

MERCOSUL/GMC/RES. Nº 03/13

**GUIA METODOLÓGICO PARA ESTUDOS DE AVALIAÇÃO ECONÔMICA DE
TECNOLOGIAS EM SAÚDE**

TENDO EM VISTA: O Tratado de Assunção, o Protocolo de Ouro Preto, o Protocolo de Ushuaia sobre Compromisso Democrático no MERCOSUL, Bolívia e Chile e as Resoluções Nº 18/05, 12/08 e 06/12 do Grupo Mercado Comum.

CONSIDERANDO:

Que é necessário dispor de guias únicas e harmonizadas para a avaliação econômica de tecnologias em saúde.

Que a crescente incorporação de inovações tecnológicas nem sempre representa vantagens sobre as tecnologias existentes.

Que é necessário apoiar decisões fundamentadas em evidências científicas para a incorporação de tecnologias em saúde.

Que a aplicação de uma tecnologia em saúde, quando utilizada em situações reais ou habituais apresenta uma variabilidade econômica que é influenciada por múltiplos fatores.

Que é importante promover o uso racional de tecnologias pelos profissionais e cidadãos.

Que a incorporação de novas tecnologias gera impactos sociais, éticos, organizacionais e econômicos na saúde.

Que é necessário compartilhar e trocar informações entre os Estados Partes, evitando a duplicação de trabalhos, através da harmonização de metodologias.

Que é necessário contar com um instrumento unificado e harmonizado para efetuar as avaliações econômicas de tecnologias em saúde.

**O GRUPO MERCADO COMUM
RESOLVE:**

Art. 1º - Aprovar o "Guia Metodológico para Estudos de Avaliação Econômica de Tecnologias em Saúde", que consta como Anexo e faz parte da presente Resolução.

Art. 2º - Esta Resolução deverá ser incorporada ao ordenamento jurídico dos Estados Partes, antes de 31/XII/2013.

XCI GMC – Montevideu, 07/VI/13.

ANEXO

GUIA METODOLÓGICO PARA ESTUDOS DE AVALIAÇÃO ECONÔMICA DE TECNOLOGIAS EM SAÚDE

Conteúdo

1. Considerações gerais
2. Definições
3. Caracterização do problema
4. População-alvo e população incluída
5. Desenho do estudo
6. Tipos de análises
7. Intervenções a serem comparadas
8. Perspectiva da análise
9. Horizonte temporal
10. Caracterização e mensuração de resultados
11. Quantificação e custeio de recursos
12. Modelagem
13. Taxa de desconto
14. Resultados
15. Análise de sensibilidade
16. Generalização dos resultados
17. Limitações do estudo
18. Considerações sobre o impacto orçamentário e equidade
19. Aspectos éticos e administrativos
20. Conclusões e recomendações
21. Conflito de interesses / fontes de financiamento
22. Formato de apresentação

87-
M

7
JH

1. CONSIDERAÇÕES GERAIS

1.1 Este guia estabelece os procedimentos e métodos que devem empregar os analistas e pesquisadores para produzir, realizar, descrever, reportar e valorar as avaliações econômicas de tecnologias em saúde nos Estados Partes.

1.2 Este Guia Metodológico fornece um marco para a padronização das avaliações econômicas de tecnologias em saúde nos Estados Partes.

2. DEFINIÇÕES

As definições dadas a seguir aplicam-se aos termos utilizados nesta Guia Metodológica, estas podem ter significados diferentes em outros contextos.

Agência de avaliação de tecnologias em saúde: Instituição pública ou privada dedicada a realizar e a divulgar os resultados de pesquisas sobre tecnologias em saúde, novas e preexistentes, a partir de evidências disponíveis sobre a segurança, a eficácia, a efetividade, a relação custo-efeito e o impacto socioeconômico e ético dessas tecnologias.

Alternativa: Opção com a qual a intervenção ou tecnologia é comparada.

Análise conjunta "discrete choice experiment": Técnica para valorar os benefícios das tecnologias em saúde que consiste em solicitar aos indivíduos que selecionem entre distintas alternativas de atributos que apresenta a tecnologia. Se o custo da tecnologia é um desses atributos, essa técnica permite determinar indiretamente a disposição a pagar dos indivíduos.

Análise de cenários: Tipo de análise de sensibilidade multivariável, que considera substituir simultaneamente diversas variáveis do modelo associadas com subgrupos identificáveis de interesse; a variabilidade pode ser avaliada através das análises de cenários, que incluam pelo menos a melhor e a pior possibilidade.

Análise de custo-benefício (ACB): Avaliação econômica completa de tecnologias, no âmbito da saúde, na qual tanto os custos das tecnologias comparadas quanto seus efeitos são valorados em unidades monetárias.

Análise de custo-consequência (ACC): Tipo de avaliação econômica na qual custos e consequências das tecnologias em saúde são listados separadamente em formato desagregado, sem agregação dos resultados (por exemplo, em uma razão custo-efetividade incremental).

Análise de custo-efetividade (ACE): Avaliação econômica completa, no âmbito da saúde, que compara diferentes intervenções de saúde, cujos custos são expressos em unidades monetárias, e os efeitos, em unidades clínico-epidemiológicas (tais como anos de vida, ganhos ou eventos clínicos evitados). Este termo é também usado ocasionalmente para referir-se a todos os tipos de avaliações econômicas.

Análise de custo em saúde: Avaliação econômica parcial, no âmbito da Saúde, que considera apenas os custos do uso da tecnologia.

Análise de custo-minimização (ACM): Avaliação econômica que compara apenas os custos de duas ou mais tecnologias. Os efeitos sobre a saúde que resultam das tecnologias comparadas são consideradas similares.

Análise de custo-utilidade (ACU): Avaliação econômica completa que permite a comparação entre diferentes tipos de intervenção de saúde e os efeitos destes, medidos em Anos de Vida Ajustados pela Qualidade (AVAQ). Os custos de intervenções de saúde são expressos em unidades monetárias.

Análise de sensibilidade: Procedimento analítico que avalia a solidez dos resultados de um estudo, mediante o cálculo de alterações nos resultados e nas conclusões que se produzem quando as variáveis, chave do problema, mudam em um intervalo específico de valores. Uma análise de sensibilidade consiste de três etapas: (a) definição dos parâmetros que são objeto de questionamento; (b) eleição de uma faixa plausível de variação dos fatores relacionados à incerteza e (c) apresentação dos diferentes resultados decorrentes da variação dos parâmetros selecionados.

As análises de sensibilidade podem ser univariadas ou multivariadas e de primeira ou de segunda ordem.

Nas análises univariadas, cada parâmetro é avaliado separadamente em sua faixa de variação, enquanto os outros permanecem constantes. Seu objetivo é verificar a influência do parâmetro analisado no resultado final de modo a determinar se é ou não sensível a suas mudanças. Quanto maior é o impacto nos resultados, maior deve ser a precaução a ser tomada na interpretação dos resultados. A análise univariada de todos os parâmetros influenciados pela variabilidade dos dados e da incerteza pode ser suficiente para garantir confiabilidade aos resultados da avaliação econômica.

As análises multivariadas modificam dois ou mais parâmetros simultaneamente, com a finalidade de verificar o impacto deles no resultado do estudo. Geralmente, quanto maior é o número de parâmetros utilizados, mais difícil é a interpretação dos resultados do modelo. Para diminuir este problema, a construção de cenários é um caminho para explorar o impacto da variação nos diferentes estados de saúde. Nessa situação, devem ser construídos cenários que refletem o melhor e o pior dos casos.

Outra eleição que deve ser realizada é relativa à forma em como os parâmetros devem variar. A primeira possibilidade é decidir por valores determinados (0% e 10% na taxa de desconto, por exemplo) e observar o impacto no resultado. A segunda possibilidade é introduzir uma função de probabilidade para estudar as variações nos parâmetros.

STP 7 80
4

Os limites plausíveis de variação dos parâmetros devem ser definidos e justificados. Esses limites devem refletir a escala total da variabilidade e da incerteza que é relevante e apropriada para cada modelo. Esses limites podem ser determinados a partir da revisão da literatura, pela consulta a especialistas e usando intervalos de confiança, para dados estocásticos.

Ao realizar análises estocásticas, nas quais os dados de custo e eficácia dos tratamentos para cada paciente estão disponíveis, as incertezas derivadas dos erros de amostragem devem ser analisadas a partir de intervalos de confiança aplicados ao resultado do estudo. Vários métodos foram propostos para estimar esses intervalos de confiança nos estudos de custo-efetividade nessas circunstâncias, com diferentes escalas de intervalo. Preferencialmente, devem ser utilizados o método baseado no teorema de Fieller em análise paramétricas, e o método básico de "bootstrap", para análises não paramétricas. Esses métodos produzem melhores resultados, com maior probabilidade de garantir que os parâmetros da população estejam dentro do intervalo de confiança estimado. Uma alternativa interessante é a de construir curvas de aceitabilidade das estratégias. Essas curvas representam a probabilidade de uma estratégia em questão ser custo-efetiva para diferentes razões de valores, em um intervalo de 0 a 1. Deve-se verificar que essas curvas não apresentam um problema encontrado na determinação dos intervalos de confiança, a existência de razões negativas de custo-efetividade.

Uma simulação de segunda ordem de Monte Carlo deve ser utilizada para a obtenção de resultados que dependem do tipo de distribuição de probabilidades que são definidas pelos parâmetros. As simulações de Monte Carlo oferecem resultados probabilísticos de estudos de avaliação econômica. Assim, é possível avaliar as propriedades estatísticas da distribuição de probabilidades dos resultados e utilizar intervalos de confiança para verificar a validade das conclusões.

Análise de impacto orçamentário "Budget impact analysis" (AIO): Estimativa do impacto no uso de serviços e custos nos primeiros dois anos (e anos subsequentes) após a inclusão de uma nova tecnologia em um formulário, listagem definida de prestações, programa de cobertura específica ou sistema de saúde. As AIO são realizadas baseadas em uma avaliação econômica prévia ou de forma independente. As AIO são realizadas com um marco de análise adequado à natureza da condição de saúde a avaliar as tecnologias envolvidas. Para condições crônicas de saúde é necessário utilizar modelos que considerem o fator de dependência temporária e associação entre variáveis, tais como Modelos de Markov, entre outros. No caso de condições agudas de saúde, é possível utilizar modelos mais simples em que o episódio de saúde é a unidade de análise. Deve se esclarecer a perspectiva utilizada, os cenários ou grupos de intervenções a serem comparados, a população a ser incluída, o horizonte temporal considerado relevante para o solicitante, o método de custeio, e agregar uma análise de sensibilidade que mostre uma série de resultados que reflita um leque plausível de circunstâncias que o solicitante pode enfrentar quando incluir a nova tecnologia em questão. A AIO deve ser submetida a procedimentos de validação específicos.

Análise estratificada: Processo de análise de subgrupos menores e mais homogêneos de acordo com critérios específicos, como idade ou nível socioeconômico, quando existe variabilidade (heterogeneidade) na população.

Análise probabilística de sensibilidade: Método de análise de decisão em que distribuições de probabilidades são especificadas para parâmetros incertos, onde a partir da realização de uma simulação de Monte Carlo, é apresentada a distribuição de probabilidades resultantes dos custos e resultados esperados.

Anos de Vida Ajustados por Incapacidade (AVAI): Índice que representa os anos futuros de vida isentos de incapacidades que se perderiam em um dado período, por consequência de mortes prematuras ou de situações de incapacidade provocadas por enfermidades.

Anos de Vida Ajustados por Qualidade (AVAQ ou QALY – “Quality-adjusted life year”): Unidade de medida bidimensional do bem-estar de um indivíduo ou de um grupo de pessoas que ajusta os anos de vida segundo a utilidade avaliada como consequência dos estados imperfeitos de saúde. O valor da unidade de medida está compreendido entre 0 (zero), que é morte, e 1 (um) ou 100 (cem), que é saúde perfeita.

Por definição e em sua forma mais simples, a especificação da função agregada proposta pelo método QALY, usado para agregar um ganho de (t) anos de vida em um estado de saúde cuja qualidade é mensurada pelo valor (q), é igual ao período (t) multiplicado pela qualidade de vida (q).

Os QALY representam uma unidade comum para comparar o custo-utilidade de diferentes intervenções de saúde e para estabelecer prioridades para a alocação de recursos exíguos e têm sido amplamente utilizados na literatura internacional

Anos Potenciais de Vida Perdidos (APVP): Unidade de medida de impacto relativa a várias enfermidades e a problemas de saúde na sociedade, calculada a partir da soma dos anos de vida perdidos em consequência de mortes de jovens ou de mortes prematuras das pessoas de uma dada região ou de um país.

Árvore de Decisão: Representação gráfica da decisão, incorporando opções alternativas, eventos incertos (e suas probabilidades) e resultados em saúde.

Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS): Avaliação sistemática de propriedades, efeitos e/ou impactos das tecnologias na saúde, tendo em conta suas consequências diretas ou intencionais e indiretas ou não intencionais. Seu principal objetivo é informar ao tomadores de decisão e constituir-se em insumo para as políticas relaciona a tecnologias da saúde. A ATS se realiza por meio de uma equipe multidisciplinaria utilizando um paradigma de análises explicito com múltiplas metodologias.

Avaliação Econômica em saúde: Análise comparativa de diferentes tecnologias, no âmbito da saúde, referentes a seus custos e aos efeitos sobre o estado de saúde. As principais técnicas de avaliação econômica completa são: a análise de custo-efetividade, custo-utilidade, custo-minimização e custo-benefício.

Avaliação econômica "piggy-backed": Estudos prospectivos em que a avaliação econômica é realizada em paralelo ao ensaio clínico.

Avaliador: Aquele que conduz a avaliação econômica.

Benefício: Ganho ou resultado positivo de qualquer tecnologia em saúde.

Benefício Líquido: Um dos métodos de representação dos resultados das avaliações econômicas de custo-benefício, representa a diferença entre o benefício total e o custo total da intervenção sob exame, menos a diferença entre o benefício total e o custo total de sua estratégia alternativa.

Caso-referência: Conjunto de métodos a seguir, preferidos pelo analista, quando conduz a análise do caso de base nas avaliações econômicas.

Centro de custos: Setor de uma instituição que possui gastos mensuráveis.

Conferências de Consenso: Técnica de tomada de decisão em que se reúnem as partes interessadas no cuidado, para chegar a um consenso sobre a segurança, a eficácia e as condições apropriadas para o uso de uma tecnologia, baseando seus julgamentos nas evidências científicas disponíveis.

Consumo de serviços de saúde: Uso ou emprego dos serviços de saúde por parte de um indivíduo ou grupo de pessoas, a fim de se obter uma satisfação em termos de melhoria da qualidade de vida relacionada à saúde.

Controle de custos: Estratégia utilizada para o controle dos custos provenientes de qualquer sistema de produção de bens e serviços de saúde.

Coorte: Grupo de indivíduos que tem uma característica comum que é a presença de uma exposição a um fator em estudo ou a ausência desse fator.

Cuidado habitual ou usual: Alternativa mais comum ou mais amplamente utilizada na prática clínica; também referido como "prática existente", "prática corrente", "cuidado típico" ou "*status quo*".

Custo: Valor de todos os recursos gastos na produção de um bem ou serviço.

Custo de oportunidade: Custo em que a sociedade incorre ao disponibilizar uma tecnologia em saúde para a população, à medida que os recursos empregados para tal ficam indisponíveis para outros fins. O custo de oportunidade também é conhecido como o valor da melhor alternativa não concretizada, em consequência da utilização de recursos limitados na produção de um determinado bem ou serviço de saúde.

Custo direto: Custo atribuído diretamente ao produto ou serviço prestado, não sendo necessária nenhuma metodologia de rateio.

STP JM OB 7

Custo econômico: Custo de oportunidade.

Custo em saúde: Valor dos recursos empregados no uso de uma alternativa terapêutica, de um programa ou de um serviço de saúde durante um período de tempo.

Custo-enfermidade "cost-of-illness": Tipo de avaliação econômica parcial por meio da qual se calcula o impacto econômico, ou os custos da prevalência, ou os custos da incidência de determinada enfermidade durante um dado período de tempo.

Custo marginal: Aumento que experimenta o custo total, originado a partir do aumento de uma unidade no volume de produção.

Custo médio unitário: Custo total dividido pela quantidade produzida, em um determinado período. Pode ser obtido em relação ao custo direto, indireto e total.

Custo total: É o resultado do somatório dos custos diretos e indiretos de todas as unidades de um mesmo bem ou serviço produzidas durante determinado período de tempo.

Custo variável: Custo que é passível de alteração em curto prazo. Esse custo modifica-se proporcionalmente ao volume produzido e que, somado ao custo fixo, constitui-se no custo total de um determinado serviço ou produto.

Custos brutos "top down costing": Abordagem de mensuração de custos que usa grandes componentes como base para o cálculo dos custos de uma intervenção, tais como custos por dia de internação.

Custos de produtividade (ou indireto): São os custos associados à perda ou redução da capacidade de trabalhar de um indivíduo ou de um grupo de pessoas, em função da morbimortalidade ocasionada por enfermidades.

DALY (DALY / "disability-adjusted life years"): Anos de vida ajustados pela incapacidade.

Demanda: Quantidade de um bem ou serviço que um indivíduo pode e está disposto a comprar para cada nível de preço estabelecido no mercado, desde que se mantenham inalterados todos os outros fatores que afetam o consumo desse bem.

Depreciação: Redução de valor ou de preço que se registra na maioria dos bens, em função do uso, do desgaste físico, das evoluções tecnológicas, do passar do tempo ou das alterações nos preços de outros fatores de produção. A depreciação de uma moeda significa sua desvalorização em relação a outras.

Despesa: Montante de recursos gastos, em um determinado período, que não está diretamente relacionado com a atividade fim. A despesa pode ser apropriada ou não, no produto ou serviço, sob a forma de custo indireto, como por exemplos, salários da administração, telefone e aluguel.

Disposição a pagar "*willingness-to-pay*" (DAAP): Método de avaliação usado nas avaliações de custo-benefício para quantificar os resultados em saúde em termos monetários. É utilizado para determinar a quantidade máxima de dinheiro que os indivíduos se dispõem a pagar por um dado resultado ou benefício em saúde.

Distribuição de recursos em saúde: É a forma como o setor saúde distribui seus recursos, financeiros entre as diferentes alternativas de tecnologias, com o objetivo de atender às necessidades de saúde da sociedade.

Dominância forte (simples ou estrita): Estado em que uma intervenção é mais efetiva e menos custosa que sua alternativa.

Dominância fraca (ou estendida): Estado em que uma intervenção é mais custosa e menos efetiva e tem menor razão de custo-efetividade incremental, que sua alternativa.

Efeitos em saúde: Ganhos, resultados ou consequências de qualquer tecnologia em saúde.

Efetividade: Medida dos resultados ou consequências originados da aplicação de uma tecnologia em saúde, quando utilizada em situações reais ou habituais de uso.

Eficácia: Medida dos resultados ou consequências originados de uma aplicação de uma tecnologia em saúde, quando utilizada em situações ideais ou experimentais.

Eficiência: Conceito econômico derivado da escassez de recursos que vincula a produção de bens e serviços desejados pela sociedade ao menor custo social possível.

Ensaio clínico: Qualquer forma de experimento planejado que considera pessoas doentes e é formulado para determinar o tratamento mais apropriado nos futuros pacientes com a mesma doença.

Ensaio clínico controlado cruzado (ensaio sequencial, "*crossover clinical trial*"): Estudo no qual a metade de um grupo de pacientes recebe um tratamento e a outra metade, o tratamento controle (placebo). Depois de uma pausa temporal "*washout period*", é feita uma inversão, com a primeira metade recebendo o placebo e, a segunda, o tratamento sob análise. Este tipo de estudo permite comparar os resultados em conjunto, ou seja, todos os que foram submetidos ao tratamento com todos os que receberam o placebo, o que permite reduzir pela metade o número da casuística em relação ao ensaio clínico controlado. É importante evitar a possibilidade de que o tratamento ou sua falta na primeira etapa tenha repercussão na segunda etapa.



Ensaio clínico controlado fatorial "*factorial clinical trial*": Variante do ensaio clínico controlado aleatorizado, porém com um delineamento fatorial. Ao invés de se considerar apenas um fator, por exemplo, de uma droga ou intervenção "A", pode-se testar os efeitos da droga ou intervenção "A", droga ou intervenção "B", drogas ou intervenções "A + B", além do placebo ou procedimento controle, formando-se assim, por exemplo, quatro grupos.

Equidade em saúde: Princípio segundo o qual a distribuição de recursos é realizada em função das necessidades de saúde de uma determinada população.

Estudo multicêntrico: Estudo cooperativo entre diversas instituições que permite a obtenção de casuísticas maiores "*megatrials*", mas exige elaboração mais complexa quanto a protocolos, assim como treinamento e integração das equipes.

Estudos abertos "*open*", "*open label*", "*open clinical trial*": Ensaios em que todos os pesquisadores integrantes da equipe de investigação, assim como todos os pacientes sabem a que grupo pertence cada indivíduo da casuística, ou seja, se ao grupo controle ou ao(s) grupo(s) experimental(is).

Estudos aleatorizados: Estudos em que os integrantes da pesquisa são distribuídos aleatoriamente em dois grupos: controle e experimentais.

Estudos clínicos controlados aleatorizados: Ensaios clínicos que envolvem pelo menos um tratamento em análise e um tratamento de controle, ingresso simultâneo de pacientes e acompanhamento dos grupos em análise e controle e nos quais o tratamento a ser administrado é selecionado por um processo aleatorizado. A aleatorização reduz o risco de erros sistemáticos, produzindo um equilíbrio entre os diversos fatores de risco que podem influenciar no desfecho clínico a ser medido.

Estudos comparativos: Estudos em que se observam grupos diferentes, não sendo um controle do outro.

Estudos controlados: Pesquisas que consideram o estudo de um "grupo de casos" e de um "grupo controle". Devem ser mais semelhantes possível, diferindo apenas pelo fato que um grupo recebe o placebo ou tratamento já consagrado, e o outro, o novo tratamento proposto. Permitem a proposta de hipóteses, comparando os resultados entre os grupos e são, geralmente, utilizados em estudos analíticos envolvendo cálculos de probabilidades estatísticas.

Estudos de acurácia: Tipo de pesquisa utilizada para que um novo teste diagnóstico sob estudo (exames complementares, mas também associações obtidas de sinais, sintomas e/ou evidências clínicas) garantam que seu resultado positivo indique, realmente, a presença de uma doença, e que seja negativo na real ausência da mesma.

Estudos de coorte (estudo de seguimento, "*cohort study*"): Estudos longitudinais em que o pesquisador, depois de distribuir os indivíduos em não expostos e expostos a um dado fator em estudo, faz seu acompanhamento durante um determinado período de tempo para verificar a incidência de uma doença ou

situação clínica entre os expostos e não expostos.

Estudos de incidência: Estudos longitudinais em que se avaliam casos novos ou desfechos novos dos casos existentes de uma doença específica, que ocorrem em uma população que não os apresentava.

Estudos de intervenção: Estudos em que o pesquisador não se limita à simples observação, mas interfere pela exclusão, inclusão ou modificação de um determinado fator.

Estudos de observação: Estudos nos quais o pesquisador simplesmente observa o paciente, as características da doença ou transtorno, e sua evolução, sem intervir ou modificar qualquer aspecto sob estudo.

Estudos de precisão: tipo de investigação utilizada para que um novo teste, diagnóstico sob estudo (exames complementários, mas também associações de sinais, sintomas e/ou evidências clínicas) garantem que seu resultado positivo indique, realmente a presença de uma doença, e que seja negativo na real ausência da mesma.

Estudos de prevalência (detecção de casos, "*screening*"): Estudos transversais que tem por objetivo conhecer a probabilidade de indivíduos assintomáticos desenvolverem ou não a doença ou situação clínica que é objeto da pesquisa.

Estudos duplo-cego "*double-blind*": Estudos em que a equipe de investigação e os pacientes desconhecem a identidade dos grupos controle e grupo(s) experimental(is). Somente uma pessoa da equipe, que não vai lidar com os pacientes e tampouco avaliar os resultados, sabe quem pertence a cada grupo.

Estudos em centro único: Estudos desenvolvidos por uma equipe de investigação que inclui somente uma instituição de pesquisa.

Estudos longitudinais "*follow up*": Estudos em que existe uma sequência temporal conhecida entre uma exposição, ausência da mesma ou intervenção terapêutica, e o aparecimento da doença ou fato evolutivo. Destina-se a estudar um processo ao longo do tempo para investigar mudanças. Tem a desvantagem de estar sujeito a variações originárias de fatores extrínsecos, que podem mudar o grau de comparação entre os grupos.

Estudos não aleatorizados: Estudos em que não é feita uma distribuição aleatória dos sujeitos da pesquisa pelos grupos controle e experimentais, podendo haver distorções nos resultados em consequência da casuística ou amostragem viciada.

Estudos não controlados (estudo de casos, estudo "antes e depois", estudo da relação estímulo/efeito): Pesquisas clínicas em que se registram os dados relativos à observação clínica e/ou laboratorial de grupos de indivíduos portadores de uma doença, sem utilizar um grupo controle ou placebo.

ST
Ja
11
7

Estudos primários: Investigações originais.

Estudos prospectivos: Estudos em que a estruturação da pesquisa é feita no presente e os indivíduos são seguidos ao longo do tempo, sendo necessário o cumprimento das exigências inerentes à padronização e qualidade das informações obtidas.

Estudos quádruplo-cego "*quadruple-blind*", "*quadruple-masked*": Estudos nos quais a equipe de investigação, os pacientes, o bioestatístico que faz as análises e o pesquisador que está escrevendo a discussão sobre os resultados desconhecem a identidade dos grupos controle e grupo(s) experimental(is).

Estudos retrospectivos: Estudos em que são feitas análises a partir de registros do passado, seguindo-se daquele momento até o presente. Dependem da credibilidade nos dados de registros a serem computados, em relação à exposição do fator e/ou à sua intensidade, e à ocorrência da doença, situação clínica ou óbito com correlação conhecida ao fator de exposição.

Estudos secundários: Estudos que procuram estabelecer conclusões a partir de estudos primários e incluem as revisões não sistemáticas da literatura, as revisões sistemáticas com e sem meta-análise, e os artigos de revisão.

Estudos tipo caso-controle "*case-control study*": Estudos em que o pesquisador, depois de distribuir as pessoas como doentes e não doentes verifica, retrospectivamente, se houve exposição prévia a um fator entre os doentes e os não doentes. As pessoas doentes ou portadoras são denominadas "casos", e as não doentes ou não portadoras, "controle".

Estudos transversais (ou seccionais): Estudos nos quais a exposição ao fator ou causa está presente no mesmo momento ou intervalo de tempo analisado que o efeito. Descreve uma situação ou fenômeno em um momento não definido, somente representado pela presença de uma doença ou transtorno. São utilizados quando a exposição é relativamente constante no tempo e o efeito (ou doença) é crônico. Tem como principais vantagens o baixo custo e quase total ausência de perdas de seguimento.

Estudos triplo-cego "*triple-blind*", "*triple-masked*": Estudos em que a equipe de investigação, os pacientes e o profissional de bioestatística que faz as análises desconhecem a identidade dos grupos controle e grupo(s) experimental(is).

Estudos unicego "*blind*", "*single-masked*": Estudos em que somente a equipe de investigação sabe qual foi o tipo de tratamento instituído em cada paciente ou a que grupo cada paciente pertence. Geralmente, esta modalidade é aplicada a estudos relativos a tratamentos por intervenções cirúrgicas ou radioterapia.

Evento adverso: Efeito indesejável de uma tecnologia em saúde.

Handwritten signatures and the number 12.

Evento adverso grave: Evento adverso que resulta em morte ou em ameaça à vida ou requer hospitalização do paciente ou prolongamento de uma internação já presente; resulta em persistente ou significativa incapacidade/deficiência ou em anomalia congênita.

Farmacoeconomia: Conjunto de atividades dedicadas, de modo geral, à análise econômica no campo da assistência farmacêutica, como a gestão de serviços farmacêuticos, a avaliação da prática profissional e a avaliação econômica de medicamentos.

Função de Distribuição de probabilidades "*probability density function*": Representação numérica ou matemática da probabilidade relativa de cada possível valor que o parâmetro possa assumir.

Gastos: Montante de recursos gastos em um determinado período, que não está diretamente relacionado com a atividade final. O gasto pode ser atribuído ou não ao produto ou serviço, como uma forma de custo indireto.

Generalização: Possibilidade de aplicação ou extrapolação dos resultados obtidos de uma população ou espaço de prática. Também referido como validade externa ou aplicabilidade.

Horizonte temporal: Período de tempo ao longo do qual os custos e resultados são medidos em uma avaliação econômica.

HYE "*healthy-years equivalentes*" (HYE): ganhos equivalentes em anos saudáveis.

Incerteza: Estado no qual o valor verdadeiro de um parâmetro ou estrutura de um processo é desconhecido.

Incerteza de Parâmetros: Incerteza sobre o verdadeiro valor numérico dos parâmetros do modelo.

Incerteza do Modelo: Incerteza relacionada com as características de desenho do modelo (estrutura, métodos analíticos, pressupostos). A incerteza do modelo depende das opções e pressupostos feitos pelo analista.

Incerteza nas Avaliações Econômicas: Incerteza de Parâmetros representada pela função da frequência da distribuição de probabilidade que não pode ser reduzida. A incerteza provém do desconhecimento do valor exato dos parâmetros como consequência das imperfeições da medida realizada. Na escolha das estratégias de intervenção em saúde, a análise de sensibilidade é o procedimento mais comum para avaliar o impacto da variabilidade dos dados e da incerteza nos resultados finais e em sua repercussão.

Inflação: Processo de aumento contínuo no nível geral de preços de uma economia.

“Inputs” do modelo: Parâmetros (por exemplo, resultados, uso dos recursos, utilidades) e características de desenho (estrutura, métodos analíticos, pressupostos) do modelo.

Intervenção: Tecnologia em saúde de interesse para a avaliação econômica.

Intervenção diagnóstica: Compreende aquelas referentes ao exame de indivíduos presumidamente doentes, com a intenção de identificar a causa e a natureza ou a extensão de uma afecção ou enfermidade em indivíduos com sinais e sintomas clínicos.

Intervenções de rastreamento ou “screening”: Utilizam-se para o exame de pessoas presumidamente saudáveis e visam detectar doenças, anormalidades ou fatores de risco associados em indivíduos assintomáticos.

Intervenções preventivas: Objetivam proteger contra doenças e outros agravos através da prevenção de sua ocorrência, da redução no risco de ocorrência ou da limitação de sua extensão e sequelas. A prevenção pode ser primária (visando reduzir o número de casos novos de alguma doença ou agravo), secundária (para reduzir o número de casos já estabelecidos na sociedade) ou terciária (para estabilizar ou reduzir o tamanho da incapacidade física ou mental associada com uma dada doença ou condição). Os cuidados de apoio podem ser parte de um tratamento específico (por exemplo, na recuperação cirúrgica pós-operatória) ou podem ser instituídos quando um tratamento ativo foi suspenso (por exemplo, cuidados paliativos).

Intervenção terapêutica: Aquela cujo objetivo é melhorar ou eliminar uma doença ou condição já diagnosticada.

Limitações dos estudos de avaliação econômica: As informações e métodos utilizados podem introduzir vieses nas análises em favor de uma alternativa estudada ou de algum dos subgrupos. Devem considerar as seguintes perguntas: a) Os resultados podem ser considerados factíveis e válidos? b) Quais as informações e conhecimentos que podem ser aprendidos com esse estudo? e c) Em quais situações o resultado alcançado pode ser utilizado?

Os dados e métodos utilizados na análise e os limites da generalização dos resultados para outros pacientes devem ser totalmente descritos. Em particular, estudos que usam dados de eficácia, por exemplo, de ensaios clínicos, devem considerar as diferenças sobre a efetividade e o impacto no resultado de estudo de custo-efetividade empreendido. Informações econômicas e epidemiológicas não podem ser transferidas de um país para outro sem uma verificação prévia. Deve ser demonstrado que esses dados (clínicos, epidemiológicos ou econômicos) podem ser transferidos com suficiente aplicabilidade.

Média ponderada: O preço médio ponderado de uma tecnologia em saúde é o somatório da multiplicação de cada preço pela sua respectiva quantidade vendida, dividido pelo total de quantidades vendidas.

14

Medicamento: Produto farmacêutico, tecnicamente obtido ou elaborado, com finalidade profilática, curativa, paliativa ou para fins de diagnóstico. É uma forma farmacêutica terminada que contém o fármaco, geralmente em associação com adjuvantes farmacotécnicos.

Medidas de avaliação da qualidade de vida relacionada à saúde: Descrevem-se estados de saúde e se realiza um procedimento de cálculo que permite associar um valor numérico qualitativo a um estado de saúde. Uma vez escolhida uma medida de qualidade de vida em saúde, suas condições de uso devem ser respeitadas; em particular, as características da população-alvo, a doença ou condição mórbida, o método de aplicação, as regras para o cálculo dos escores e para interpretação dos resultados.

Existem duas abordagens para integrar aspectos relativos à qualidade de vida: a abordagem psicométrica e a econômica. Esta última produz medidas de utilidade usando métodos para revelar as preferências dos indivíduos, enquanto a abordagem psicométrica produz medidas de qualidade de vida usando questionários ou escalas.

Medida indireta de preferências: Uso de instrumentos para medir as preferências dos indivíduos, sem tomar medidas diretas.

Meta-análise: Técnicas que aplicam protocolos e utilizam métodos estatísticos para revisar e interpretar criticamente os resultados combinados de investigações primárias que foram realizadas, com objetivo de obter sínteses quantitativas sobre os efeitos das tecnologias em saúde.

Método bayesiano: Ramo da estatística que utiliza informação prévia sobre pressupostos para estimativa e inferência.

Métodos de estimativa de custos: Ferramentas destinadas à identificação dos custos de serviços ou de programas de saúde oferecidos por instituição ou órgão específico. Os principais métodos de apuração de custos podem ser: i) custeio por absorção; ii) custeio direto ou variável; iii) custeio por procedimento ou doença; e iv) custeio ABC.

Método do capital humano: Método de estimar os custos de produtividade baseado na quantidade de tempo de pleno emprego do indivíduo que é perdido como resultado da doença.

Microcustos "bottom-up costing": Abordagem de medição baseada na identificação dos recursos utilizados pelos pacientes, com base em cada um dos itens de custo.

Modelos de Markov: Os modelos de Markov são construções semelhantes às de árvores de decisão em que se incorpora o ciclo de tempo de uma doença, na forma de um processo recursivo, conhecido como cadeias de Markov. A caracterização básica de processos dinâmicos como processos de Markov se dá pela chamada "regra de Markov", que supõe que uma transição de um estado atual para um estado futuro não depende da história anterior do sistema, mas

apenas do estado atual. Esquemáticamente, o modelo de Markov é utilizado para simular o caminho percorrido por um indivíduo através de um número finito de estados de saúde e acumulando as consequências que aparecem ao longo da evolução da doença – anos de vida salvos, QALY e custos, por exemplo. Sem especificar detalhes desse modelo matemático, sua propriedade fundamental é a construção de um processo “sem memórias”. Isto significa que um número de pacientes em um determinado estado de saúde no tempo t depende somente da quantidade de pacientes nesse estado no tempo $t-1$ e a probabilidade de entrar e sair desse estado no tempo t . Esta simplificação representa uma séria limitação quando se modela a evolução de doenças cujo diagnóstico pode evoluir ao longo do tempo. Nesse caso, é possível incorporar “memória” ao modelo, resultando em um processo conhecido como semi-Markov.

Oferta: Quantidade de um bem ou de um serviço disponível no mercado em que os ofertantes estão dispostos a vender, segundo preço de mercado, em um período de tempo determinado.

Padrão-ouro (padrão de referência ou “*gold standard*”): Método, procedimento ou medida que é amplamente aceito como sendo o melhor disponível, com o qual novas intervenções deveriam ser comparadas.

Perspectiva: Ponto de vista a partir do qual a avaliação econômica é conduzida, por exemplo, sociedade, serviço y sistema de saúde. Define quais são os custos e consequências examinados.

Pesquisa clínica (ensaios “*trial*”): Estudos que envolvem pacientes (humanos), nos quais os pesquisadores designam pessoas elegíveis para grupos de intervenção.

Pesquisa experimental: Estudos que envolvem modelos experimentais como animais experimentais, cadáver e cultura de células e tecidos.

Preço: Valor monetário por meio do qual um bem ou um serviço é comprado e vendido.

Preferências: Desejo por um resultado ou situação particular. Os termos preferências e utilidades são geralmente utilizados como sinônimos de medidas de qualidade de vida em saúde nas avaliações econômicas. Utilidades são preferências obtidas por métodos que envolvem incerteza (por exemplo, *standard gamble*), enquanto valores são preferências derivadas de métodos que não lidam com incerteza (por exemplo, *time trade-off*) e ambos, valores e utilidades, são preferências.

Probabilidade: Expressão do grau de certeza de que um evento pode ocorrer, numa escala de 0 (certeza de que o evento nunca ocorrerá) a 1 (certeza de que o evento ocorrerá).

Procedimento: processo de intervenção que pode incluir tanto medicamentos quanto vacinas, reativos para diagnóstico e equipamentos.

7

SP

DH

16

Produtos para a saúde: Qualquer instrumento, dispositivo, equipamento, implante ou próteses, reagente, ou calibrador para diagnóstico *in vitro*, programa informático, material, ou outro artigo similar ou relacionado, utilizado sozinho ou em combinação com qualquer acessório, destinados por seu fabricante a ser utilizados em seres humanos com fins de: diagnóstico; prevenção; controle; tratamento, ou alívio de uma enfermidade, lesão ou deficiência; investigação, substituição ou modificação da anatomia ou de um processo fisiológico; contraceptivos; e que não exerçam a ação principal por meios farmacológicos, imunológicos, nem metabólicos.

Protocolos clínicos: Conjunto de diretrizes, de estratégias, de critérios e de pautas, provenientes de uma revisão sistemática da evidência científica disponível e de uma avaliação profissional, apresentado de maneira estruturada e elaborado com o objetivo de ajudar os profissionais de saúde e os pacientes em suas decisões. São estabelecidos claramente os critérios de diagnóstico de cada doença, o tratamento preconizado, com os medicamentos disponíveis nas respectivas doses corretas, os mecanismos de controle, o acompanhamento e a verificação de resultados e a racionalização da prescrição e do fornecimento dos medicamentos.

Qualidade de vida relacionada com a saúde: Aspectos físicos, emocionais e sociais que são relevantes e importantes para o bem-estar dos indivíduos; pode ser avaliada usando instrumentos de medidas genéricos, específicos para determinadas doenças, ou baseados nas preferências.

Rateio: Distribuição proporcional de custos indiretos da produção de bens e serviços.

Razão incremental de custo-efetividade ("*Incremental cost-effectiveness ratio*"-ICER): Razão calculada como a diferença de custo entre duas estratégias, dividida pela diferença dos efeitos produzidos por elas. Variações no uso de recursos devem ser incluídas no numerador e aquelas que incidem sobre os estados de saúde, no denominador, procurando evitar contabilidade dupla.

Registro de tecnologias em saúde: Inscrição que é destinada a conceder o direito de fabricação e de comercialização de determinado produto.

Resultado "Outcome": Consequência da condição ou intervenção Referem-se aos efeitos em saúde, tais como os resultados intermediários ou finais de importância para a saúde.

Resultado final: Resultado em saúde que está diretamente relacionado com a duração e qualidade de vida, como os anos de vida salvos ou os anos de vida ajustados por qualidade.

Resultado intermediário: Medida laboratorial ou sintomas utilizados como substituto para um resultado final clinicamente importante que mede diretamente a sobrevida ou função dos pacientes.

Revisão sistemática: Aplicação de métodos explícitos para identificar, localizar,

17

recuperar e analisar sistematicamente toda a evidência disponível sobre um problema específico, com objetivo de estabelecer bases científicas sobre o uso de determinadas tecnologias ou procedimentos de saúde, de minimizar os vieses de uma investigação e de poder generalizar as conclusões.

Segurança: Quando os resultados esperados do uso das tecnologias em saúde excedem os prováveis riscos.

Simulação de Monte Carlo: Tipo de simulação de padronização que utiliza números aleatorizados para capturar os efeitos da incerteza. Múltiplas simulações são executadas com o valor de cada parâmetro selecionado aleatoriamente a partir da distribuição de probabilidades de cada simulação.

“Standard gamble”: Técnica usada para avaliar a utilidade para os indivíduos de um resultado ou estado de saúde que difere na qualidade ou duração de vida. É aplicada pedindo que os indivíduos escolham entre um dado estado de saúde ou arrisquem entre a saúde ideal e a morte imediata. A probabilidade de saúde ideal versus a morte imediata vai sistematicamente mudando até que a pessoa não tenha mais opções de preferências entre o estado de saúde e o risco.

Taxa de desconto: As comparações entre alternativas de intervenção são realizadas em um ponto no tempo, habitualmente o momento presente. Contudo, custos e consequências podem ocorrer ao longo de um período variado de tempo, e diferentes intervenções podem ter perfis temporais de custos e consequências diversos. O desconto significa estimar o que um resultado ou custo realizado em um momento t_1 representa em relação ao mesmo resultado ou custo que ocorra no momento presente t_0 . Se existir uma equivalência entre esses elementos (custos e resultados) independentemente do momento em que ocorram, nenhum desconto é requerido ou a taxa de desconto é zero.

Os custos e resultados que ocorrem no futuro geralmente recebem da sociedade, um valor, no presente, distinto daqueles obtidos no futuro, de acordo com o que a sociedade estabeleça como taxa de “preferência no tempo”. Não existe um acordo em geral sobre a taxa de desconto apropriada e, além disso, a preferência no tempo varia entre culturas e sociedades. A eleição da taxa de desconto deve considerar a racionalidade do processo de decisão e do ambiente econômico de cada sociedade.

Técnicas de modelagem: As técnicas de modelagem mais frequentemente utilizadas na área de análise econômica se referem ao uso de modelos de árvores de decisão.

As árvores de decisão são construídas como representação das estratégias de decisão. Utilizam-se nódulos de probabilidade para incorporar a frequência esperada dos eventos, como, por exemplo, taxa de êxito e cura. No final de cada série de probabilidades, valores de efetividade e/ou custo são associados para se obter um resultado final.

Tecnologias em saúde: Conjunto de equipamentos, medicamentos, insumos e procedimentos utilizados na prestação de serviços de saúde, bem como das técnicas de infraestrutura desses serviços e de sua organização.

"Time trade-off": Técnica de avaliação das preferências na qual os indivíduos são solicitados a determinar a duração de tempo em condições ideais (ou de boa saúde) que eles considerariam equivalente a um período maior de tempo num dado estado/situação de saúde.

Transferência de resultados em uma avaliação econômica: A generalização ou transferência dos resultados das avaliações econômicas refere-se à extensão com que os resultados de um estudo baseado em medidas de uma população particular de pacientes e/ou de um contexto específico podem ser aplicados ou extrapolados para outra população e/ou contexto diferente.

Utilidade: Conceito empregado para indicar a satisfação obtida pelo indivíduo em consequência do consumo de bens e serviços de saúde. Esse conceito é utilizado para denominar uma quantificação da qualidade de vida das pessoas, que pode não estar baseada necessariamente nas preferências dos consumidores, podendo resultar de avaliações feitas por profissionais.

Validade: Extensão com a qual uma técnica mede aquilo que intenciona medir.

Validade externa: Extensão em que se podem generalizar as conclusões de um estudo a populações e espaços de prática externos ao estudo.

Validade interna: É o grau em que um resultado (ou uma medida ou um estudo) se aproxima provavelmente da verdade e está isenta de vieses (erros sistemáticos). A validade tem outros significados.

Valor presente: Valor dos custos ou benefícios futuros após ajuste para as preferências no tempo por desconto.

Valoração: Processo de quantificar o desejo de um resultado em utilidade ou termos monetários, ou de quantificar o uso dos recursos ou a produtividade dos indivíduos em termos monetários.

Valoração contingente: Técnica para valorar os benefícios das tecnologias em saúde, mediante a determinação da disposição máxima a pagar dos indivíduos para o acesso à tecnologia, ou da quantidade mínima que eles poderiam aceitar como compensação por não ter a tecnologia disponível.

Variabilidade: Reflete diferenças conhecidas nos valores dos parâmetros associados com diferenças identificáveis; é representada por frequências de distribuição; pode ser atribuída a padrões de prática clínica diversos em áreas geográficas ou espaços de prática diferentes ou a heterogeneidade da população de pacientes.

Variação da prática médica: Variação que resulta de atuações diferenciadas na prática dos médicos diante de situações clínicas idênticas, derivadas das incertezas que acompanham essas decisões, fundamentadas em teorias insuficientemente avaliadas ou de escassa evidência científica disponível.

3. CARACTERIZAÇÃO DO PROBLEMA

3.1 Pergunta Clínica

3.1.1 Todo estudo de avaliação econômica deve estar orientado a partir de uma pergunta clínica adequadamente definida.

3.1.2 A pergunta clínica deve delimitar o problema que se pretende estudar, especificando a intervenção e as estratégias sob comparação, bem como a população-alvo, a perspectiva e o horizonte temporal do estudo.

3.1.3 A pergunta em estudo deve ser relevante e orientada para as necessidades dos gestores participantes no processo de tomada de decisão e da decisão específica a ser tomada. Essa pergunta deve conduzir a resultados generalizáveis à população-alvo em seu próprio contexto geográfico.

4. POPULAÇÃO-ALVO E POPULAÇÃO INCLUÍDA

4.1 Devem-se especificar os grupos ou subgrupos populacionais que se beneficiarão com os resultados da avaliação econômica (população destinatária), mencionando os critérios de inclusão e exclusão.

4.2 Deve-se especificar a população incluída na avaliação, que deve ser descrita em suas características sociodemográficas de acordo com a natureza, o estágio de desenvolvimento ou a gravidade da doença ou condição mórbida, e pela existência de doenças associadas e outros agravos.

4.3 As populações devem ser definidas em função de outras características, como o nível de atenção onde a tecnologia ou intervenção se insere, localização geográfica, taxa de adesão ao procedimento ou intervenção proposta, protocolização do tratamento.

4.4 Devem ser consideradas e descritas as diferenças entre a população-alvo e a beneficiária da intervenção ou tecnologia na prática usual.

4.5 Se os dados da efetividade são obtidos a partir de múltiplas fontes de populações diferentes, deve-se estabelecer uma descrição exata do método usado para se chegar à definição da população-alvo e das estimativas da efetividade do uso da tecnologia que está sendo avaliada.

4.6 Se a efetividade apresentar diferenças nos resultados para subgrupos da população deve-se explicitar o controle e a força estatística dos dados coletados.

5. DESENHO DO ESTUDO

5.1 O desenho do estudo de avaliação econômica deve ser definido com clareza em relação ao método adotado, à coleta prospectiva ou retrospectiva de dados, tamanho da amostra, fonte de evidência clínica e modelo de análise.

5.2 Deve-se definir como e em que momento a avaliação econômica está ligada à obtenção de dados clínicos. No caso de avaliações econômicas realizadas retrospectivamente em relação à coleta de dados clínicos, a avaliação será realizada com dados clínicos previamente reunidos de ensaios clínicos anteriores, revisão de literatura/meta-análise ou de uma base de dados. No caso de avaliações prospectivas, os dados sobre custos e consequências são obtidos ao mesmo tempo que os dados clínicos. Nas avaliações econômicas associadas a ensaios clínicos ou "*piggy-backed*", é necessário selecionar os elementos úteis para a análise econômica e estabelecer uma relação específica entre o paciente, os insumos utilizados, as intervenções aplicadas e os resultados de cada um. Nos estudos realizados retrospectivamente, essa relação será estimada.

5.3 Deve-se definir se a obtenção das evidências clínico-epidemiológicas é primária ou secundária.

5.4 Devem-se utilizar dados de efetividade ao invés de eficácia. Na ausência de dados sobre a efetividade de uma intervenção, podem ser utilizados dados de eficácia, que devem ser objetos de análise de sensibilidade.

5.5 Deve-se preferir a realização de avaliações econômicas em associação com ensaios clínicos aleatorizados.

5.6 Deve-se buscar o melhor ponto de equilíbrio entre o que é necessário e os vários tipos de restrições ou limites presentes ao selecionar uma abordagem para o desenho de estudo. Devem ser considerados também os custos e benefícios dos desenhos de pesquisa com diferentes forças e precisão. A abordagem a ser utilizada deve ter uma forte base empírica e combinar o rigor dos estudos clínicos controlados com os elementos obtidos dos estudos observacionais, especialmente em relação à utilização dos recursos.

6. TIPOS DE ANÁLISE

6.1 Deve-se definir o tipo de análise que se realiza, o qual dependerá dos vínculos estabelecidos entre os custos e os resultados de uma estratégia terapêutica. O tipo de análise selecionada deve ser claramente justificada e orientada em relação à pergunta a ser respondida na avaliação econômica.

6.1.1 Quando for necessário examinar a relação entre custos e consequências ou resultados de uma intervenção deve-se realizar uma **Análise de custo-resultado**. Deve-se selecionar e descrever que subtipo de análise será conduzida:

6.1.1.1 Deve-se realizar uma análise de custo-minimização quando for necessário

conhecer a alternativa de menor custo dentro de opções que levam a consequências equivalentes em termos de resultados em saúde.

6.1.1.2 Deve-se realizar uma análise de custo-efetividade quando for necessário conhecer a alternativa que oferece melhor relação entre os custos e os resultados de saúde medidos em unidades quantitativas não monetárias.

6.1.1.3 Deve-se realizar uma análise de custo-utilidade quando for necessário conhecer a alternativa que oferece melhor relação entre seus custos e os resultados em termos de qualidade e duração da sobrevida obtida. A metodologia utilizada para medir esses resultados de qualidade de vida deve estar validada para seu uso no país onde se realiza a avaliação econômica.

6.1.1.4 Deve-se realizar uma análise de custo-benefício quando for necessário conhecer se é socialmente rentável investir em um determinado projeto.

6.1.2 Quando não for possível vincular recursos a resultados por meio de um critério explícito, devem ser realizadas **Análises de custo-consequência** ou avaliações econômicas parciais. A escolha deste tipo de análise deve ser devidamente justificada.

6.1.3 Se o objetivo da análise for identificar e mensurar todos os custos associados a uma doença em particular, deve ser realizada uma análise de **custo da doença**.

7. INTERVENÇÕES A SEREM COMPARADAS

7.1 Devem-se especificar o tipo de intervenção ou de tecnologia sob estudo e a seleção das intervenções ou estratégias tecnológicas sob comparação.

7.2 Devem-se definir e classificar as intervenções como terapêuticas, diagnósticas, de rastreamento ("*screening*"), preventivas e em cuidados de apoio.

7.3 O tipo de tecnologia em saúde deve ser definido especificamente: medicamentos e imunobiológicos, produtos para saúde ou produtos médicos e os procedimentos clínicos e cirúrgicos.

7.4 As comparações que serão realizadas devem ser relevantes e abranger todas as alternativas que se apresentam diante do uso real da tecnologia.

8. PERSPECTIVA DA ANÁLISE

8.1 Deve ser definida a perspectiva da análise de forma explícita, definindo se é a perspectiva do sistema público de saúde, da sociedade, do sistema privado de saúde, de um serviço de saúde (hospital, etc.) ou do usuário / paciente.

8.2 Para decisões envolvidas em políticas públicas deverá preferir-se a perspectiva do sistema público de saúde.

8.3. Caso se selecione a perspectiva da sociedade, devem ser incluídos todos os custos diretos da produção do serviço/procedimento e dos tempos perdidos pelos pacientes e seus familiares, além dos custos relacionados à perda de produtividade e morte prematura.

9. HORIZONTE TEMPORAL

9.1 Deve ser explicitado e justificado o horizonte temporal da avaliação econômica.

9.2 Para doenças crônicas e aquelas em que diferenças na mortalidade são significativas, as análises devem considerar a expectativa de vida dos pacientes como horizonte temporal prioritário.

9.3 Nos casos em que as análises de longo prazo não têm possibilidade de coletar dados primários dos pacientes, devem-se utilizar os dados factíveis para fazer análise de curto prazo, para obter informações intermediárias e servir como fonte de extrapolação do modelo de análise, o qual deve ser devidamente justificado.

10. CARACTERIZAÇÃO E MENSURAÇÃO DE RESULTADOS

10.1 Efetividade e Eficácia

10.1.1 Deve-se preferir a mensuração da Efetividade à da Eficácia.

10.1.2 Se a eficácia for a única medida disponível, devem ser realizados ajustes apropriados que considerem a melhor evidência disponível e as técnicas de conversão adequadas visando parâmetros de efetividade. Potenciais incertezas devem ser avaliadas na análise de sensibilidade.

10.2 Indicadores de efetividade: medidas intermediárias e resultados finais

10.2.1 Deve-se preferir a avaliação das intervenções baseadas em seus resultados finais e não em medidas intermediárias.

10.3 Obtenção de evidências

10.3.1 Devem-se especificar a fonte e o tipo de evidência sobre efetividade, eficácia e eventos adversos associados às tecnologias avaliadas.

10.3.2 A análise de avaliação econômica deve mencionar o nível de qualidade

das evidências em que se embasa a avaliação, bem como descrever os estudos incluídos, os critérios de inclusão e exclusão e os métodos utilizados na condução da revisão, particularmente descrevendo se foi ou não sistemática.

10.3.3 Deve-se efetuar uma análise de sensibilidade em caso de se realizar uma análise estratificada para avaliar o impacto da variação na efetividade de uma intervenção entre subgrupos de uma população-alvo.

10.4 Qualidade de vida

10.4.1 Devem ser preferidas na análise as medidas de resultados que incorporam as preferências dos pacientes por certos estados de saúde que são resultantes das diferentes intervenções em saúde, as chamadas medidas de qualidade de vida relacionadas à saúde.

10.5 Utilidades

10.5.1 Deve ser descrita e justificada a técnica utilizada para mensuração das utilidades.

10.6 Medidas Psicométricas

10.6.1 Devem ser descritos e justificados o processo e tipo empregado se forem utilizadas medidas psicométricas para valorar as preferências.

10.6.2 Quando forem utilizadas as versões de instrumentos desenvolvidos fora do país deve-se realizar e/ou descrever o processo de transposição e validação.

10.7 Unidade de medida das utilidades

10.7.1 Deve-se realizar *a priori* uma análise e descrever os métodos e justificativa da seleção da unidade de medida das utilidades que se considere mais apropriada para a condição sob estudo. Deve-se descrever e justificar as hipóteses sobre as mudanças ao longo do tempo das medidas atribuídas à qualidade de vida.

10.7.2 Qualquer resultado apresentado como custo por QALY deve incluir a definição da base de referência dentro da qual foi calculado e a especificação da função de agregação. Os resultados sem esses elementos não devem ser utilizados como base para as tomadas de decisão públicas.

10.7.3 Deve-se ter muita cautela em comparações entre estudos ou entre patologias (por exemplo, uso de tábuas de vida).

10.8 Resultados nas análises de custo-benefício

10.8.1 Devem ser explicadas as etapas empregadas para converter os resultados de saúde em termos monetários. Os pressupostos subjacentes devem ser validados e testados na análise de sensibilidade.

11. QUANTIFICAÇÃO E CUSTEIO DE RECURSOS

11.1 É necessário descrever e justificar a metodologia e a fonte de estimativa de custos. A estimativa dos custos deve constar de três etapas: (1) a identificação dos custos relevantes à avaliação; (2) a mensuração dos recursos usados e (3) valoração dos recursos.

11.2 A perspectiva preferencial de análise é a do sistema público de saúde, e devem ser incluídos aqueles custos diretamente envolvidos no cuidado prestado por esse sistema.

11.3 A utilização de recursos em cada estado de saúde deve ser representada em uma função de produção que mostre os custos gerados pela utilização de recursos nas estratégias escolhidas, incluindo consulta clínica inicial, tratamento hospitalar, internações, inclusive em unidades de terapia intensiva, ambulatorial, serviços médicos e de enfermagem, exames laboratoriais e complementares, atendimentos de serviços de emergência, e medicamentos, entre outros.

11.4 Os custos calculados diretamente devem refletir os custos econômicos do uso de todos os recursos empregados no nível normal de operação.

11.5 Quando for incluída a perspectiva da sociedade, os custos adicionais incorridos pelos pacientes e seus familiares devem ser computados, assim como aqueles associados à diminuição da produtividade pela perda de tempo e morte prematura. Nesses casos, cada item deve ser separadamente listado e as análises devem mostrar seu impacto no custo incremental.

11.6 O uso dos recursos nesse caso deve ser medido a partir de seu custo unitário e ser valorado a preço de mercado. As análises devem utilizar um preço médio ponderado como medida, que deve ter devidamente sinalizados as fontes e os valores utilizados. Devem ser adequadamente justificadas a razão para usar outras referências na determinação do custo em lugar de usar os preços de mercado, se for o caso.

11.7 A valoração deve ser feita a partir da definição da despesa correspondente no caso da aquisição dos bens.

11.8 Quando o recurso usado for o tempo, ele é medido por meio de hipóteses "ad hoc". Deve-se justificar adequadamente a hipótese que se refere aos episódios agudos de curto prazo que conduzem à recuperação rápida dos pacientes (inferior a um mês), para os quais forem assumidos custos baixos com pequeno impacto que não modificam significativamente os valores das relações de custo-efetividade ou as conclusões gerais. Para doenças com tratamento prolongado, exigindo muito do paciente, é necessário considerar tais custos.

11.9 A avaliação monetária do custo do cuidado de uma criança ou do trabalho doméstico deve ser calculada pelo custo de reposição de um recurso equivalente no mercado.



11.10 Devem ser medidos os custos diretos incorridos por pacientes e suas famílias decorrentes da doença e seu tratamento. Esses custos diretos devem ser medidos pelas estimativas "ad hoc" realizadas em uma base rigorosa, particularmente com vistas a seu efeito potencial na renda. O tempo perdido sem trabalho deve ser medido mediante uso de um recurso equivalente no mercado ou, alternativamente, pela disposição do paciente em pagar pelo uso de recursos substitutos.

11.11 É necessário considerar os custos indiretos associados à perda de produtividade e morte prematura dos pacientes quando se utiliza a perspectiva da sociedade.

11.12 O método que deve ser utilizado para se medir a perda de produtividade é o do Capital Humano. O custo dessa perda é avaliado medindo o número de horas de trabalho ou de dias perdidos devido à doença, multiplicado pela renda "per capita" do país em questão.

12. MODELAGEM

12.1 Deve ser descrita e justificada a técnica de modelagem utilizada.

12.2 A estrutura do modelo deve ser descrita e ser a mais adequada para incorporar todas as condições importantes e que tenham impacto potencial nas intervenções consideradas. O modelo deve ser flexível para se adaptar às circunstâncias e características de cada esfera de atuação na área da saúde. Devem ser especificadas as condições de tratamento, associadas com os eventos clínicos e suas relações causais, e capturar o impacto relevante das estratégias de intervenção em saúde analisadas. A estrutura do modelo não deve apenas ser definida pela prática médica corrente, uma vez que ela deve ser capaz de incorporar as mudanças propostas dessa prática. Podem ser excluídos do modelo os eventos clínicos que não se espera que sejam divergentes entre as alternativas estudadas.

12.3 A confiabilidade do modelo deve ser objeto de validação interna e externa. No caso da validação interna, o modelo deve basear-se em hipóteses e dados relevantes, que devem estar muito bem documentados (publicados e/ou referenciados), e em uma estrutura lógica consistente do ponto de vista matemático. No caso da validação externa, os resultados da simulação dinâmica derivados do modelo devem aproximar-se daqueles oriundos da realidade. Para tanto, a estrutura, as hipóteses e parâmetros do modelo devem refletir de forma adequada as condições existentes e os impactos das intervenções e alternativas estudadas.

13. TAXA DE DESCONTO

13.1 As análises econômicas devem aplicar e descrever uma taxa de desconto aos custos e aos resultados, que deve considerar o efeito da passagem do tempo sobre os mesmos. Os custos e benefícios futuros devem ser descontados do seu

7

ST

Dr

26

valor no momento presente, usando-se uma taxa de desconto padrão, quando o universo temporal de análise for superior a 1 ano.

13.2 As análises econômicas devem realizar e descrever uma análise de sensibilidade relativa à taxa de desconto aplicada aos custos e resultados.

14. RESULTADOS

14.1 Em uma avaliação econômica de tecnologias em saúde deve-se definir se a situação em análise exige que os projetos, programas ou estratégias de cuidado da saúde sejam desenvolvidos independentemente um do outro, ou se forem mutuamente excludentes, deve-se escolher um dentre eles (por exemplo, tratamentos distintos para uma mesma doença).

14.2 Se for utilizada uma análise de custo-efetividade com o objetivo de expressar um resumo dos resultados de uma avaliação comparativa de diferentes estratégias não excludentes de cuidados da saúde, as estratégias independentes devem ser classificadas em ordem descendente de razão de custo-efetividade. Devem ser eleitas as alternativas que o orçamento permite financiar, começando pela mais custo-efetiva.

14.3 Se for necessário avaliar duas ou mais estratégias mutuamente excludentes deve-se escolher a estratégia mais custo-efetiva, empregando a razão incremental de custo-efetividade (RICE). Os componentes dessa razão como custos e resultados devem ser apresentados pela sua distribuição estatística (média, mediana, intervalo de confiança, etc.).

14.4 Para apresentar os resultados de uma análise incremental de custo-efetividade deve ser seguido o procedimento abaixo:

- Identificar todas as estratégias que possam contribuir para se atingir os objetivos propostos;
- Listar as estratégias ordenadas do menor custo para o maior;
- Eliminar todas as estratégias que são dominadas por qualquer uma das outras;
- Para as estratégias não dominadas, selecionar aquela que tiver a melhor razão incremental de custo-efetividade, de acordo com os valores alocados no orçamento.

14.5 Todos os resultados, inclusive da análise de sensibilidade, devem ser apresentados em forma gráfica ou tabular. Todos os gráficos devem ser apropriadamente discutidos e não devem ser utilizados para eliminar a discussão sobre a interpretação dos resultados.

15. ANÁLISE DE SENSIBILIDADE

15.1 As avaliações econômicas devem contar com uma análise de sensibilidade.

15.2 Devem ser descritas as etapas e os métodos utilizados para a análise de sensibilidade, bem como seus resultados, preferentemente mediante tabelas e gráficos.

16. GENERALIZAÇÃO DOS RESULTADOS

16.1 Deve-se ter precaução ao tentar generalizar ou transferir os resultados de uma avaliação econômica a outro contexto, e descrever a metodologia utilizada para tal fim.

17. LIMITAÇÕES DO ESTUDO

17.1 Todas as limitações do estudo realizado devem ser explicitadas e discutidas, incluindo os problemas metodológicos, a validade das hipóteses feitas, a confiabilidade das evidências obtidas, e o uso de modelos na resolução dos estudos de custo-efetividade.

18. CONSIDERAÇÕES SOBRE O IMPACTO ORÇAMENTÁRIO E EQUIDADE

18.1 Deverá ser feita uma análise do impacto orçamentário associado à avaliação econômica em saúde quando o solicitante quiser avaliar se existem recursos suficientes para sustentar uma decisão, bem como, assegurar, ao mesmo tempo, que outros serviços já consolidados não perderão viabilidade.

18.2 Deve-se incluir uma discussão detalhada sobre os possíveis efeitos que terá a distribuição da/s intervenção/ções ou programa/s de saúde considerados em diferentes grupos populacionais, e outros aspectos relativos à equidade na alocação de recursos, tais como a identificação dos grupos de potenciais beneficiários, os que poderiam ser prejudicados ou poderiam ter dificuldades de acesso às referidas intervenções.

19. ASPECTOS ÉTICOS E ADMINISTRATIVOS

19.1 Todas as avaliações econômicas envolvendo seres humanos devem apresentar em anexo a aprovação de um Comitê de Ética em Pesquisa Institucional. Essa aprovação deve ser obtida tanto para o levantamento de dados primários, quanto para o uso de dados secundários. No primeiro caso, o protocolo de pesquisa deve ser avaliado e aprovado pelo referido Comitê de Ética. No segundo caso, o Comitê de Ética Institucional deve indicar a instituição ou fonte de dados que aprovou a realização da avaliação.

19.2 Quando as informações forem obtidas de fontes internacionais, deve ser



assegurado que todos os dados utilizados foram obtidos de acordo com os princípios éticos que norteiam a pesquisa.

20. CONCLUSÕES E RECOMENDAÇÕES

20.1 Os resultados de um estudo de avaliação econômica devem ser apresentados de forma clara de maneira a permitir seu exame e revisão. Os relatórios finais devem conter todos os elementos que permitam ao leitor entender a metodologia adotada, verificar as fontes, a relevância das informações recoletadas e a precisão dos cálculos efetuados. Todos os dados, fontes, referências e procedimentos realizados deverão estar disponíveis para todos os interessados. A única exceção admissível diz respeito à confidencialidade dos dados que permitam identificar indivíduos.

20.2 Se os estudos realizados levarem a uma recomendação de política pública, deverá especificar se as conclusões podem ser utilizadas apenas como mais um fator no processo de decisão, ou se existe alguma condição que recomende a sua utilização o mais rápido possível. Deve-se assegurar que a recomendação seja compatível com o tipo de estudo realizado.

20.3 As conclusões de estudos de custo-efetividade que comparam estratégias mutuamente excludentes devem indicar a escolha que, entre as opções não dominadas, possam ser legitimamente aplicadas pelos gestores no seu processo de decisão. As conclusões dos estudos sobre as estratégias comparadas devem ter caráter indicativo em vez de prescritivo.

20.4 Resultados intermediários para cada alternativa, se relevantes para a compreensão da análise geral, devem também ser apresentados desagregadamente. Se outros estudos tiverem sido feitos sobre as estratégias em análise, devem-se comparar os métodos e os resultados dessas avaliações com os resultados obtidos.

20.5 Tópicos futuros de pesquisa devem ser identificados em função dos resultados obtidos da análise de sensibilidade.

21. CONFLITO DE INTERESSES / FONTES DE FINANCIAMENTO

21.1 Todos os autores que participaram do projeto e execução da avaliação econômica em saúde devem ser identificados e citados. Cada um será pessoalmente responsável pela veracidade do estudo e deverá assegurar que a metodologia seguida foi corretamente descrita.

21.2 As afiliações institucionais dos autores, bem como, as fontes de financiamento públicas ou particulares dos mesmos e da análise econômica, devem ser citadas com clareza suficiente.

21.3 Todos os autores devem revelar se existe algum tipo de conflito de interesses que possa influenciar os resultados obtidos.

22. FORMATO DE APRESENTAÇÃO

22.1 O relatório do estudo de avaliação econômica deverá ser claro e detalhado, e a análise apresentada de maneira transparente. Deve conter um resumo executivo no início do documento, cuja extensão não deve ultrapassar três páginas, escrito em linguagem acessível a um leitor não técnico.

22.2 O relatório da análise de avaliação econômica deve seguir a seguinte estrutura:

- Título e ano de elaboração e atualização da avaliação econômica em saúde;
- Autores e filiação institucional;
- Resumo executivo;
- Questão(ões) de interesse e justificativa para a avaliação econômica em saúde especificando o contexto da solicitação da mesma;
- Desenho da avaliação econômica em saúde efetuada, tipo/s de análise econômica/s realizada/s e razões para sua escolha;
- Pergunta/s clínica/s que nortearam a avaliação econômica em saúde;
- População-alvo;
- Intervenção ou tecnologia sob estudo;
- Intervenções de referência e/ou comparação;
- Perspectiva adotada para cálculo dos custos e resultados em saúde;
- Horizonte temporal;
- Caracterização e mensuração de resultados, origem e tipo de dados utilizados para avaliar impactos em saúde;
- Quantificação e custeio de recursos, tipos de custos, origens dos dados econômicos;
- Modelagem, descrição, justificativas técnicas e validações;
- Uso de desconto e taxas utilizadas;
- Análise de sensibilidade (métodos, parâmetros e faixas);
- Principais resultados (custo-efetividade e análise incremental);
- Consistência (ou inconsistência) dos resultados em relação a outros estudos com o mesmo objeto;
- Limitações da avaliação econômica, fatores a serem considerados na

avaliação (em particular limitações em termos de tempo, população, informação, etc.);

- Período de realização do estudo;
- Período para o qual os resultados são estimados como sendo válidos;
- Considerações sobre impacto orçamentário e equidade;
- Conclusões e recomendações;
- Identificação das fontes de financiamento e declaração de potenciais conflitos de interesse;
- Aprovação da avaliação econômica pelo Comitê de Ética Institucional, adesão às normas de confidencialidade dos dados e aquelas relativas à ética na pesquisa biomédica;
- Referências bibliográficas relevantes.

