https://eur-lex.europa.eu/legal-content/PT/TX/?uri=uriserv%3A0J.L_.2021.458.01.0001.01.POR&toc=O-J%3AL%3A2021%3A458%3ATOC). Accessed on: 13 Mar 2022.